

# Řízený vstup inovativních léčiv - přehled principů

***23.5.2011***

Tomáš Doležal

Institut pro zdravotní ekonomiku  
a technology assessment

# PROGRAM

---

- 14:30-15:00.....Registrace účastníků, zahájení
- 15:00-15:30.....Mechanismy řízeného vstupu inovativních léčiv v zahraničí – přehled (Tomáš Doležal - iHETA)
- 15:30-16:00.....Současná legislativa v ČR a novela 48 (Libor Štajer - AK KMVS)
- 16:00-16:30.....Pohled zdravotních pojišťoven (VZP - Taťána Soharová, SZP - Karel Němeček)
- 16:30-16:45.....Pohled výrobců (David Skalický - Novartis)
- 16:45 .....Panelová diskuse

# NIC NOVÉHO POD SLUNCEM...

All Headaches Instantly Cured  
or Money Refunded.

LEGAL GUARANTEE.

**6** D. EMERSON'S BROMO-  
SELTZER, the most successful  
American Remedy, is an efferve-  
scent Powder, taken in water. If  
three doses do not Cure any Headache, no  
matter how caused, send the Bottle to us,  
saying where obtained, AND WE  
WILL AT ONCE REFUND THE  
PRICE. TRIAL BOTTLE, post free, 6d. Lar-  
ger Sizes 1s. and 2s. Sold by many Chemists  
or obtained to order by almost all.

EMERSON DRUG CO., LTD.,  
46, HOLBORN VIADUCT, LONDON, E.C.

Insist on Full Name—

**EMERSON'S BROMO-SELTZER**



# PROČ?

---

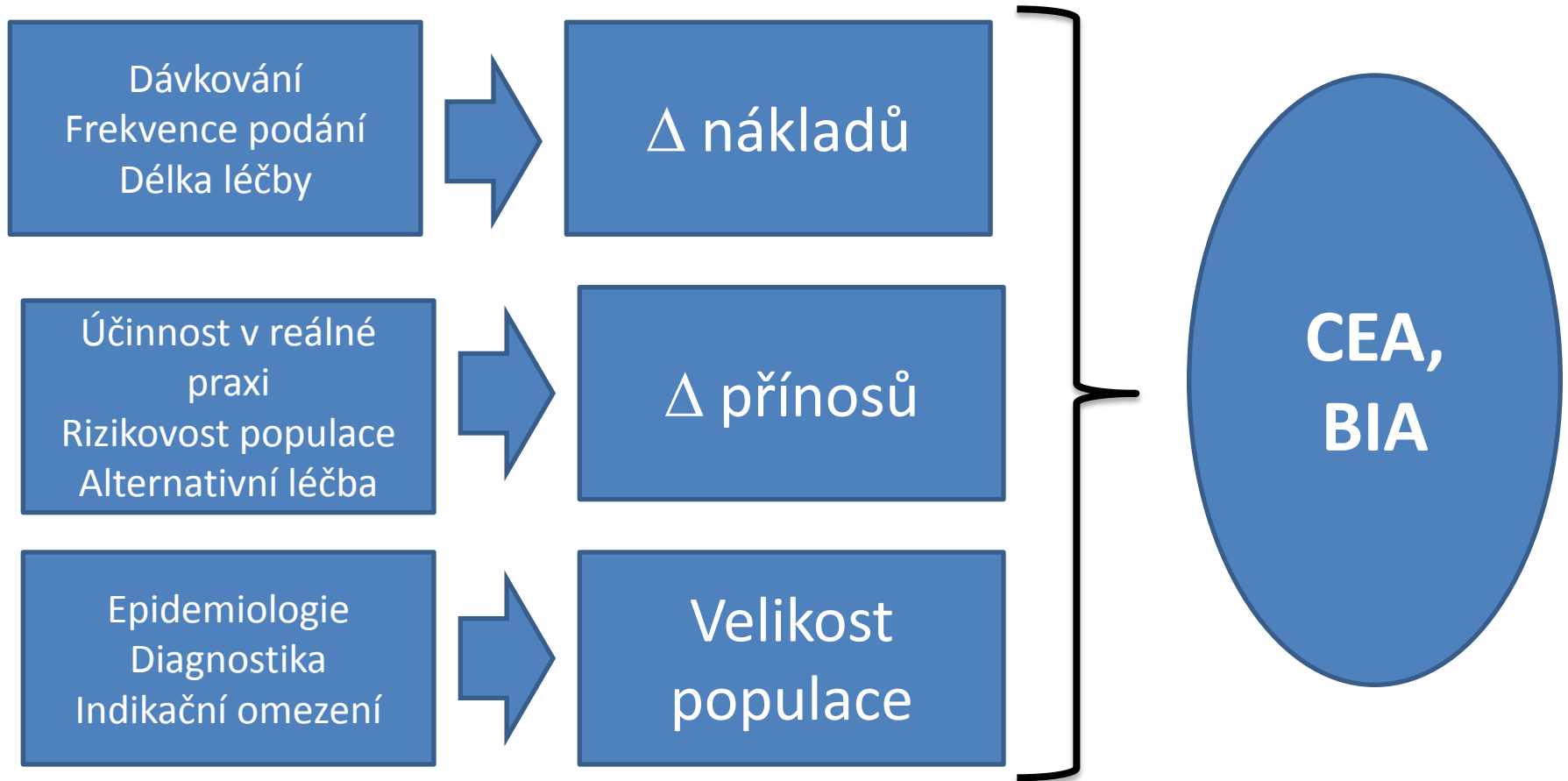
- Reakce na zvyšující se ceny léčiv a omezené veřejné rozpočty
- Plátcí tlačí na racionálnější využívání zdrojů
- Zavedení (explicitní, implicitní) WTP prahů
- Jak se vyrovnat s rostoucími náklady?
  - Zvýšení spoluúčasti
  - Omezování na subpopulace, omezení množství
  - Tlak na CE a BIA
  - Referencování
  - Odmítnutí hrazení
  - **Vtáhnout výrobce do hry**

# TERMINOLOGIE

---

- **Risk-sharing agreements**
  - Dohoda o sdílení rizika, nejčastěji mezi výrobcem a plátcem/regulátorem
  - Musí být vyvážené riziko z obou stran a měřitelné výstupy
- **Managed entry agreements (MEAs) = řízený vstup**
- **Performance-based, outcomes-based agreements**
  - Úhrada je odvozena od měřitelného parametru
  - Je závislá na dosažení určitého „outcome“
- **Vs. Coverage with evidence development**  
dočasná/podmíněná úhrada

# NEJISTOTA → ↑ HODNOTA INFORMACE



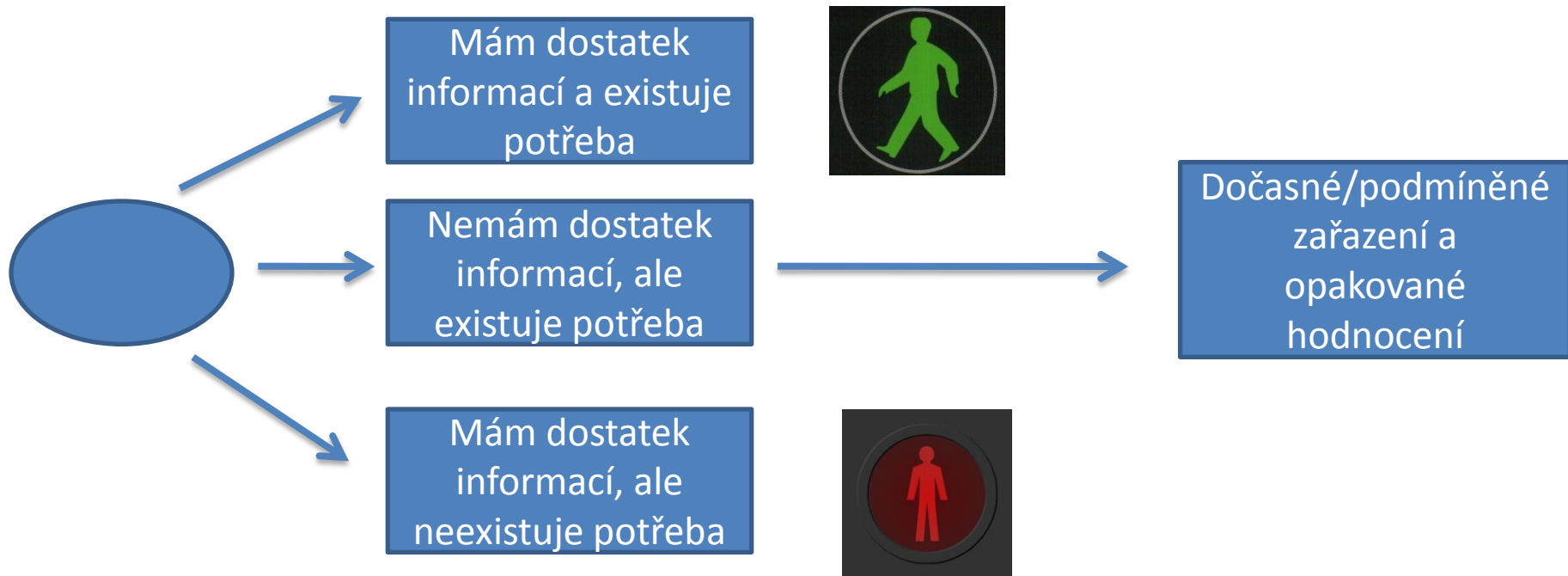
# DŮVODY K MEAs

## (KLEMP 2011)

---

Schéma	Důvody
Kontrola budgetu	Ekonomická udržitelnost
Otázka nejistoty účinnosti a nákladové efektivity	Převoditelnost výsledků na jiné populace Dlouhodobá účinnost Dávkování, dávkovací interval, čerpání zdrojů; jiné komparátory
Kontrola a optimalizace použití	Definice a kontrola cílové populace /subpopulace pacientů Složitost technologie

# V OKAMŽIKU VSTUPU NEMUSÍM MÍT VŠECHNA DATA

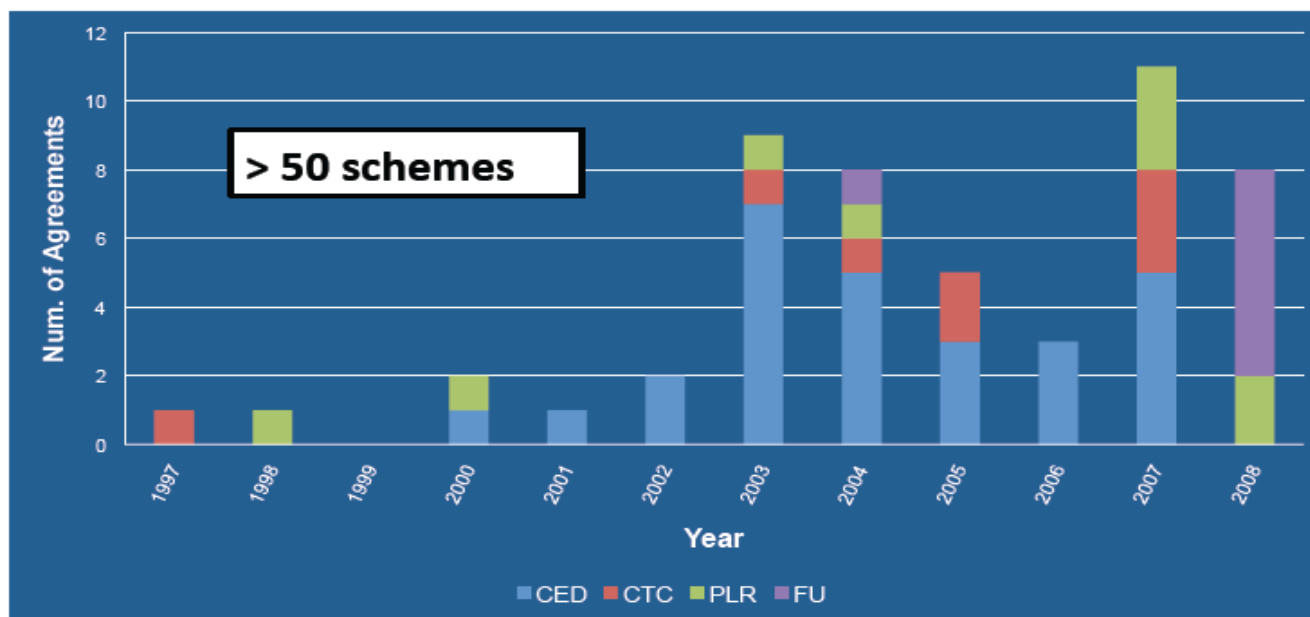


**Proces se musí opakovat, pokud se změní základní parametry  
(ceny/náklady, potřeba, údaje o přínosech a rizicích)**



# ROSTOUČÍ TREND...

## Performance-based schemes by year



CED: Coverage with evidence development; CTC: Conditional treatment continuation; PLR: Performance linked reimbursement; FU: Financial or utilization based agreements



# ZEMĚ, KTERÉ VYUŽÍVAJÍ...

---

- Austrálie
- Francie
- Holandsko
- Itálie
- Nový Zéland
- Švédsko
- Velká Británie
- USA
- .....= země s rozvinutým HTA/HE

# PRINCIP ROVNOVÁHY RIZIKA

---

- **Riziko výrobce**

- Nutnost opustit model, že vše co je objeveno, vyvinuto a vyrobeno bude také uhrazeno („blockbuster model“)
- Inovace jsou ohodnoceny a uhrazeny až po prokázaném efektu

- **Riziko plátce**

- Plátcí jsou vystaveni riziku, že lék nedosáhne potřebných výsledků a platí za nedostatečný efekt = plýtvání veřejnými prostředky („opportunity costs“)

# ZÁKLADNÍ PRINCIPY

---

- 1. Dohoda o programu sběru dat po přiznání úhrady, který sníží nejistotu na straně budgetu, účinnosti nebo nákladové efektivity
- 2. Úhrada je přímo závislá na sledování výsledků léčby, prospektivně nebo retrospektivně
- 3. Primárním cílem může být účinnost v reálné praxi, nákladová efektivita nebo kontrola rozpočtu (budget-impact)
- 4. Riziko je rozloženo mezi plátce a výrobce

# VÝHODY A NEVÝHODY

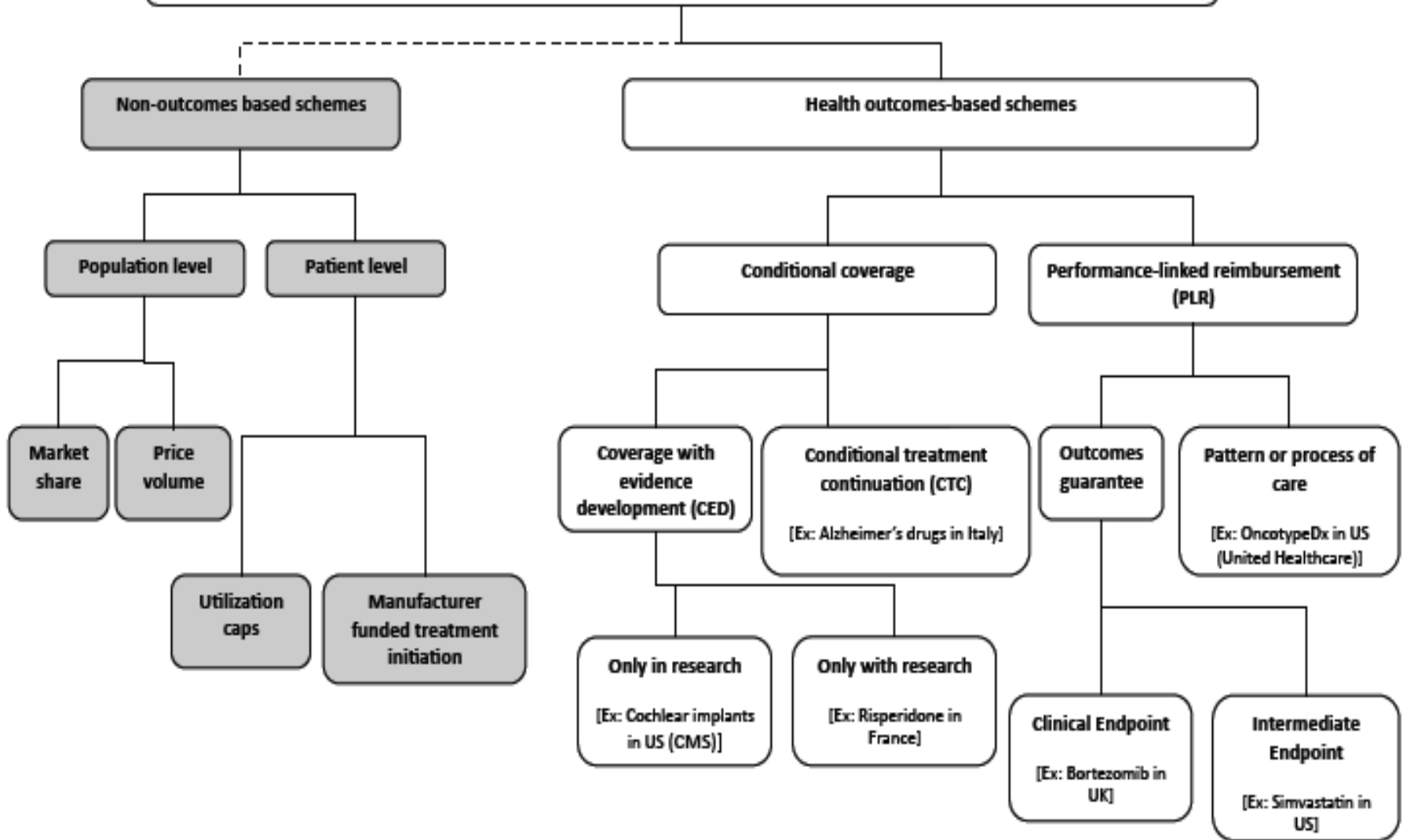
	VÝHODY	NEVÝHODY
<b>Výrobce</b>	Rychlejší vstup na trh Optimalizace použití produktu (cost/benefit)	Další náklady/administrativa Payback/discounts Effectiveness může být srovnávána s efficacy konkurenčního produktu
<b>Plátce</b>	Maximalizace „value“ Dostupnost pro pojištěnce Kontrola rozpočtu Snížení nejistoty	Další náklady/administrativa Obtížné opouštění již jednou zavedené léčby
<b>Pacient/společnost</b>	Rychlejší přístup ke slibným intervencím Investice sledují inovace	Překážky přístupu (specializovaná centra) Obtížné opouštění již jednou zavedené léčby

# SYSTÉMY SDÍLENÉHO RIZIKA

---

- **Buget cap**
  - Často Francie, dohodou je určen strop nákladů na léky, výrobce většinou vrací převis zpět (payback)
- **Effective discount**
  - Zastropování dávky beze změny ceny (Lucentis, Stelara – UK)
- **Outcomes uncertainty**
  - UK MS Drug Scheme – nejistota CUA v nákladech/QALY
  - Austrálie – úhrada bosentanu navázána na přežití pacienta v observační studii
  - USA-záruka vrácení peněz při nedosažení efektu (atorvastatin)
- **Subgroup uncertainty**
  - Identifikace respondérů, např. UK Velcade – úhrada respondérů, zpětné zaplacení non-respondérů výrobcem

# Performance-based schemes between health care payers and manufacturers



# TERMINOLOGIE A PŘÍKLADY

---

- **CTC (Conditional Treatment Continuation)**
  - Pokračování v léčbě pod úhradou je podmíněno dosažením krátkodobého léčebného cíle
  - Příklad: Itálie a léčba Alzheimerovy nemoci, první 3 měsíce poskytuje výrobce zdarma a při dosažení zlepšení kognitivních funkcí je pacient zahrnut do úhrady
  - Onkologie: první cyklus poskytuje výrobce
  - Podmínkou je existence objektivního a měřitelného parametru



# TERMINOLOGIE A PŘÍKLADY

---

- **Performance Linked Reimbursement (PLR)**
  - Úhrada je podmíněna doložením účinnosti v reálné praxi
  - Outcomes guarantees = výrobce zpětně hradí (rabat, refund, změnu ceny) „neúspěšné“ pacienty
  - Příklad: JJ se zavázal uhradit NHS pacienty, kteří nebudou reagovat na 4 cykly bortezomibu (50% pokles sérového proteinu M); respondéři dostanou další 4 cykly
  - Výrobce si „věří“ a je ochoten platit, pokud léčba nebude mít výsledky
  - Výrobce nemusí snižovat cenu, i když reálně se jedná o snížení ceny

# TERMINOLOGIE A PŘÍKLADY

---

- **Risedronate (ACTONEL) v terapii osteoporózy**
  - Výrobce se zavázal, že plátcí uhradí náklady na léčbu non-vertebrálních zlomenin, ke kterým dojde u pacientů léčených risedronatem
- První příklad, kdy se výrobce zavázal hradit následky onemocnění a nenabízel discount nebo refund vlastního léku
- Významně se snížila nejistota plátce o účinnosti risedronatu v zabránění non-vertebrálních zlomenin

# TERMINOLOGIE A PŘÍKLADY

---

- **Conditional Coverage (CC)**
  - Coverage with evidence development
    - Úhrada je podmíněna sběrem dalších důkazů, na designu se dohodne výrobce a plátce a úhrada může být při neúspěchu i zrušena
    - **Only in research**: hrazení jen pro pacienty, kteří vstupují do klinického programu (fáze IV, NIS)
    - **Only with research**: hrazení je podmíněno provedením studie a dodáním relevantních dat

# TERMINOLOGIE A PŘÍKLADY

---

- **Omezení objemu**  
(price/utilization/dose caps = effective discounts)
- Příklad: NICE a Novartis – ranibizumab u AMD – hrazeno maximálně 12 dávek během 2 let
- Příklad: NICE a Janssen – ustekinumab u psoriázy  
dávka u pacientů nad 100 kg není hrazena

# CÍLE SLEDOVÁNÍ VILPU

---

- Cílem je získat data z reálné klinické praxe
- Podívat se na to jaké jsou výsledky (účinnost, bezpečnost), jaká je cílová populace a jaké je reálné dávkování (...a reálné náklady).
- Pokusit se o srovnání s daty z klinických studií (pokud je to možné...léčená populace, režim)
- A na základě těchto reálných dat kalkulovat analýzu nákladové efektivity, případně upřesnit dopad na rozpočet

# RIZIKA ANEB ĎÁBEL JE V DETAILU...

---

- Dostatečná motivace obou stran
- Volba parametrů pro vyhodnocení (účinnost, náklady, dávkování, apod.)
- Monitorovací systém (třetí strana)
- Identifikace pacientů v rámci zvolené diagnózy
- Legislativní překážky (zboží zdarma/vzorky)
- Definice komparátora pro nákladovou efektivitu (vs. placebo/BSC/jiná terapie)

# OTÁZKY PRO DISKUSI

---

- Existuje v našem systému prostor a motivace pro mechanismy sdíleného rizika?
- Jaké mohou být výhody na straně plátců a výrobců?
- Kde vidíte rizika?
- Konkrétní příklady a zkušenosti?
- Dosavadní fungování režimu VILP a očekávání změn po malé novele zákona 48?
- Jaká budou česká specifika procesu?