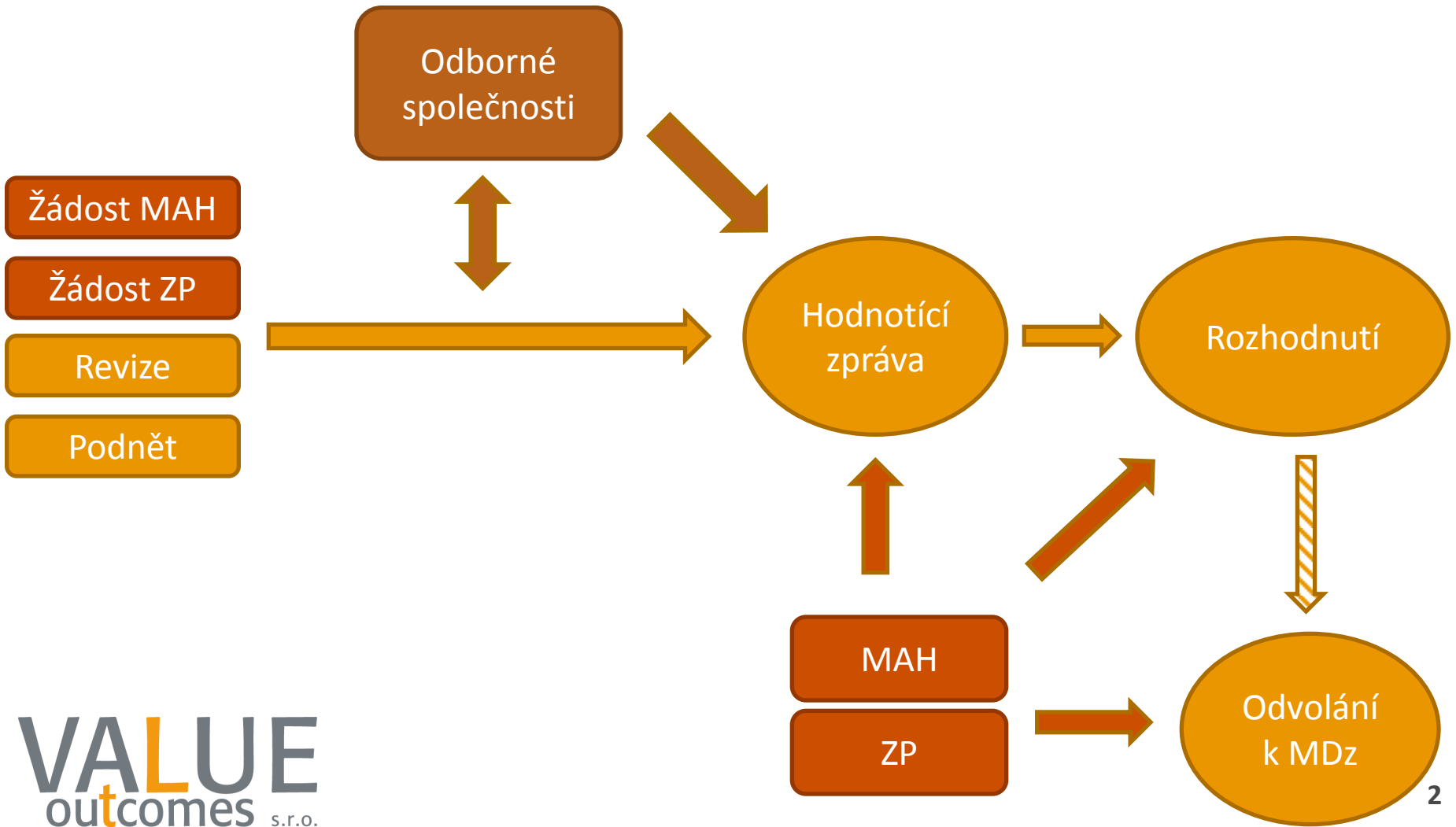


**Základní principy cen a úhrad
Řízený vstup inovativních léčiv/risk-sharing
- přehled principů + příklady**

Tomáš Doležal

25.11.2016

Správní řízení vedené SUKLeM

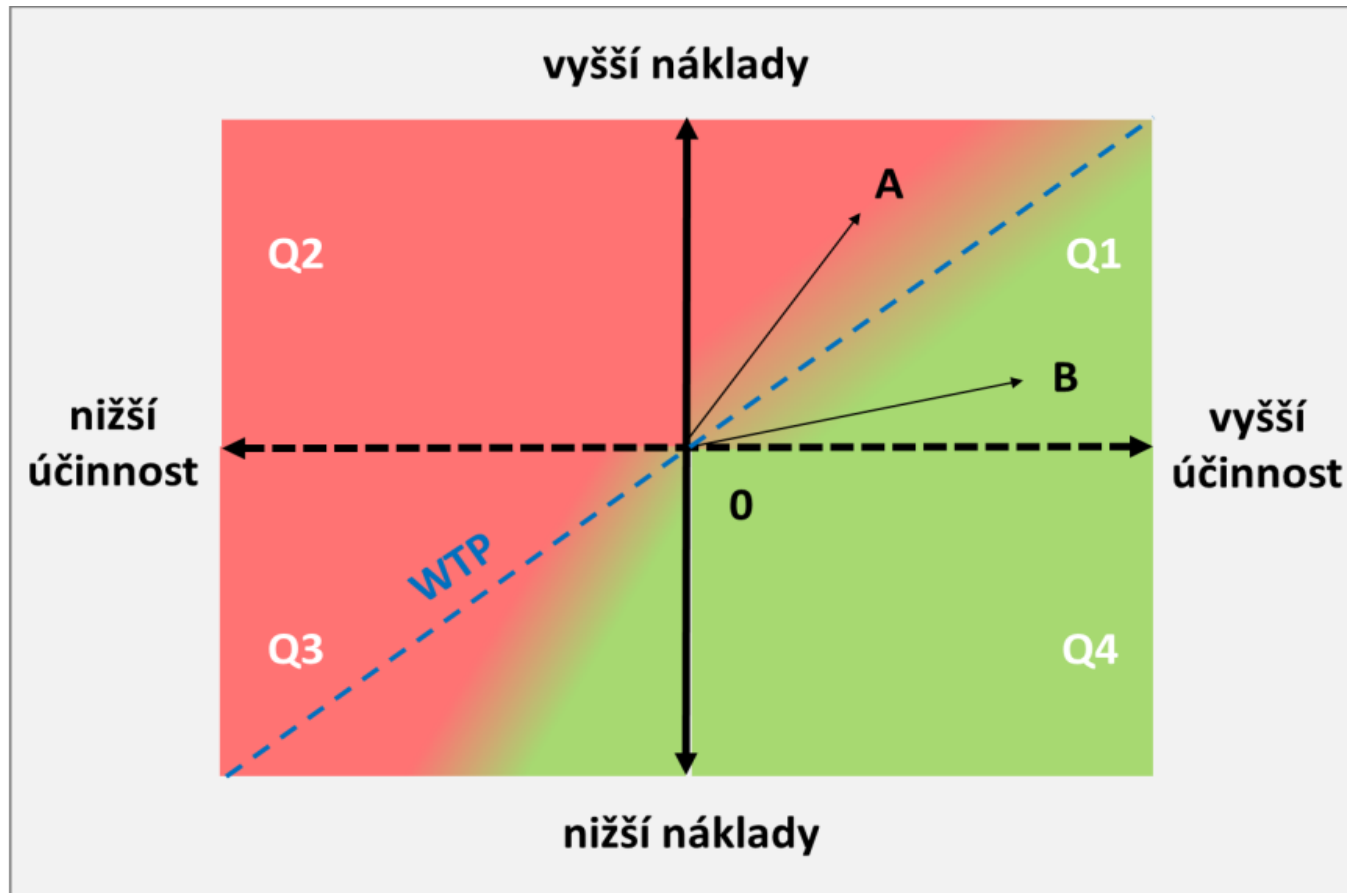


§ 39B - ZÁSADY STANOVENÍ NEBO ZMĚN VÝŠE A PODMÍNEK ÚHRADY LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ

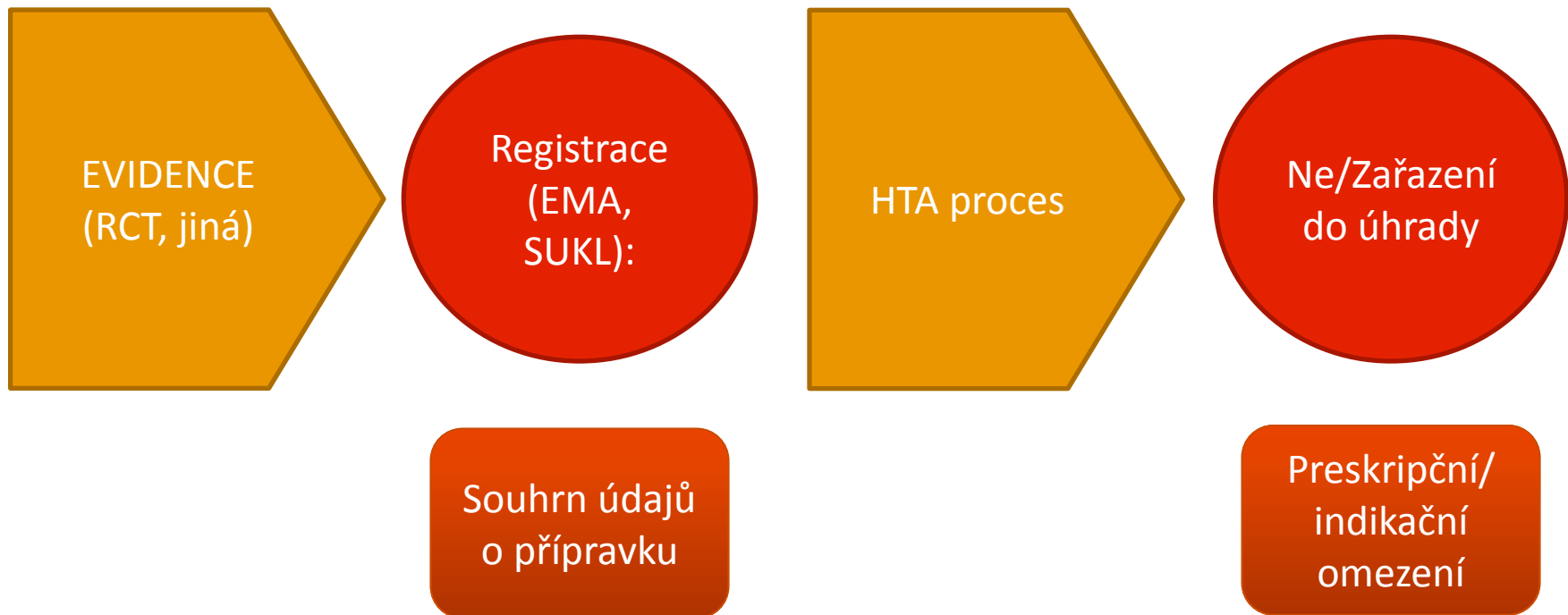
- Kriteria hodnocení

- **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**

Diagram vztahu/ závislosti nákladů a výstupů (outcomes) terapie - interpretace ICER ve smyslu přijmutí/ odmítnutí nové technologie



Postup regulace LP



MEA/PAS/risk-sharing - obecné principy

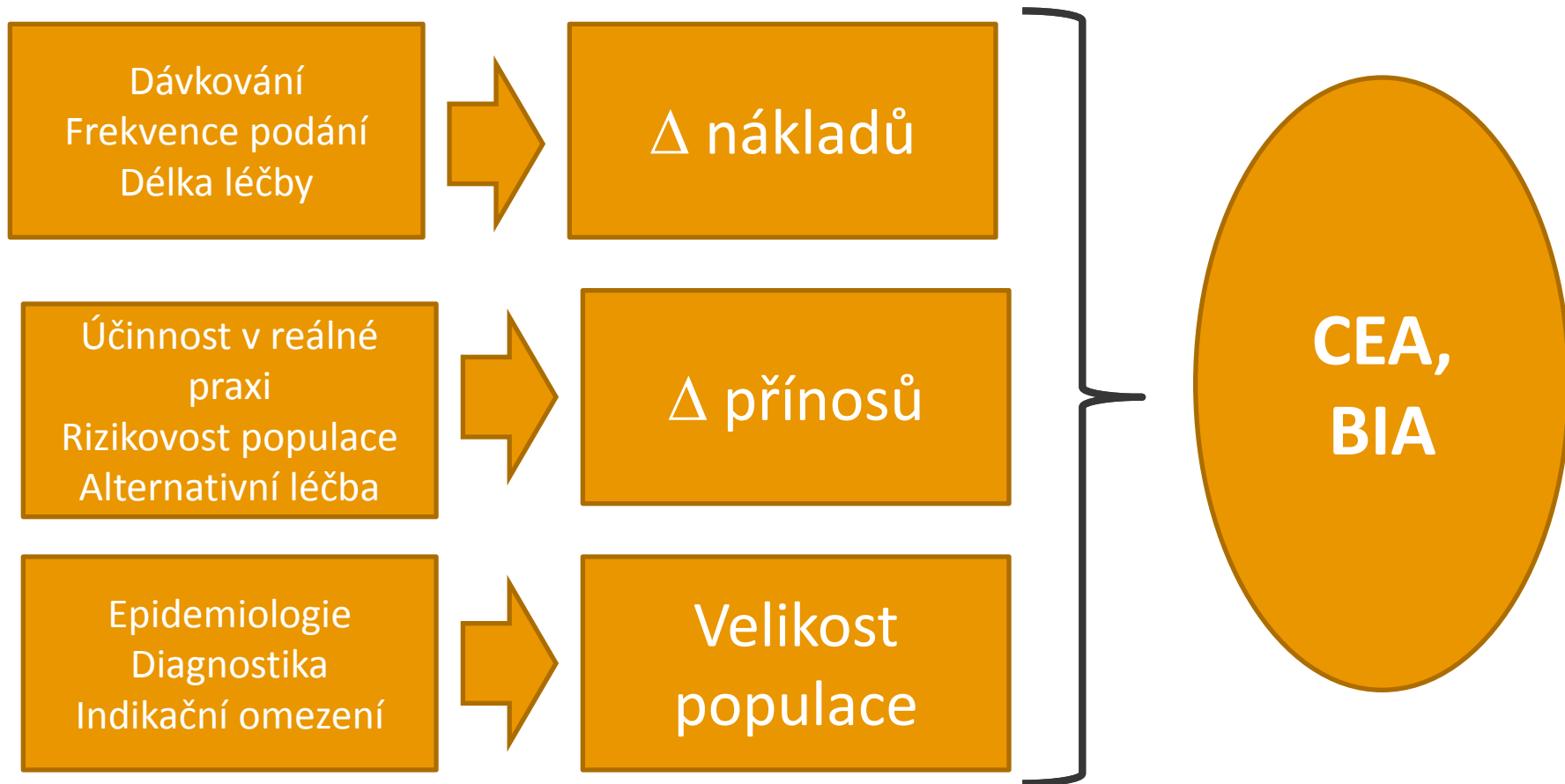
PROČ?

- 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

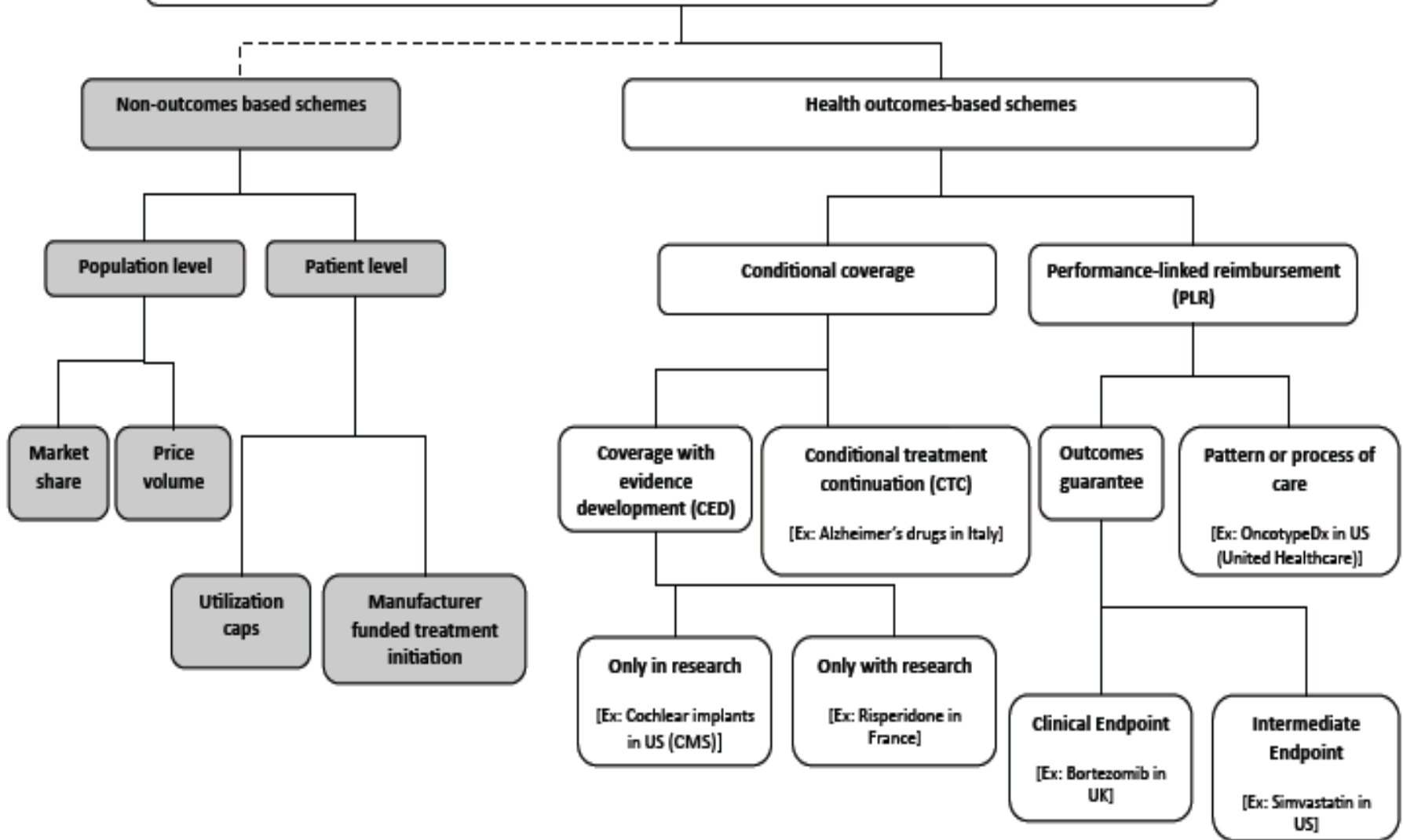
PRINCIP ROVNOVÁHY RIZIKA

- **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“)

Výhody a nevýhody

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

Performance-based schemes between health care payers and manufacturers



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

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

MEA/PAS/risk-sharing - aplikace v ČR

Případy, kdy ZP vyžadují RS dohodu

- **Analýza nákladové efektivity s vysokým ICER**
 - = cesta ke slevě, SUKL není ochoten pozitivně rozhodnout před dosažením dohody
 - může se jednat o VILP nebo non-VILP
- **Lék, který není schopen doložit nákladovou efektivitu/VILP**
 - orfany, kde je ICER nad hodnotou 3 mil. Kč/QALY
 - nedává smysl ICER prezentovat
- **Lék s nízkým ICER (pod 3xHDP) a vysokým dopadem na rozpočet**
 - hraniční objem není definován, leží někde mezi 20 a 50 mil. Kč/rok

MEGAVYHLÁŠKA – „SMLOUVA O SDÍLENÍ RIZIK“

- Limitace celkových nákladů léčby VILP
- Poskytnutí slev z ceny VILP
- Vazba úhrady na smluvně stanovenou míru účinnosti či výsledek léčby
 - Outcomes/performance-based

Schémata, která se aplikují

- **Budget-cap + pay-back (limitace celkových nákladů)**
 - při vysokém dopadu na rozpočet s obtížně kontrolovatelnou preskripcí
 - např. diabetologie (nová antidiabetika/FORXIGA)
- **Sdílení nákladů (cost-sharing)**
 - výrobce nabízí kompenzaci za přesně definovaný náklad ZP
 - GILENYA v terapii MS – náklady na monitorování
- **Prostá sleva z ceny (discount)**
 - promlematicky vykonatelné – cena pro zdravotnické zařízení klesá, ale úhrada zůstává
 - možno také pay-backem
- **Outcome-based (vazba na parametr účinnosti)**
 - málo využívaná/nutnost klinického registru
 - pozitivní i negativní vymezení, tj. nejen odměna, ale také penalizace

Praktické provedení

- **1. Schémata, která jsou upravena v IO**
 - vazba na konkrétní klinický parametr
 - ne vždy ale musí být outcome-based – čisté zastropování
 - vynutitelná na předepisujícím/centru

- **2. Schémata (neveřejná) vyplývající z dvoustranné smlouvy mezi výrobcem a zdravotní pojišťovnou**
 - zastropování/slevy
 - neovlivňují praktický způsob použití
 - ALE, mohou ovlivnit reálnou dostupnost (efekt 101. pacienta)

RS schémata v ČR

- **QUTENZA/kapsaicin**
 - Terapie je z prostředků veřejného zdravotního pojištění hrazena až od druhé aplikace pacientům, kterým bylo léčivo poskytnuto bezplatně k první aplikaci a jeho podání vedlo k dostatečné terapeutické odpovědi (zaznamenané v klinické dokumentaci a definované jako minimálně 30% pokles intenzity bolesti ve srovnání s výchozím stavem).
- **ALIMTA/pemetrexed**
 - v 1. linii léčby v kombinaci s cisplatinou lokálně pokročilého nebo metastazujícího karcinomu plic pouze diagnosticky prokázaného adenokarcinomu a velkobuněčného histologického typu. Přípravek je podáván až do progresu onemocnění, z prostředků veřejného zdravotního pojištění jsou hrazeny maximálně 4 cykly léčby
- **REVLIMID/lenalidomid**
 - V případě dosažení parciální remise po 4 cyklech léčby lze pokračovat až do dosažení kumulativní dávky 4200 mg. V případě kompletní remise lze podat maximálně dva cykly lenalidomidu navíc, nikoliv však nad rámec kumulativní dávky. Léčba lenalidomidem se ukončí, pokud po 4. cyklu kombinované léčby nedojde alespoň k parciální remisi, nebo kdykoliv v případě progresu, obojí dle kritérií EBMT/IMWG.

RS schémata v ČR – II.

- **VIDAZA**

- azacitidin je hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění v první linii léčby myelodysplastických syndromů (MDS) intermediárního rizika 2. stupně a vysokého rizika podle Mezinárodního prognostického skórovacího systému (IPSS), chronické myelomonocytové leukémie (CMML) s 10-29%
- Po 6ti podaných cyklech se terapie ukončí, pokud není dosaženo alespoň hematologického zlepšení (pokles počtu blastů v kostní dřeni o více nebo rovno 25%). Pokud po 6ti podaných cyklech došlo alespoň k hematologickému zlepšení (pokles počtu blastů v kostní dřeni o více nebo rovno 25%), pacientům je hrazena terapie do dosažení částečné nebo úplné odpovědi na léčbu. Následně se podají nejvýše 2 cykly léčby pro konsolidaci stavu pacienta, nejvýše však celkem 14 cyklů jednomu pacientovi.

- **VICTOZA**

- Liraglutid je ke zvýšené úhradě indikován v kombinaci s metforminem a sulfonylureou u pacientů, u kterých není při podávání maximálních tolerovaných dávek perorálních přípravků (včetně gliptinu nebo thiazolidindionu) po dobu alespoň 3 měsíců dosaženo dostatečné kontroly diabetu definované jako hladina HbA1C nižší než 6,0 % dle IFCC a zároveň při obezitě II. a vyššího stupně definované jako BMI nad 35. Nedojde-li k prokazatelnému zlepšení kompenzace diabetu a 10% či vyššímu poklesu hladiny HbA1C bez současného vzestupu tělesné hmotnosti po 6 měsících léčby, není liraglutid dále indikován. Z prostředků veřejného zdravotního pojištění je hrazeno pouze jedno předplněné pero po dobu 15 dnů. Dávkování nad 1,2mg denně není z prostředků veřejného zdravotního pojištění hrazeno.