

Léky na vzácná onemocnění (orphan drugs) v České republice - jak dál?

kulatý stůl

27/9/2012 v 15:00 v Praze, hotel Yasmin, Politických vězňů 12, Praha 1

Účastníci kulatého stolu:

- Ministerstvo zdravotnictví (Mgr. F. Vrabel)
- Zdravotní pojišťovny (VZP - MUDr. JUDr. Petr Honěk, SZP - MUDr. Pavel Frěka, PharmDr. Běla Davidová)
- SÚKL (MUDr. Pavel Březovský, Mgr. Kateřina Podrazilová, MUDr. Alice Němcová)
- Zástupci pacientských organizací - ČAVO (Ing. Markéta Lhotáková)
- Odborné společnosti (Prof. Jan Švihovec; MUDr. Kateřina Kubáčková)
- AIFP (Bc. Radek Korbel, RNDr. Michaela Hrdličková)
- iHETA (MUDr. Tomáš Doležal, PharmDr. Jiří Klimeš)

Současná situace/ anotace

V České republice neexistuje dlouhodobá koncepce jak přistupovat k hodnocení a hrazení léčivých přípravků na vzácná onemocnění. Tato problematika nemá žádné legislativní zakotvení ani formální pravidla. Existují obavy, že léky na vzácná onemocnění jsou finanční hrozbou systému zdravotního pojistění, reálné analýzy ale nejsou k dispozici. Existuje potřeba vést otevřenou debatu o této problematice mezi jednotlivými stranami (pacientské organizace, státní správa, plátci zdravotní péče) a pokusit se definovat základní principy.

Cíle kulatého stolu

- zhodnotit současnou situaci v dostupnosti léčby a nákladech na léky pro vzácná onemocnění
- posoudit dostatečnost a vhodnost současného právního rámce
- analyzovat situace v jiných Evropských zemích (EU-15 vs. nové země EU)
- definovat finanční možnosti zdravotního pojistění
- diskutovat o dalším vývoji v této oblasti

Zápis z jednání kulatého stolu

Úvodem zazněla přednáška MUDr. Doležala (iHETA) prezentující situaci kolem léků na vzácná onemocnění (Orphan Drugs; ODs) stran jejich nákladovosti/ dopadu do rozpočtu plátců (zdravotních pojišťoven ČR), jejich dostupnosti k pacientům a systému vstupu na trh, respektive k pacientům a jejich posuzování systémem HTA (Health Technology Assessment), a to jak v Evropě, tak v České republice. Závěry této přednášky by se dali shrnout do několika bodů;

- Náklady na ODs v ČR představují asi 3,5 – 4,5% všech nákladů na léky pojišťoven v roce 2010, toto procento je přibližně stejné s ostatními Evropskými zeměmi
- Téměř polovinu (48%) nákladů na ODs představují léky na renální karcinom (RCC) a chronickou myeloidní leukémii (CML)
- V ČR je k aktuálnímu datu dostupných 74% ze všech registrovaných ODs v rámci EMA (Evropské agentury pro léčiva), toto číslo ovšem neznamená dostupnost v rámci úhrady dle seznamu hrazených léků vydaných SUKlem, ale představuje celkový počet léčiv, které prošly distribučním řetězcem v ČR (tedy formou i jiných úhradových mechanismů)
- V ČR neexistuje koncepční přístup k posuzování ODs v rámci systému HTA. Je diskutována na jedné straně vysoká medicínská a etická potřeba těchto léčiv, na druhé straně ODs přichází s menší kvalitou medicínské evidence a relativně vyšší pořizovací cenou, tedy jsou na tato léčiva hůře aplikovatelné klasické metody nákladové efektivity a v neposlední řadě požadavek být v rámci hranice ochoty platit (willingness to pay; WTP).

V rámci diskuze u kulatého stolu zazněly následující poznámky a komentáře.

MUDr. Březovský (SUKL) spatřuje potřebu v rámci legislativní změny, co do přístupu k ODs, jelikož zatím musí SUKL k těmto léčivům přistupovat v rámci kategorizace zcela stejným způsobem jako ke všem ostatním lékům. Na jedné straně zmiňuje důležitost ve smyslu dostupnosti těchto léků k pacientům (s odkazem na Národní akční plán) a na druhé straně zdůrazňuje udržitelnost rozpočtu veřejného zdravotního pojištění jakožto velice podstatný aspekt.

V neposlední řadě konstatuje, že dostupnost pacientů k ODs je v ČR a v EU obdobná.

MUDr. Němcová (SUKL) uvádí, že cest k používání a dostupnosti léčiv k pacientům (obzvláště ODs) je více a nejdá se tedy pouze o standardní přiznání úhrady z prostředků veřejného

zdravotního pojištění (p.v.z.p) v rámci správního řízení při SUKLu. Konkrétně MUDr. Němcová zmínila §8 zákona o léčivech (individuální dovoz neregistrovaného léku), tímto způsobem se platba/ úhrada přípravku realizuje buď prostřednictvím firmy nebo z p.v.z.p (po předchozí domluvě s pojišťovnou). Dalším způsobem je Specifický léčebný program (SLP), který často firmy hradí samy. A v neposlední řadě se jedná o používání v rámci klinického hodnocení (kdy firma poskytuje jak hodnocený přípravek, tak přípravek srovnávací).

Mgr. Podrazilová (SUKL) zdůrazňuje fakt, že režim úhrady VILP (vysoce inovativní léčivý přípravek) není pouze pro ODs a že OD ≠ VILP. Zároveň v rámci získávání výše a podmínek úhrady ODs vidí jistou naději ve smyslu příchodu nových guidelines SUKLu na provádění farmakoeconomického (FE) hodnocení, které budou proces kultivovat a standardizovat (nicméně připouští, že žádné výjimky pro FE hodnocení ODs v metodice nebudou). Obecně přijímané a citované charakteristiky ODs (potřeba ODs pro závažnost onemocnění pro které jsou používány a jejich inovativnost) vidí ukotvené v zákoně (o veřejném zdravotním pojištění) a mega-vyhlášce. Nicméně Mgr. Podrazilová připouští, že zásadně jiné požadavky, než jaké jsou kladený na klasická (non-ODs) léčiva v rámci stanovování výše a podmínek úhrady ODs, zákon SUKLu neukládá.

Mgr. Vrubel (MZd) zdůrazňuje, že náklady za ODs jistě nelze chápat pouze jakožto náklady, které pramení pouze z výše a podmínek úhrad stanovených cestou správních řízeních a k již uvedenému (viz. MUDr. Němcová) přidává lékový paušál zdravotnického zařízení, dále § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění a v neposlední řadě vzorky (které jsou v prvém okamžiku sice zdarma, ale v případě chronického onemocnění tyto náklady dříve či později případně převezmou zdravotní pojišťovny).

MUDr. Honěk (VZP) spatřuje v rámci § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění značné náklady z p.v.z.p. *Přislíbil, společně s MUDr. Frňkou (SZP)*, že konkrétní číslo (procento nákladů na ODs, které jsou hrazeny cestou §16 vůči celkovým nákladům na ODs z p.v.z.p) dodá. Zároveň v podobě §16 spatřuje jisté obcházení systému stanovování úhrady, kdy firmy v jistých případech cíleně nežádají o úhradu cestou správního řízení (z obavy případného odmítnutí SUKLem).

MUDr. Frňka (SZP) zmiňuje a připomíná další aspekt nákladů na ODs, kterým jsou náklady na léky, které jsou používány v rámci off-label indikací právě za účelem léčby vzácných onemocnění (přičemž samy o sobě tato léčiva ODs nejsou).

Ing. Lhotáková (ČAVO) prezentuje pohled pacientů, kdy se zdá, že pro vstup ODs je mnoho pravidel, které tyto léky mají problém splnit, případně toto řízení trvá příliš dlouho a pacienti se k lékům dostávají moc pozdě. Zároveň zmiňuje problematický status dočasné úhrady v tom smyslu, co se stane, až úhrady skončí? (pozn.: Zřejmě by stálo za zvážení, zda by s

tuto skutečností (dočasnost úhrady) neměl být seznámen každý pacient, než bude na terapii nasazen).

Zároveň Ing. Lhotáková zdůrazňuje dopad vzácných onemocnění i do jiné oblasti než „pouze“ nákladů z p.v.z.p, především do oblasti sociální (nepřímé náklady; ztráta produktivity a nemožnost aktivně přispívat na zdravotní pojištění – pacient tak státním pojištěncem). Současně si ovšem uvědomuje stávající nastavení, tedy oddělení zdravotního a sociálního systému.

Mgr. Vrubel (MZd) v rámci diskuze zdůrazňuje posoudit v prvé řadě terapeutický přínos ODs. V souvislosti s tímto vyjadřuje/ vyslovuje otázku, zda opravdu je správné hradit všechna ODs z p.v.z.p., především ta pro „léčbu na konci života“ (end-of-life treatment), kde benefit představuje relativně malé zlepšení (např. celkového přežití). Mgr. Vrubel tedy zdůrazňuje potřebu WTP hranice (hranice ochoty platit), jako vhodnější se mu zdá plovoucí hranice, nikoli jedna hodnota WTP stejná pro všechna léčiva. Zároveň tak vyslovuje obavu, aby tato hranice nebyla stanovena zcela neuváženým rozhodnutím.

MUDr. Kubáčková (OS) částečně souhlasí s Mgr. Vrubelem, že mnoho léků na vzácná onemocnění pro léčbu typu „end-of-life treatment“ nedosahuje velkého přínosu.

Zároveň vyslovuje jistou obavu, že především tzv. ultra ODs (5 -10 pacientů v ČR) budou mít velký problém se dostat z režimu VILP do trvalé úhrady při současném systému kategorizace léčiv. V současné době neexistuje specifická metodika hodnocení pro ODs. Na úrovni Evropy se diskutuje metodika CAVOMP (Clinical Added Value of Orphan Medicinal Products) navržená EUUCERD (European Union Committee of Experts on Rare Diseases).

Prof. Švihovec (OS) zdůrazňuje potřebu farmakoekonomického hodnocení i pro ODs, kdy by byla uplatňována flexibilní WTP hranice v rámci analýzy nákladové efektivity a především zdůrazňuje oddělit proces hodnocení (assessment) od procesu rozhodování (appraisal) jak je nastaveno v rámci správě fungujícího HTA systému (Health Technology Assessment). V souvislosti s tímto samozřejmě zdůrazňuje určení WTP i pro non-ODs léčiva.

Především se odkazuje na francouzskou HTA agenturu (HASS), kdy je u ODs posuzován a kladen veliký důraz na etický rozdíl a celkový dopad do rozpočtu před samotnou výší ICER (inkrementální poměr nákladů a přínosů).

MUDr. Frňka (SZP) zmiňuje posun k lepšímu ve smyslu současného nastavení sdílení informací o účinnosti léčby u VILP, kdy namísto původního vlastnictví těchto informací pouze zdravotnickými zařízeními jsou tyto dostupné i zdravotním pojišťovnám.

Zároveň apeluje na to, aby v době, kdy je konkrétnímu léčivu (OD) přiznávaná dočasná úhrada byla jeho účinnost dostačně prokázána (aby se tak nejednalo o pouhé „odkládání“ zásadního rozhodnutí o ne/zařazení příslušného OD do systému úhrad).

MUDr. Honěk (VZP) se vyjadřuje k 3leté lhůtě pro ODs v režimu VILP, a částečně polemizuje nad tím, zda opravdu stihne držitel rozhodnutí o registraci sesbírat za toto období všechna relevantní data, jak mu to ukládá současné nastavení systému.

Zároveň zdůrazňuje důležitost a následně i závaznost prováděných analýz dopadů do rozpočtu (BIA), kdy by tato měla být jistým podkladem pro případné dohody o sdílení rizik (risk-sharing).

RNDr. Hrdličková (AIFP) zmiňuje, že risk-sharingová schémata průmysl vítá a doufá v jejich brzké uplatňování.

Bc. Korbel (AIFP) zdůrazňuje fakt, proč vznikl vlastně v rámci lékových agentur status OD. Tedy, že tato léčiva „potřebují“ jisté pobídky a mírnější pravidla pro samotnou registraci. Je tedy jednoznačně pro jistá pravidla hodnocení ODs v rámci jejich vstupu na trh, ovšem tato by měla mírnější, jinak dle optiky klasických non-ODs léčiv budou tato pravidla ODs velice špatně splňovat.

MUDr. Frňka (SZP) a Mgr. Vrubel (MZd) trvají na procesu HTA i pro ODs, který by v rámci procesu hodnocení (assessment) měl být zcela stejný jako pro non-ODs, přičemž k faktu, že se jedná o OD by mělo být přihlášeno v rámci finálního rozhodnutí (appraisal).

Mgr. Vrubel (MZd) se v závěru setkání vrací k ODs v rámci režimu VILP, kdy zdůrazňuje, že pro jistá léčiva by toto dočasné úhradové omezení (2 + 1 rok) nemuselo být pouze právě v horizontu 3 let, ale mohla by jistá ODs být hrazená podmíněně po delší dobu, než právě zatím uplatňované 3 roky.

Zároveň Mgr. Vrubel uvítal tuto iniciativu Kulatého stolu a navrhnul možnost pravidelných schůzek na toto téma, tedy vznik jisté platformy na konkrétní řešení tohoto problému v souvislosti s novelizací zákona 48/1997, který upravuje úhrady léčivých přípravků.