

Financování léčiv pro vzácná onemocnění - současná situace a jak dál?

Tomáš Doležal

Institut pro zdravotní ekonomiku
a technology assessment

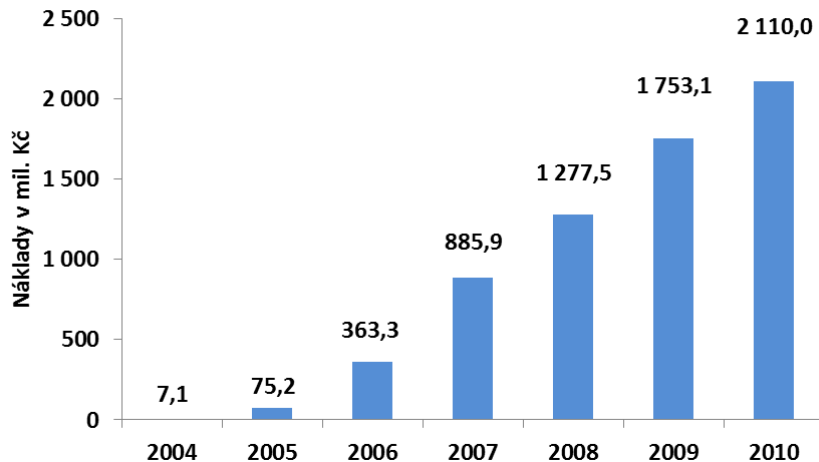
KLÍČOVÉ OTÁZKY

- Jaké jsou skutečné náklady na léky na vzácná onemocnění (tzv. orphan drugs; ODs) v ČR?
- Současné nastavení systému úhrad a vliv na ODs?
- Je možné posuzovat orphan drugs podle kritérií nákladové efektivity/HTA?

NÁKLADY NA OD V ČR 2004-2010

- Registrováno 66 těchto léčiv (k 25/9/2011)

Náklady na Orphan drugs



Procento nákladů na Orphan drugs z celkových výdajů na léky dle SUKL metodiky (hlašené cena původce/výrobce)

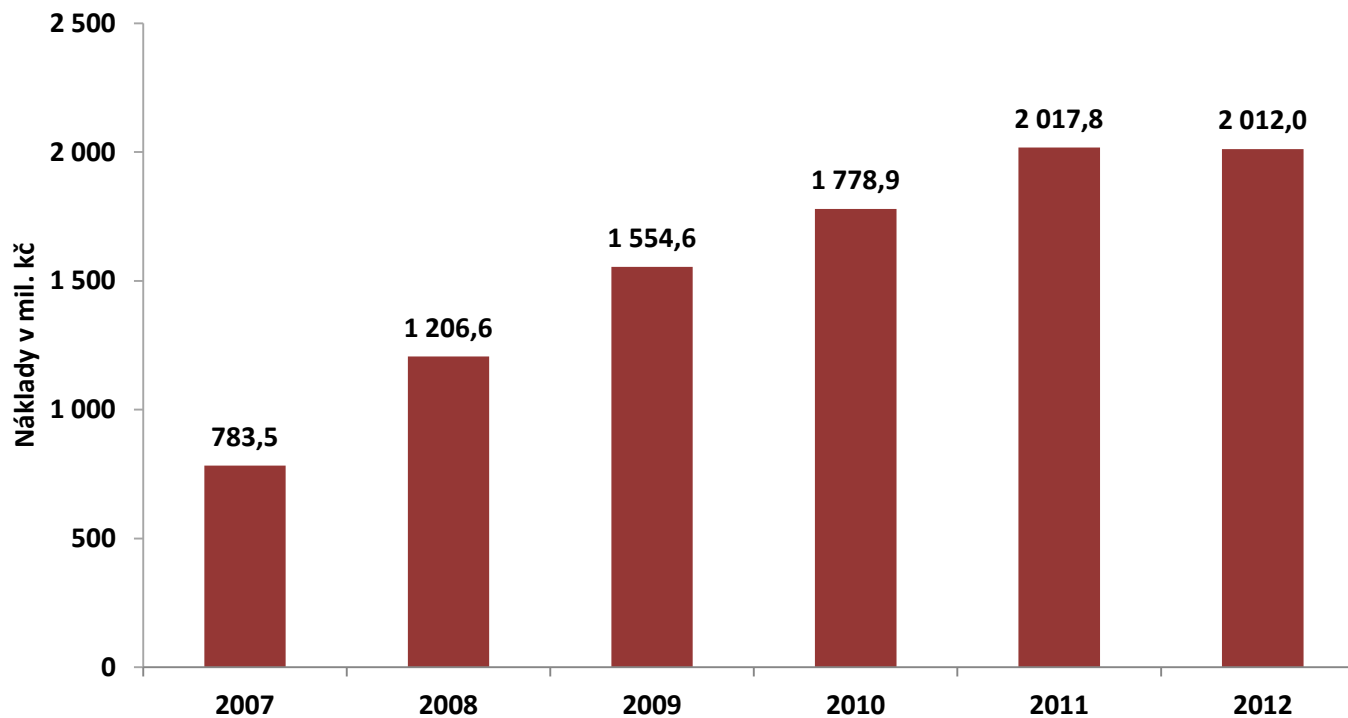


Procento z hrazených léčiv/úhrad ZP:

VZP náklady na léky 2010: 30,6 mld. Kč; celá ČR = 47,1 mld.
u orphans není doplatek, tj. 2,1 mld. = 4,4%

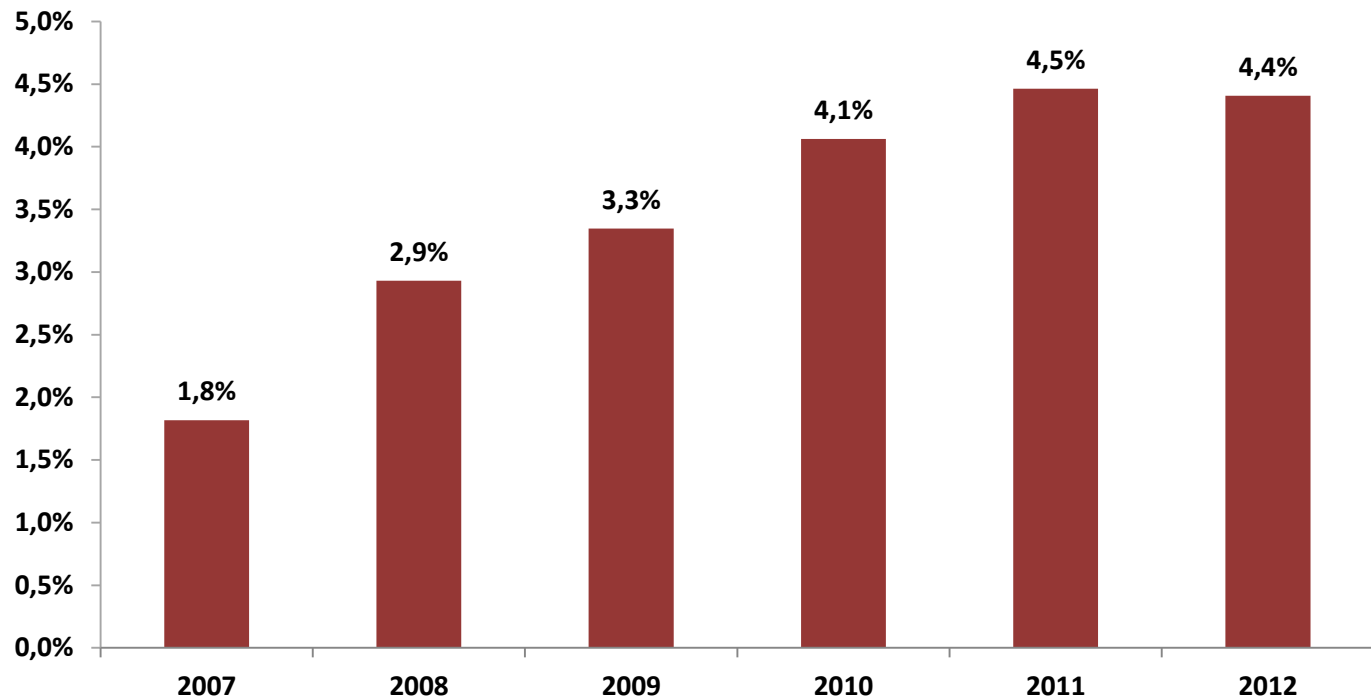
VZP+SZP – ABSOLUTNÍ ČÍSLA 2007-2012

Náklady na Orphan drugs - SZP + VZP



VZP – PODÍL NA VŠECH LÉCÍCH

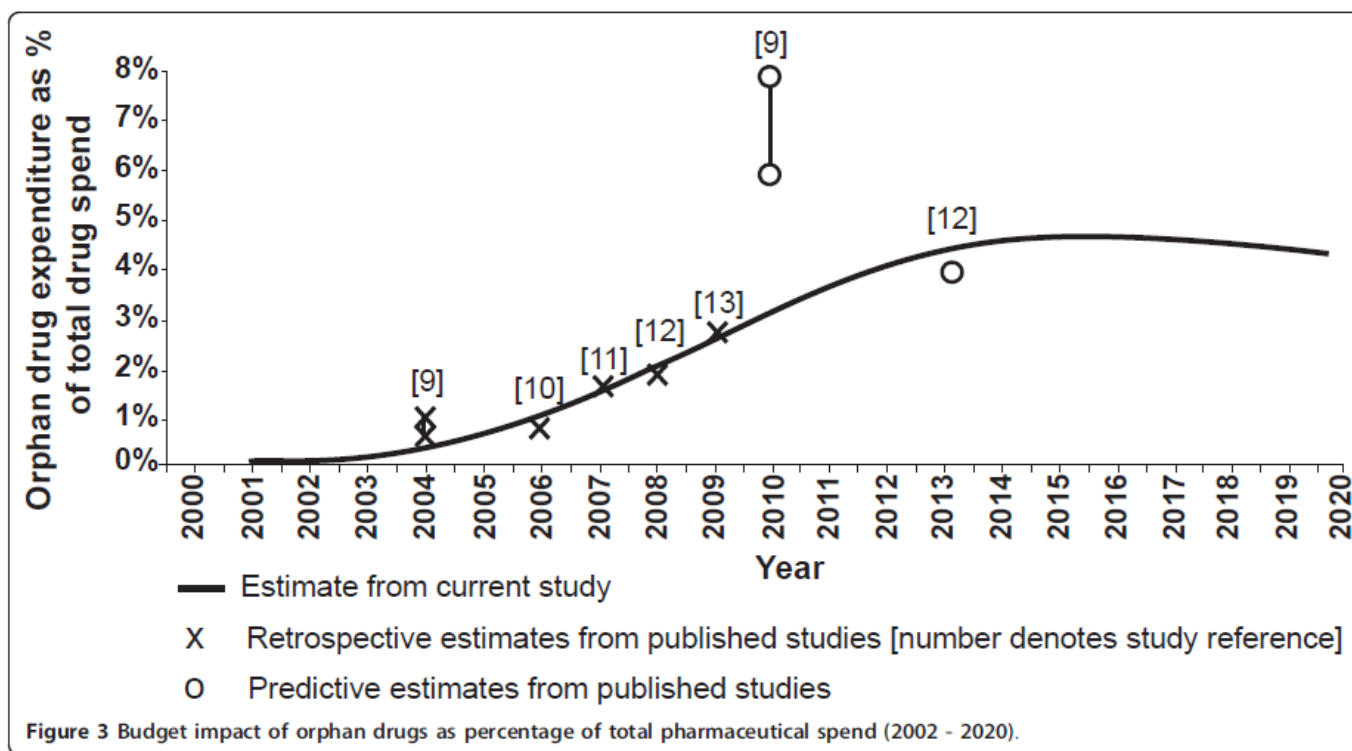
Procento nákladů na Orphan drugs z celkových výdajů na léky dle SUKL metodiky - VZP



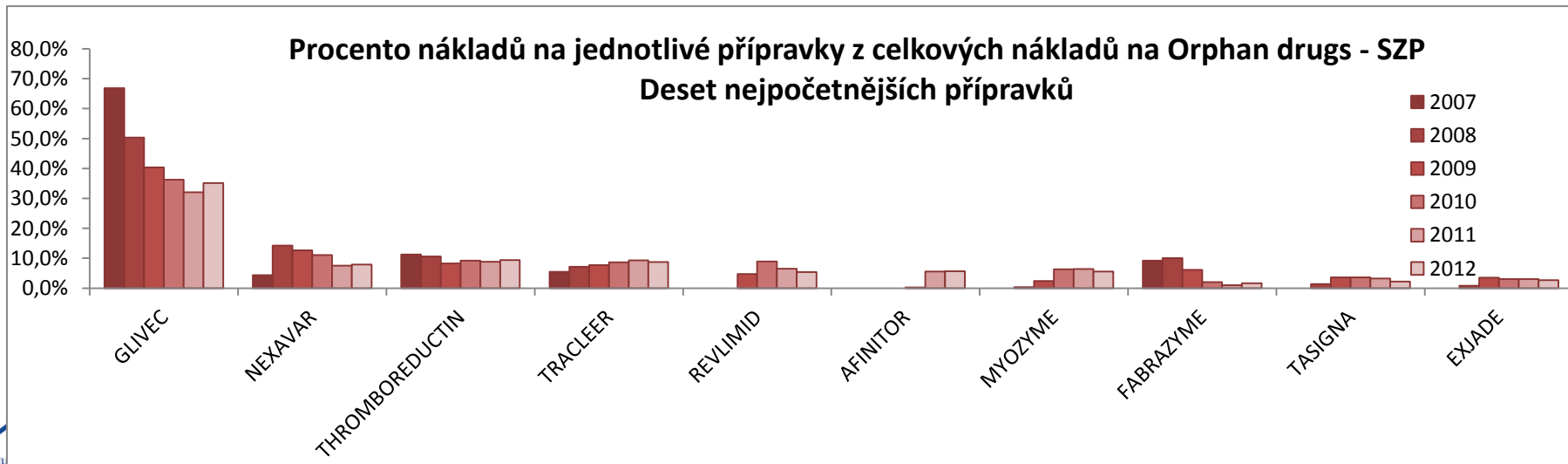
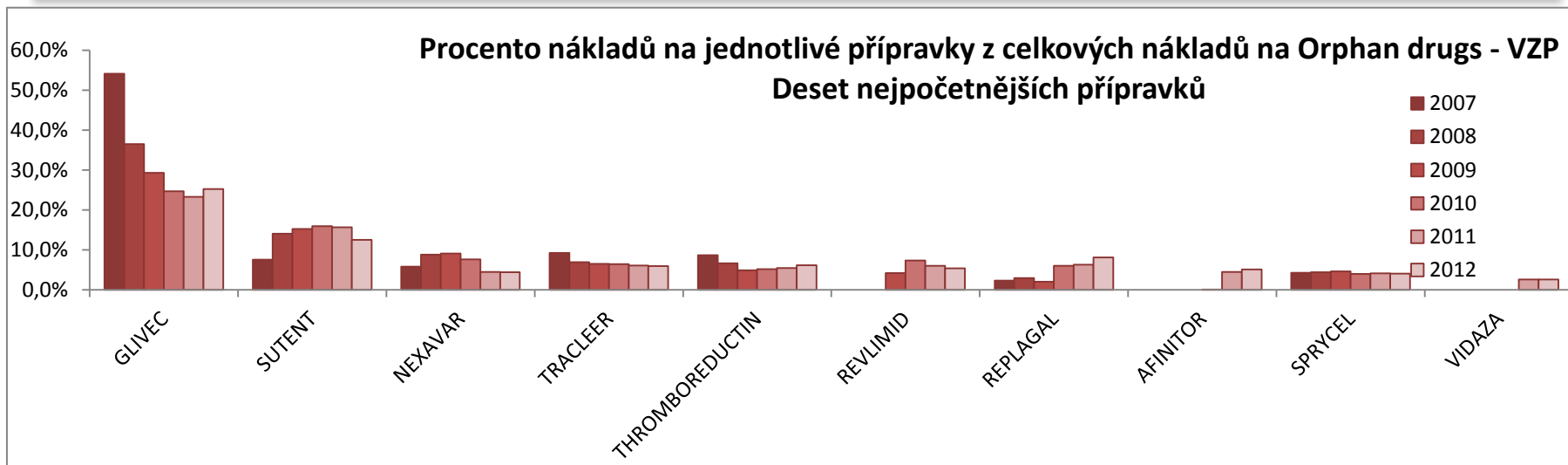
Zdravotní pojišťovny ve SZP = 3% (2011)

PREDIKCE NÁKLADŮ NA OD V EU

- 2010: 3,3% → 2016: 4,6%

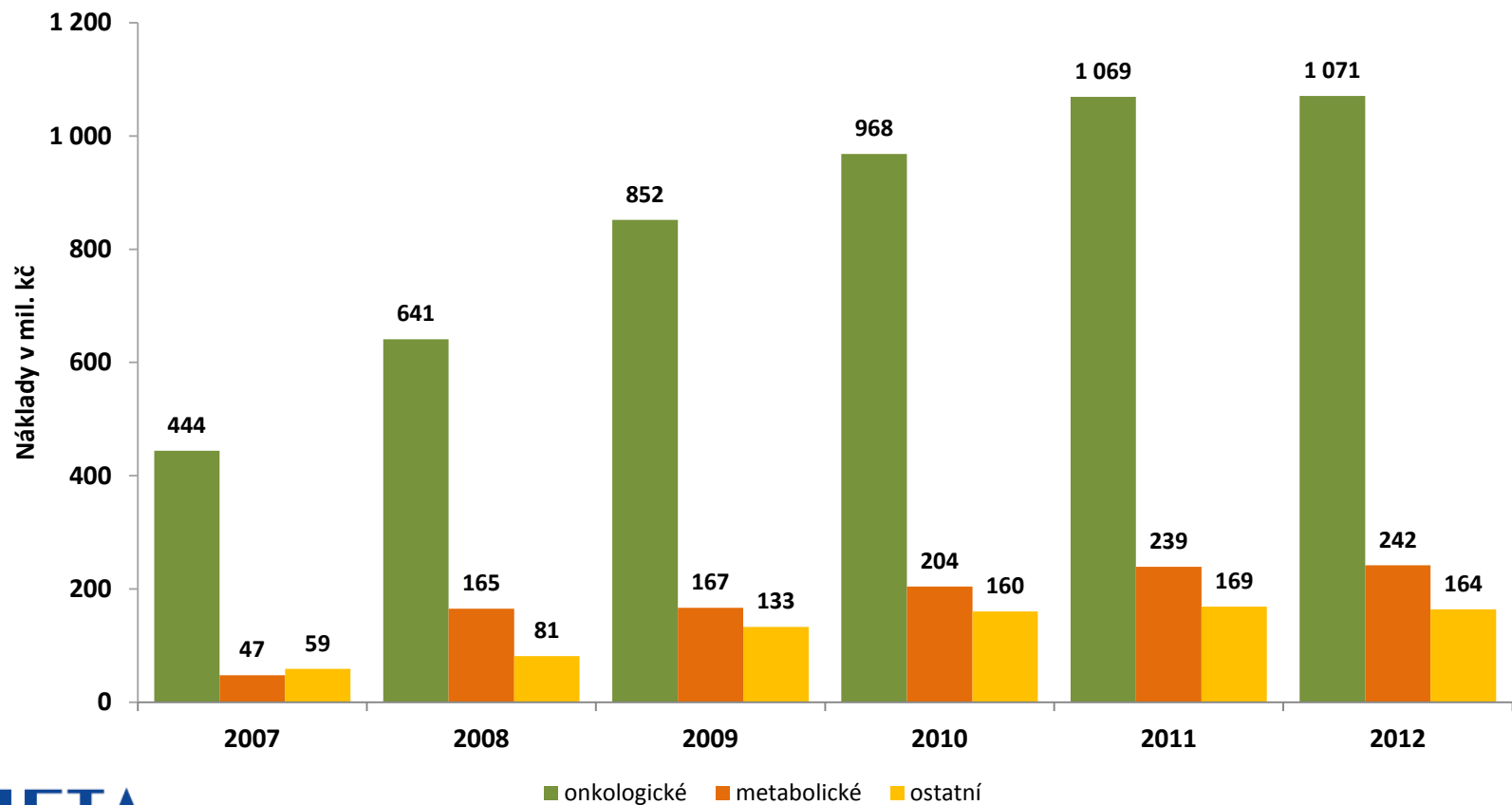


TOP 10 LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ (VZP, SZP)



SPOTŘEBY PODLE KATEGORIÍ - VZP

Náklady na Orphan drugs - VZP



DOSTUPNOST ODS V ČR

- Klimeš, et al. (iHETA) - ISPOR 2012;
- Analýza 2004-2011
- = dostupnost v distribuci
- 49 z 66 registrovaných EMA (74%)
- Průměrná doba od registrace k získání úhrady = **2,27 let**

EXPENDITURES AND AVAILABILITY OF ORPHAN DRUGS IN THE CZECH REPUBLIC: SEVEN YEAR EXPERIENCE (2004 – 2010)

Klimes Jiri^{1,2}, Dolezal Tomas¹, Vocelka Milan^{1,3}, Suchankova Ester¹, Krontoradová Klara^{1,4}

¹Institute of Health Economics and Technology Assessment, Prague, Czech Republic

²Faculty of Pharmacy, Charles University in Prague, Czech Republic

³Third Faculty of Medicine, Charles University in Prague, Czech Republic

⁴Faculty of Biomedical Engineering, Czech Technical University in Prague, Czech Republic

 **iHETA**
Institute of Health Economics and Technology Assessment

KRITÉRIA PRO PŘIDĚLENÍ ÚHRADY V ČR

- **§ 39b** Zásady stanovení nebo změn výše a podmínek úhrady léčivých přípravků
- Kriteria hodnocení
 - terapeutická účinnost a bezpečnost
 - **závažnost onemocnění**
 - nákladová efektivita – náklady a přínosy na jednoho pojištěnce a celkové náklady na zdravotní péči hrazenou ze zdravotního pojištění
 - **veřejný zájem**
 - vhodnost cesty podání, formy, síly
 - obvyklé dávkování
 - nezbytná délka léčby
 - míra součinnosti osoby, které je podáván
 - **jeho nahraditelnost jiným léčivem**
 - předpokládaný dopad úhrady na finanční prostředky zdravotního pojištění
 - doporučené postupy odborných institucí a odborníků, a to vždy z hlediska nákladové efektivity a s ohledem na dopad na finanční prostředky

To sem nepatří
(jen technické prvky)

REGULACE ORPHANS V ČR

- **VILP v rámci úhrady**

- § 39d: Ústav rozhodne o výši a podmínkách dočasné **úhrady vysoce inovativního přípravku**, u něhož není znám dostatek údajů o nákladové efektivitě nebo výsledcích léčby při použití v klinické praxi, a to pouze tehdy, odůvodňují-li dostupné údaje dostatečně průkazně přínos vysoce inovativního přípravku pro léčbu.....
- 1. přípravek nemá alternativu,
- 2. přípravek lze použít k terapii onemocnění, které dosud nebylo možné dostatečně úspěšně léčit dosavadní terapií, a dosavadní údaje nasvědčují klinicky významně vyšší účinnosti,
- 3. přípravky představují zcela nový koncept léčby onemocnění ve srovnání se stávající terapií v případech, kdy stávající terapie není pro významnou skupinu pacientů dostatečně vhodná a existuje odůvodněný předpoklad klinicky významně vyšší účinnosti a bezpečnosti

- **Symbol S (nákladná léčba v centrech)**

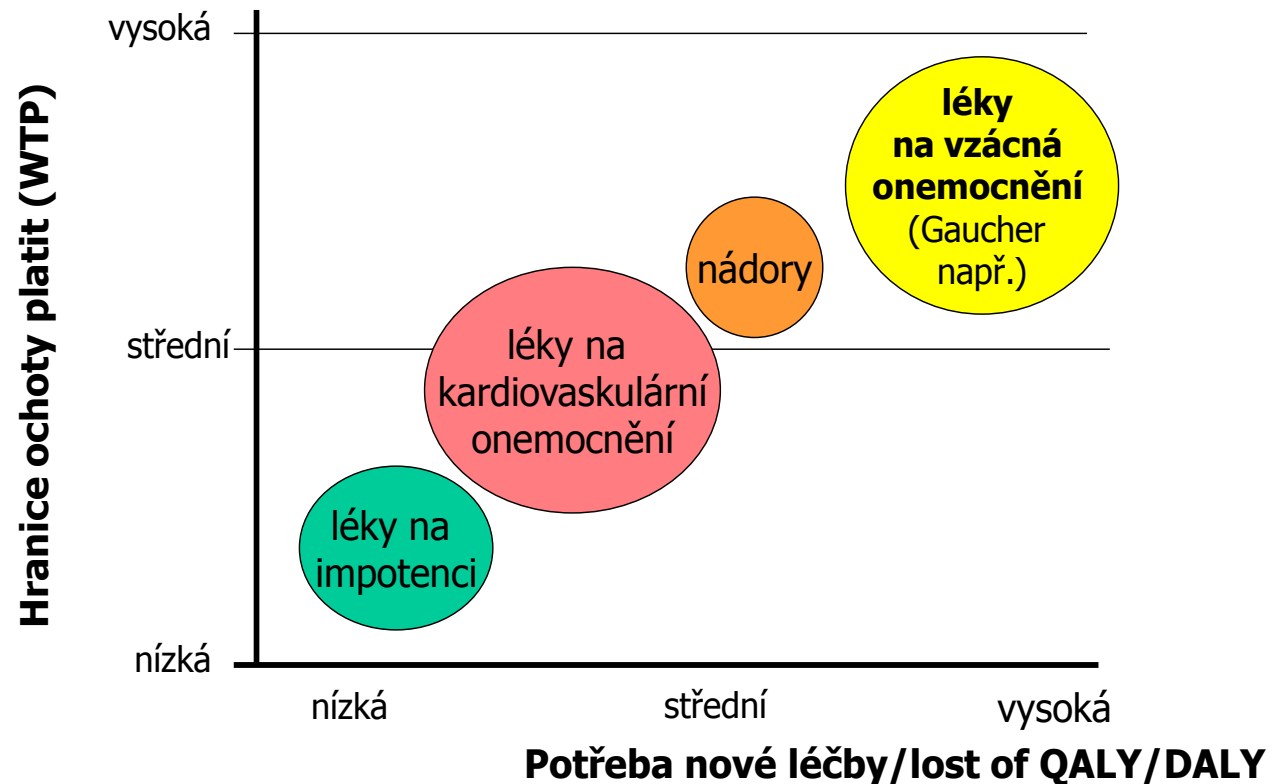
CO SE STANE PO 3 LETECH?

- Po skončení dočasné úhrady jsou na VILP aplikována pravidla nákladové efektivity vč. explicitní hranice ochoty platit (3x HDP)
- **Nejpravděpodobnější scénáře:**
 - Ve většině případů se jen potvrdí výsledky známe z klinických studií
 - Nejsou data na provedení prokazatelné CEA (chybí dlouhodobá data, nejsou údaje o QoL, malé počty pacientů)
 - OD se „nedostane“ do hranice ochoty platit, i když data má (nulový komparátor = vysoké inkrementální náklady)

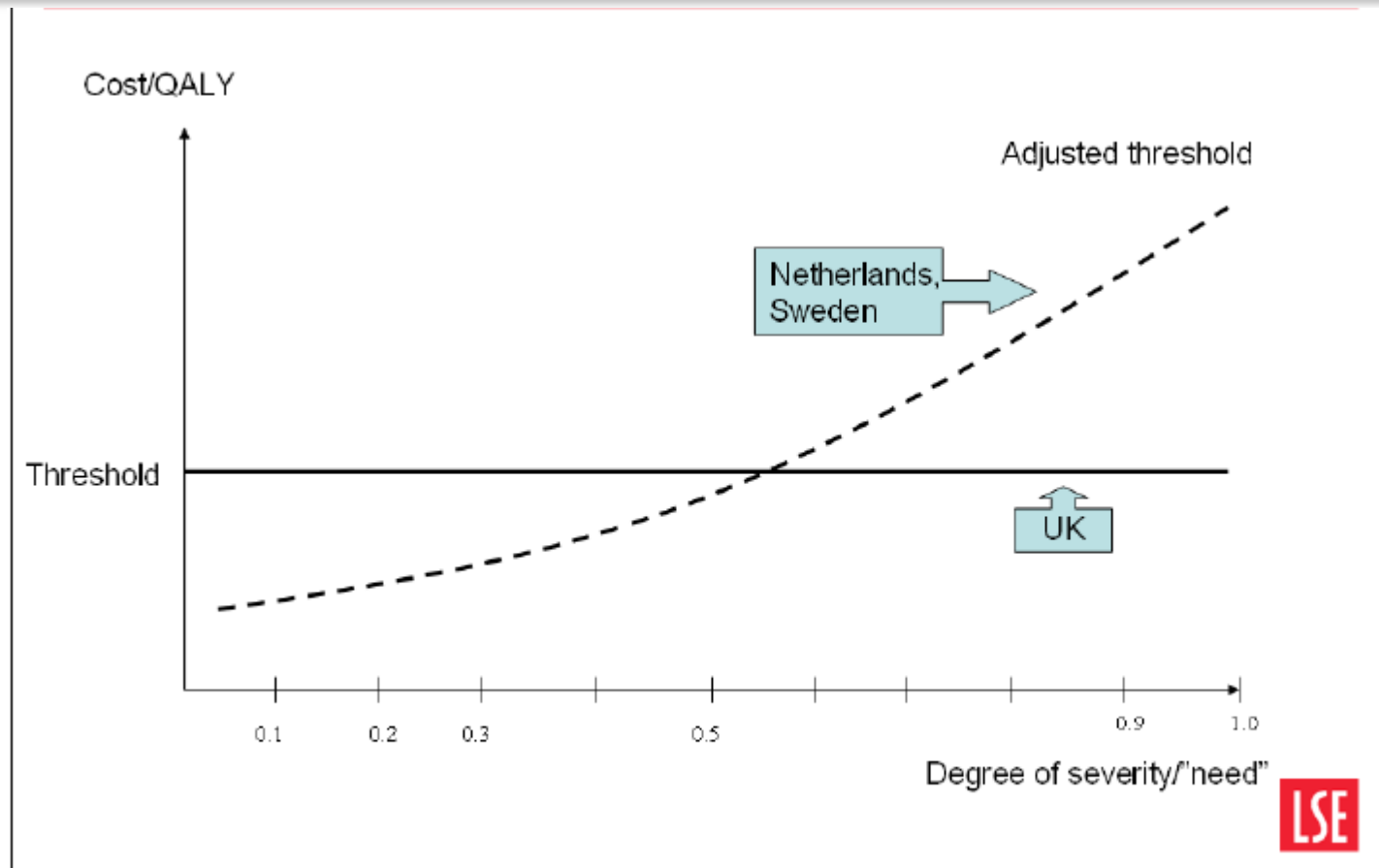
...K ČEMU TO POVEDE?

- Výrobci se ještě více budou vyhýbat správnému řízení vedenému SUKLeM
-individuální schvalování přes § 16:
 - *Příslušná zdravotní pojišťovna hradí ve výjimečných případech zdravotní služby jinak zdravotní pojišťovnou nehrazené, je-li poskytnutí takových zdravotních služeb jedinou možností z hlediska zdravotního stavu pojištěnce.*
- = **„stínový/šedý“ úhradový systém**
 - Neexistují předem daná kritéria ani časové lhůty
 - Proces je netransparentní a není možnost odvolání
 - Nejsou k dispozici žádné přehledy = nevíme, co je a co není hrazeno, ani za jakých podmínek

FLEXIBILNÍ WTP ANEB RŮZNÁ VÁHA PRO QALY



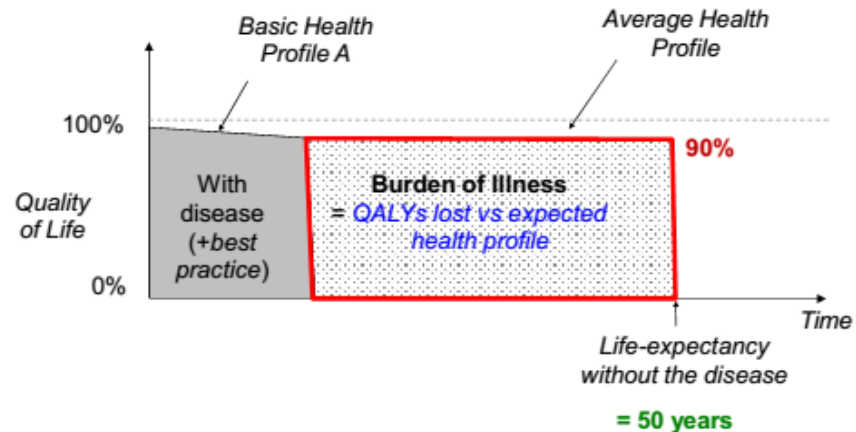
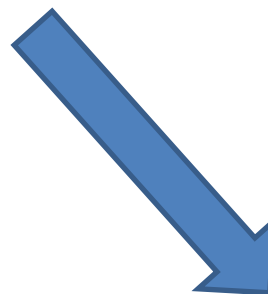
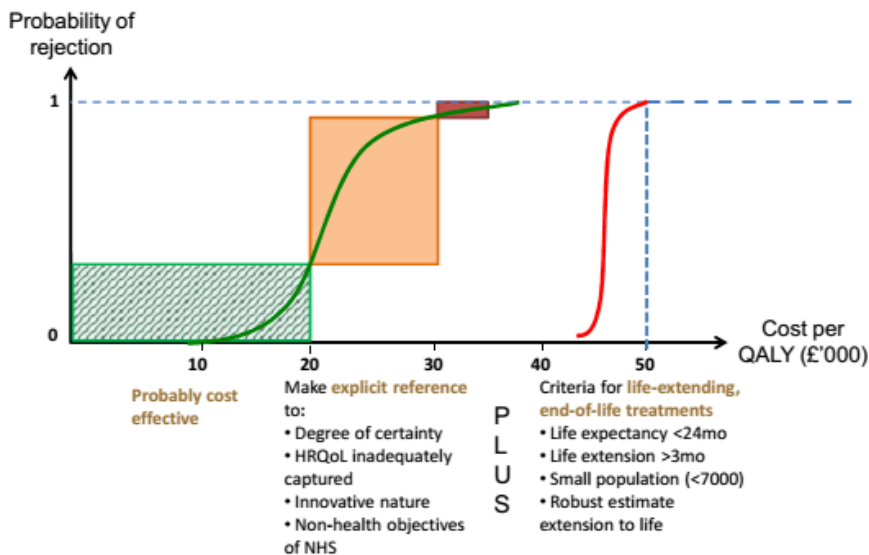
FIXNÍ VS. FLEXIBILNÍ HRANICE



Kanavos, Persson, Drummond 2009

VALUE BASED PRICING - UK 2014

Current decisionmaking



EPILOG

- **Národní strategie pro vzácná onemocnění na léta 2010 až 2020 (14.6. 2010)**
 - *„Cílem Národní strategie je zefektivnit diagnostiku a léčbu vzácných onemocnění a zajistit všem pacientům se vzácným onemocněním přístup k indikované a vysoce kvalitní zdravotní péči a následné sociální začlenění, a to na základě rovného zacházení a solidarity.“*
- **Národní akční plán pro vzácná onemocnění 2012-2014 (29.8. 2012)**
- **(5. Zlepšení dostupnosti a kvality péče pro pacienty s RD)**
 -zajistit všem pacientům se vzácným onemocněním rovnocenný přístup k indikované a vysoce kvalitní zdravotní péči a zavést taková organizační opatření, aby byly odstraněny bariéry v přístupu pacientů k takovéto péči.
 - V nejbližším dvouletém období je třeba vypracovat analýzu a návrh účelné a včasné farmakoterapie pomocí nákladných léčivých přípravků pro vzácná onemocnění (orphan drugs) v návaznosti na mezinárodně uznávané standardy a doporučené postupy ve smyslu zlepšení dostupnosti a efektivity péče.



Děkuji za pozornost !

www.iheta.org

dolezal@iheta.org