

The image features a central horizontal band with a light greenish-yellow background. On the left side of this band, there is a close-up of microscope lenses with technical markings such as '0.25', '0.17', and '40X'. On the right side, there is a glass jar filled with coins, with some papers and a pen visible in the background. A dark blue diagonal line separates the two images. The text 'RAPORT' is positioned on the left side of the band, and 'INNOWACJE' is on the right side.

RAPORT

INNOWACJE

fundusz medyczny

KRAKÓW 2021

raport przygotowany przez:



HTA Consulting

ul. Starowiślna 17/3
31-038 Kraków
hta.pl

Autorzy

Magdalena Władysiuk
Robert Plisko

Opracowanie graficzne

Katarzyna Kapcia
Arkadiusz Galiński

Korekta językowa

Małgorzata Faron

Współpraca i wsparcie merytoryczne w kwestiach prawnych:

Paweł Ryś
Julita Dziedzic



KANCELARIA PRAWA RYŚ I WSPÓŁPRACOWNICY

Kraków 2021

cytowanie:

Władysiuk M., Plisko R. *Innowacje. Fundusz Medyczny*, Kraków 2021

1 / cel
I ZAŁOŻENIA RAPORTU

2 / dlaczego i dla kogo
POWSTAŁ FUNDUSZ MEDYCZNY

3 / finansowanie
FUNDUSZU MEDYCZNEGO

4 / ścieżka
refundacyjna

5 / kryteria

6 / negocjacje
cenowe

1

cel

I ZAŁOŻENIA RAPORTU

Wprowadzenie

Celem raportu jest przedstawienie konsekwencji systemowych związanych z wprowadzeniem nowego modelu dostępu do innowacyjnych leków w Polsce w świetle ustawy o Funduszu Medycznym.

Od wielu lat w Polsce prowadzona jest dyskusja nad zwiększeniem dostępności do nowych technologii lekowych zwanych też innowacyjnymi, szczególnie w leczeniu chorób rzadkich oraz onkologicznych. Założenia zmian systemowych dla leków do 2022 roku zostały przedstawione w Polityce Lekowej Państwa 2018-2022 oraz w zapowiedziach zapisów Narodowego Planu Chorób Rzadkich.

Ustawa o Funduszu Medycznym

26 listopada 2020 r. weszła w życie Ustawa o Funduszu Medycznym, z inicjatywy Prezydenta RP, która znówelizowała przepisy ustawy refundacyjnej. Wprowadziła ona nowe ścieżki refundacyjne dla technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności oraz wysokiej wartości klinicznej, a także zmieniła przepisy dotyczące dostępu do leków w ramach RDTL.

Podstawa prawna

Ustawa z dnia 7 października 2020 roku o Funduszu Medycznym (Dz.U. z 2020 r. poz. 1875).

Zmienione akty prawne:

- Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (dalej: „ustawa refundacyjna”) (Dz. U. 2011 Nr 122 poz. 696),
- Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. 2004 Nr 210 poz. 2135),
- Ustawa z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia (Dz.U. z 2011 r., Nr 113, poz. 657),
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 8 stycznia 2021 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu, o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. z 2021 r. poz. 74).

FM jest częściową odpowiedzią na cele postawione w Polityce Lekowej Państwa

„Polityka lekowa realizowana jest w szczególności poprzez zapewnienie pacjentom możliwości faktycznego korzystania z niezbędnej farmakoterapii. Finansowanie leków ze środków publicznych służy zapewnieniu największej możliwej dostępności poprzez ograniczenie barier ekonomicznych. Szczególne wyzwanie stanowi kwestia dostępności do innowacyjnych technologii lekowych zgodnie z wytycznymi klinicznymi i standardami europejskimi.

Warto rozważyć odstępstwo od ogólnie przyjętej procedury oceny leków w przypadku terapii stosowanych w chorobach rzadkich i ultraradkich, z zachowaniem ich kosztowej efektywności i wpływu na budżet”.

POLITYKA LEKOWA PAŃSTWA 2018-2022

Fundusz medyczny

4 mld zł rocznie

dotychczasowych środków finansowych na ochronę zdrowia



„Skuteczna, bezpieczna i racjonalna farmakoterapia jest jednym z fundamentów efektywnego systemu ochrony zdrowia”

POLITYKA LEKOWA PAŃSTWA 2018-2022



Racjonalność

=
promowanie rozwiązań efektywnych kosztowo (E/K) stosowania leków przez pracowników ochrony zdrowia i pacjentów

POLITYKA LEKOWA PAŃSTWA 2018-2022

Jednym z głównych celów wprowadzenia Funduszu Medycznego jest wsparcie dostępu do najnowszych terapii, szczególnie w chorobach rzadkich i onkologicznych, jako odpowiedź na potrzeby pacjentów w zakresie ochrony zdrowia i zidentyfikowanych problemów.



lepsz
infrastruktura
ochrony zdrowia



profilaktyka,
diagnostyka
i leczenie chorób
cywilizacyjnych,
w tym
nowotworowych
i rzadkich



ułatwienie pacjentom
z chorobami
nowotworowymi
i rzadkimi dostępu
do najnowszych
terapii lekowych
i metod leczenia,
również za granicą



poprawa
jakości życia
pacjentów
i ich rodzin



gwarancja
bezlimitowych
świadczeń szpitalnych
i specjalistycznych
dla dzieci



2

dlaczego
i dla kogo
POWSTAŁ FUNDUSZ MEDYCZNY?

Dostęp do leków

A FUNDUSZ MEDYCZNY

Wprowadzenie Funduszu Medycznego poprzez zapewnienie dodatkowych środków finansowych ma poprawić dostęp do nowych leków poprzez zwiększenie liczby leków refundowanych, w tym w chorobach rzadkich i onkologicznych, a także skrócenie czasu podejmowania decyzji.

Dostęp do leków onkologicznych w Polsce

Oncoindex

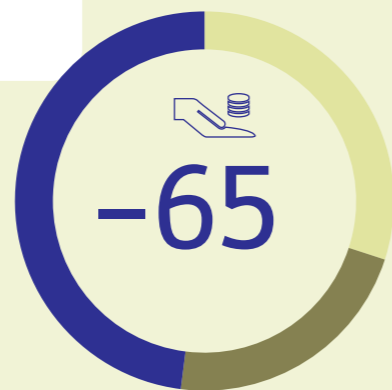
Leki zarejestrowane w okresie 15 lat przez Europejską Agencję Leków (EMA), a następnie zarekomendowane przez Europejskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (ESMO)



128

ŁĄCZNA ILOŚĆ SUBSTANCJI REKOMENDOWANYCH PRZEZ ESMO

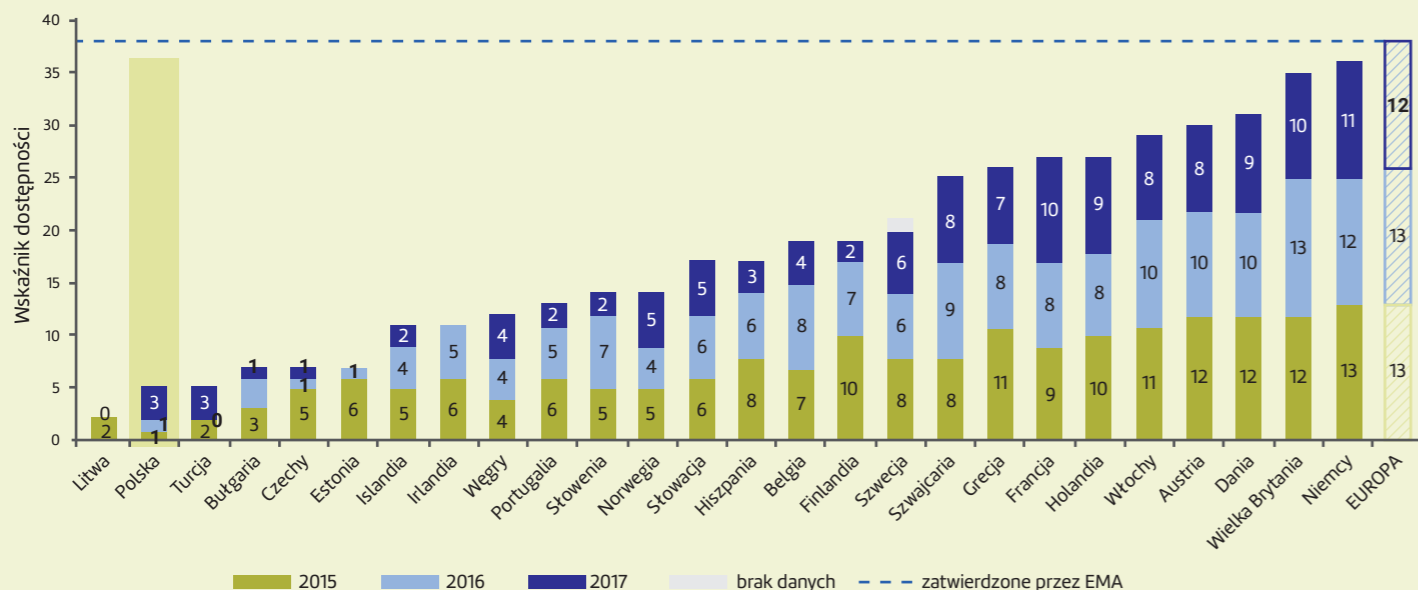
61 (48%)
BRAK REFUNDACJI



39 (30%)
REFUNDACJA
Z OGRANICZENIAMI

28 (22%)
PEŁNA REFUNDACJA

Wskaźnik dostępności leków w Polsce w chorobach rzadkich (liczba leków sierocych) jest jednym z najniższych w Europie (stan na koniec 2018 r.)

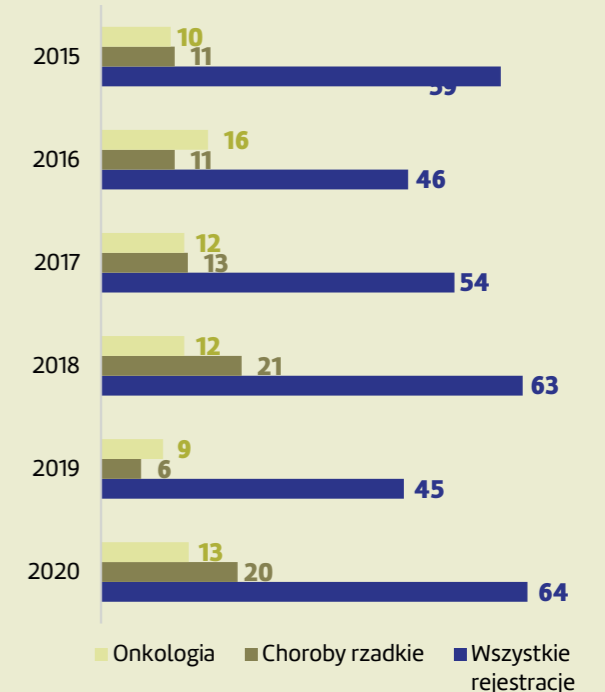


„Polska jest przykładem kraju charakteryzującego się dużymi opóźnieniami i niskim dostępem terapii dla pacjentów.

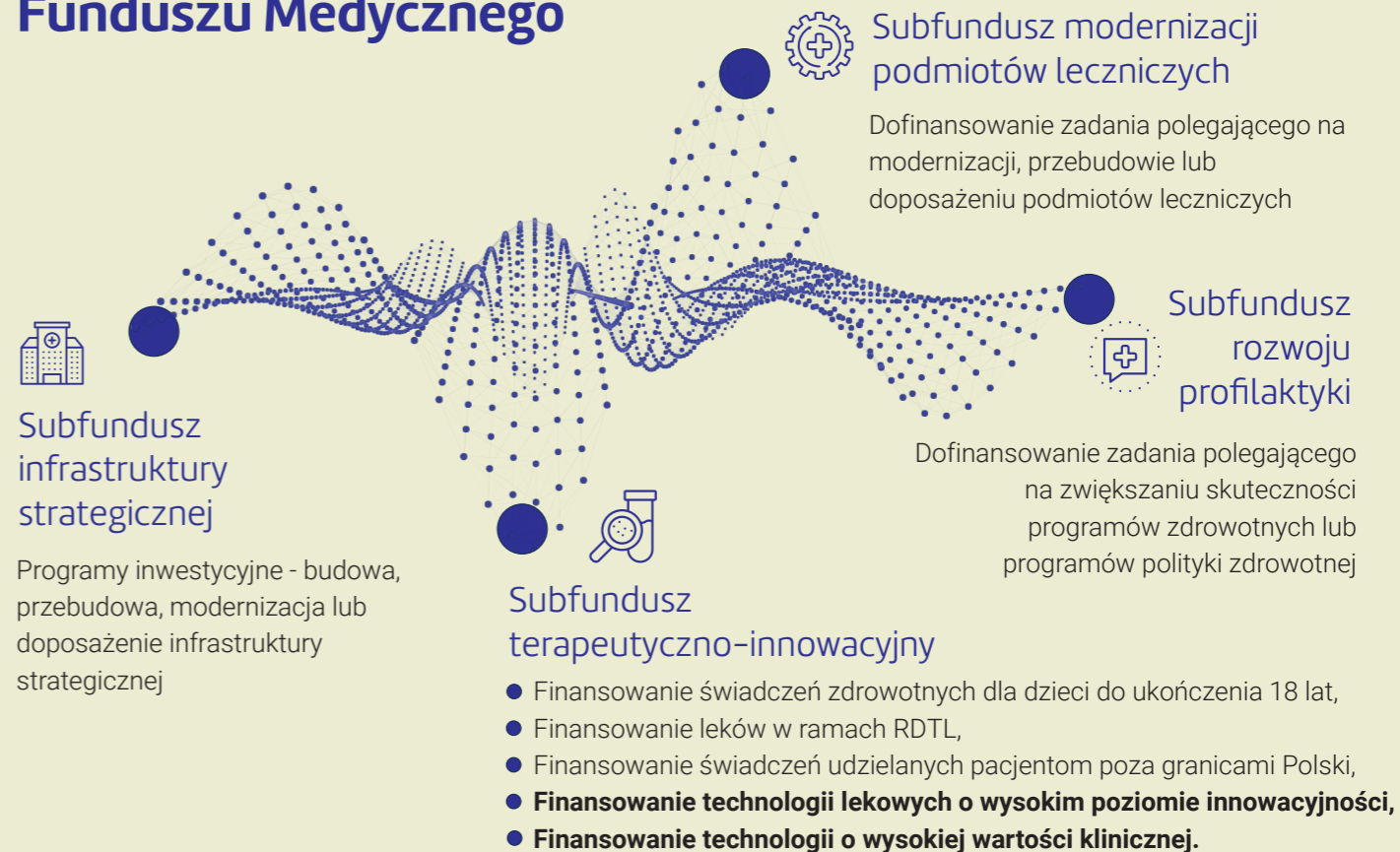
W Polsce czas od rejestracji do refundacji innowacyjnej terapii onkologicznej wynosi średnio 891 dni. A w ciągu pierwszych 12 miesięcy po refundacji tylko 24% pacjentów ma dostęp do terapii. Można to wyjaśnić faktem, że wnioski o refundację są składane później w Polsce niż w krajach zachodnich, proces podejmowania decyzji jest długi i/lub pozytywne decyzje refundacyjne są podejmowane dla podgrupy całej populacji pacjentów, dla której wydano pozwolenie na dopuszczenie do obrotu (co może być spowodowane wynikami wpływu na budżet w kontekście stosunkowo niskiego PKB).”

VINTURA, 2020. EVERY DAY COUNTS – IMPROVING TIME TO PATIENT ACCESS TO INNOVATIVE ONCOLOGY THERAPIES IN EUROPE.

Nowe rejestracje EMA w latach 2015–2020



Struktura Funduszu Medycznego



Fundusz Medyczny a realizacja priorytetów Polityki Lekowej Państwa na lata 2018–2022

W celu osiągnięcia wyznaczonych na wstępie celów strategicznych ustanowionych zostało dziesięć priorytetowych celów szczegółowych dla polityki lekowej w Polsce:



Polska

nie jest pierwszym krajem, który wprowadza dedykowane rozwiązania w chorobach rzadkich czy w onkologii. Jednocześnie tylko dla leków innowacyjnych Polska zrezygnowała z oceny pełnego raportu HTA, w celu uproszczenia procedur.

HTA **tak / nie**

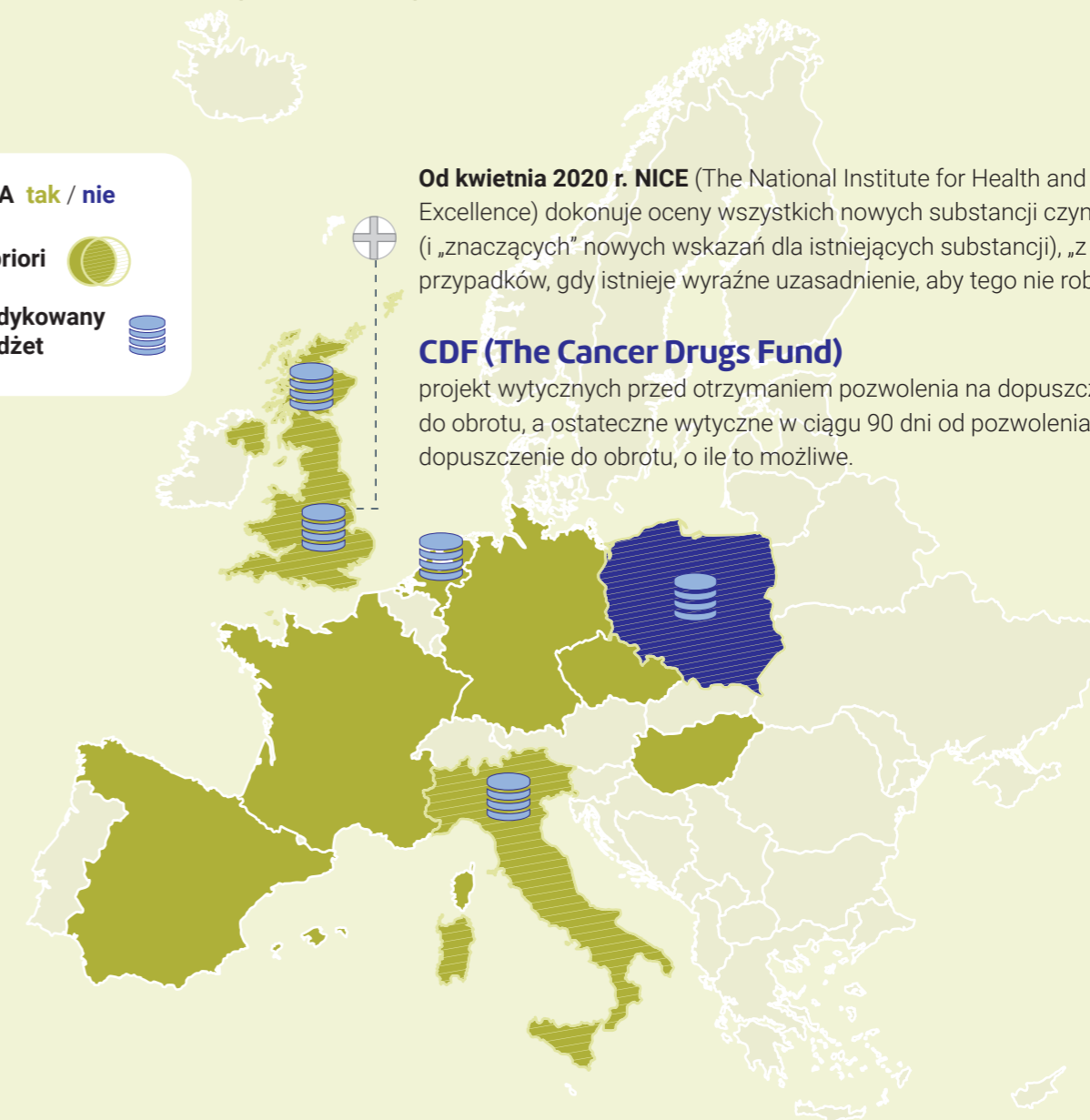
a priori

dedykowany budżet

Od kwietnia 2020 r. NICE (The National Institute for Health and Care Excellence) dokonuje oceny wszystkich nowych substancji czynnych (i „znaczących” nowych wskazań dla istniejących substancji), „z wyjątkiem przypadków, gdy istnieje wyraźne uzasadnienie, aby tego nie robić”.

CDF (The Cancer Drugs Fund)

projekt wytycznych przed otrzymaniem pozwolenia na dopuszczenie leku do obrotu, a ostateczne wytyczne w ciągu 90 dni od pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, o ile to możliwe.



Podsumowanie głównych zmian systemowych w refundacji leków w Funduszu Medycznym



- RDTL – uproszczenie procesu i zwiększenie finansowania,
- Wprowadzenie pojęcia innowacyjności i odrębnej ścieżki dla nowych leków innowacyjnych,
- Wprowadzenia obowiązku prowadzenia rejestrów, co może prowadzić do zwiększenia stosowania porozumień podziału ryzyka (RSA - *risk sharing agreement*) opartych na efektach klinicznych,
- Uproszczenie wniosku refundacyjnego dla leków o wysokim poziomie innowacyjności i wyznaczenie dodatkowych gwarantowanych środków w procesie.



- Zastrzeżenia prawne do procesu tworzenia i sposobu redakcji ustawy o Funduszu Medycznym,
- Jednorazowa ocena leków zarejestrowanych po 1 stycznia 2017, poza lekami stosowanymi w chorobach rzadkich i onkologicznych w ramach wykazu leków o wysokiej wartości klinicznej,
- Niejasności dotyczące definicji i szczegółów procesu, metodyki oceny i dostępu do danych,
- Zwiększenie presji cenowej na nowe technologie lekowe:
 - Potencjalne ograniczenie wielkości budżetu na leki innowacyjne,
 - W przypadku delistacji produktu istnieje konieczność dalszego finansowania leku przez firmę farmaceutyczną u pacjentów, u których terapia została wcześniej rozpoczęta,
 - Cena technologii lekowej w kolejnej decyzji refundacyjnej nie może być wyższa niż efektywna cena w aktualnej decyzji refundacyjnej.

Definicje

LEK / TECHNOLOGIA MEDYCZNA / TECHNOLOGIA LEKOWA



W ustawie o Funduszu Medycznym wskazano, że uwzględniane nowe terapie będą oceniane i refundowane jako technologie lekowe. Wykazami nie mogą być objęte leki już refundowane, tym samym przypadki rozszerzenia refundacji (nowe wskazania) przy tworzeniu wykazów – wysokiej wartości klinicznej czy wysoce innowacyjne – nie zostaną uwzględnione.



W Ustawie o Funduszu Medycznym zostało wskazane, że ocenie będą podlegać technologie lekowe, lecz do wykazów AOTMiT mogą być włączone leki dopuszczone do obrotu po terminach wskazanych ustawą.

Przepisy ustawy wskazują, że pojęcie leku jest pojęciem szerszym niż technologia lekowa, czyli lek stosowany w danym wskazaniu. Nie będą podlegać ocenie przez AOTMiT leki, dla których poszerzono wskazania rejestracyjne dla populacji.

Ustawa o Funduszu Medycznym

wykazy tworzone przez AOTMiT zawierają leki dopuszczone do obrotu w procedurze centralnej w Unii Europejskiej zgodnie z art. 3 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne

Ustawa refundacyjna:

technologia lekowa – technologię medyczną w rozumieniu ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, której główną składową kosztową jest **lek**.

Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych:

technologia medyczna – leki, urządzenia, procedury diagnostyczne i terapeutyczne stosowane **w określonych wskazaniach**, a także organizacyjne systemy wspomagające, w obrębie których wykonywane są świadczenia zdrowotne.

Zakres leków ocenianych w ramach oceny innowacyjności we Włoszech

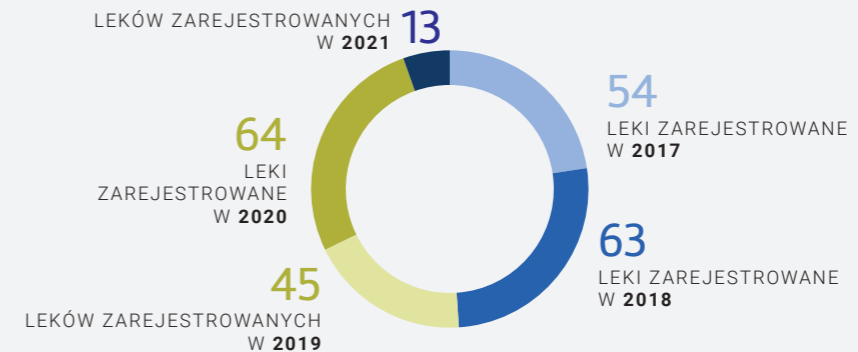
- Innowacyjne leki na rynku w innych państwach, ale nie na terytorium kraju
- Leki jeszcze niezatwierdzone, ale będące w trakcie badań klinicznych
- Leki, które mają być stosowane we wskazaniach innych niż zarejestrowane
- Leki, które mają być stosowane we wskazaniu terapeutycznym innym niż zarejestrowane, pod warunkiem, że wskazanie to jest znane i zgodne z badaniami prowadzonymi w krajowym i międzynarodowym środowisku medyczno-naukowym, zgodnie z założeniami opłacalności

Procedury specjalne – ustawa 648/96

Liczba leków podlegających ocenie AOTMiT w celu stworzenia wykazu leków o wysokim poziomie innowacyjności jako podstawy dla utworzenia listy MZ



Leki podlegające ocenie w ramach wykazu leków o wysokiej wartości klinicznej



Zakres parametrów poszczególnych technologii lekowych	RDTL	Wysoki poziom innowacyjności	Wysoka wartość kliniczna
Forma dostępu	Dostęp indywidualny	Dostęp grupowy	Dostęp grupowy
Kto może wnioskować	Lekarz	Producenci leków umieszczonych na liście MZ po opublikowaniu listy MZ	Leiki, dla których nie złożono wniosku refundacyjnego
Częstość publikowania wykazów	Brak	Raz do roku	Tylko raz – w 2021 roku
Leki	Lek niefinansowany ze środków publicznych w danym wskazaniu	Leki zarejestrowane po 01.01.2020	Leki zarejestrowane po 01.01.2017
Obszar terapeutyczny	Brak ograniczeń	Leki sieroce + onkologia	Brak ograniczeń
Poziom odpłatności	Bezpłatne dla pacjenta	Bezpłatne w programie lekowym	
Procedura oceny	Konsultant krajowy lub wojewódzki	Uproszczona	Pełna ocena z HTA
Rejestr	Nie dotyczy	Obowiązkowy	Brak wymogu
Limit finansowania	3% wydatków na wykazy B i C	5% Całkowitego Budżetu na Refundację (CBR)	
Delistacja	Nie dotyczy	Tak, z wprowadzeniem obowiązku ponoszenia kosztów przez firmy farmaceutyczne	

Lista leków o wysokim poziomie innowacyjności



Po **01.01.2020** EMA zarejestrowała **21 nowych cząsteczek** (stosowanych w chorobach rzadkich lub wskazaniach onkologicznych), co łącznie stanowi **24 technologie lekowe** oraz **22 „nowe” technologie lekowe**, czyli leki (cząsteczki) zarejestrowane przed 01.01.2020, jednak nowe wskazania zostały dorejestrowane.

Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Data rejestracji	Wskazanie	Status orphan	Populacja dzieci	Lek onkologiczny	
Technologie lekowe włączone przez AOTMiT na wykaz leków o wysokim poziomie innowacyjności							
1	Ayvakyt	avapritinib	24.09.2020	Lek stosowany w leczeniu nowotworu podścieliskowego przewodu pokarmowego (<i>gastrointestinal stromal tumour</i> , GIST), którego nie można było usunąć chirurgicznie lub który rozprzestrzenił się na inne części ciała.	Tak		Tak
2	Dovprela	pretomanid	31.07.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych chorych na lekooporną gruźlicę płuc.	Tak		
3	Givlaari	givosiran	2.03.2020	Lek stosowany w leczeniu ostrej porfirii wątrobowej u pacjentów w wieku 12 lat lub starszych.	Tak	>12 lat	
4	Idefirix	imlifidase	25.08.2020	Lek stosowany w celu zapobiegania odrzuceniu przez organizm nowo przeszczepionej nerki.	Tak		
5	Isturisa	osilodrostat	9.01.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z zespołem Cushinga.	Tak		
6	Oxlumo	lumasiran	19.11.2020	Lek stosowany w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1, choroby dziedzicznej, w której substancja zwana szczawianem gromadzi się w organizmie, powodując uszkodzenie nerek i innych narządów.	Tak	Tak	
7	Piqray	alpelisib	27.07.2020	Lek stosowany w leczeniu kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z rakiem piersi, który jest miejscowo zaawansowany lub przerzutowy.			Tak
8	Polivy	polatumumab vedotin	16.01.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z nawrotowym lub opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B (ang. <i>diffuse large B-cell lymphoma</i> , DLBCL), którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia szpiku kostnego.	Tak		Tak
9	Reblozyl	luspatercept	25.06.2020	Lek stosowany w leczeniu niedokrwistości (niski poziom czerwonych krwinek), która wymaga regularnych transfuzji krwi u osób dorosłych z zespołem mielodysplastycznym.	Tak		
10	Rozlytek	entrectynib	31.07.2021	Lek stosowany w leczeniu guzów litych z obecnością fuzji genu neurotroficznej receptorowej kinazy tyrozynowej (NTRK, ang. <i>neurotrophic tyrosine receptor kinase</i>)	Tak	>12 lat	Tak
11	Zolgensma	onasemnogene abeparovoc	18.05.2020	Terapia genowa stosowana w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni (ang. <i>spinal muscular atrophy</i> , SMA).	Tak	Tak	

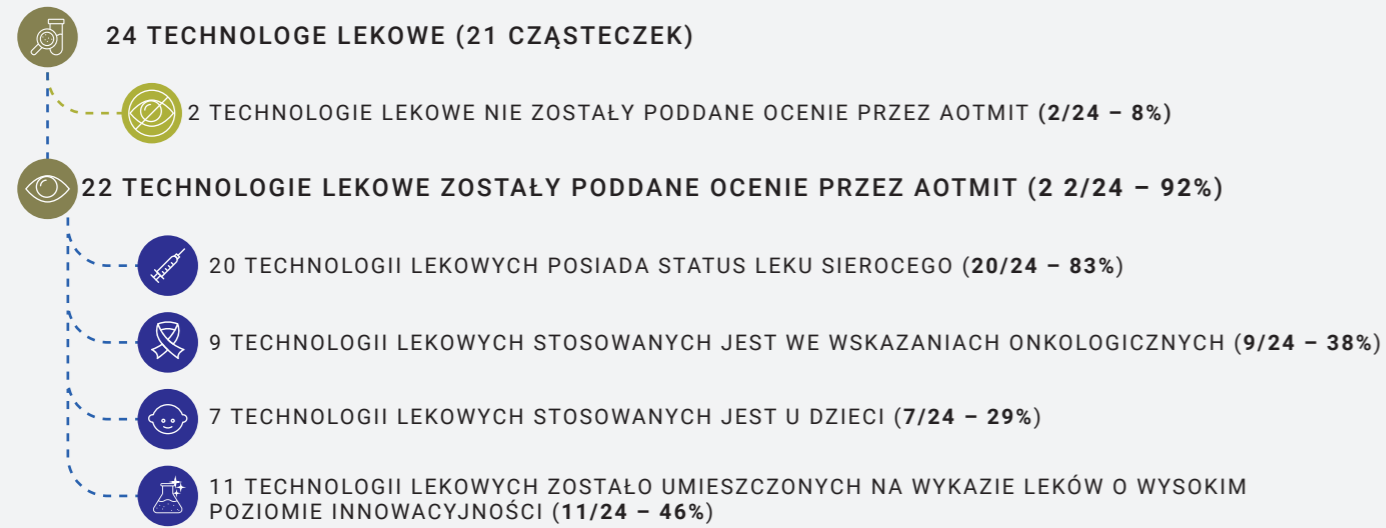
AOTMiT wzięł pod ocenę **22 technologie lekowe dla nowych cząsteczek (22/24 – 92%)**. AOTMiT umieścił na wykazie technologii o wysokim poziomie innowacyjności **11 technologii lekowych (11/22 – 50%; 11/24 – 46%)**. Dodatkowo nie uwzględniano w ocenie 2 technologii lekowych dla których zostały złożone wnioski refundacyjne (Nubeqa – rak prostaty, Rozlytek – rak płuca).

8 technologii medycznych zostało zarejestrowanych do **18.02.2021**, lecz po **26.11.2020**, i z tego powodu nie zostały poddane ocenie AOTMiT. Najbliższy kolejny wykaz dla tych leków zostanie opracowany prawdopodobnie w lutym w 2022 roku.

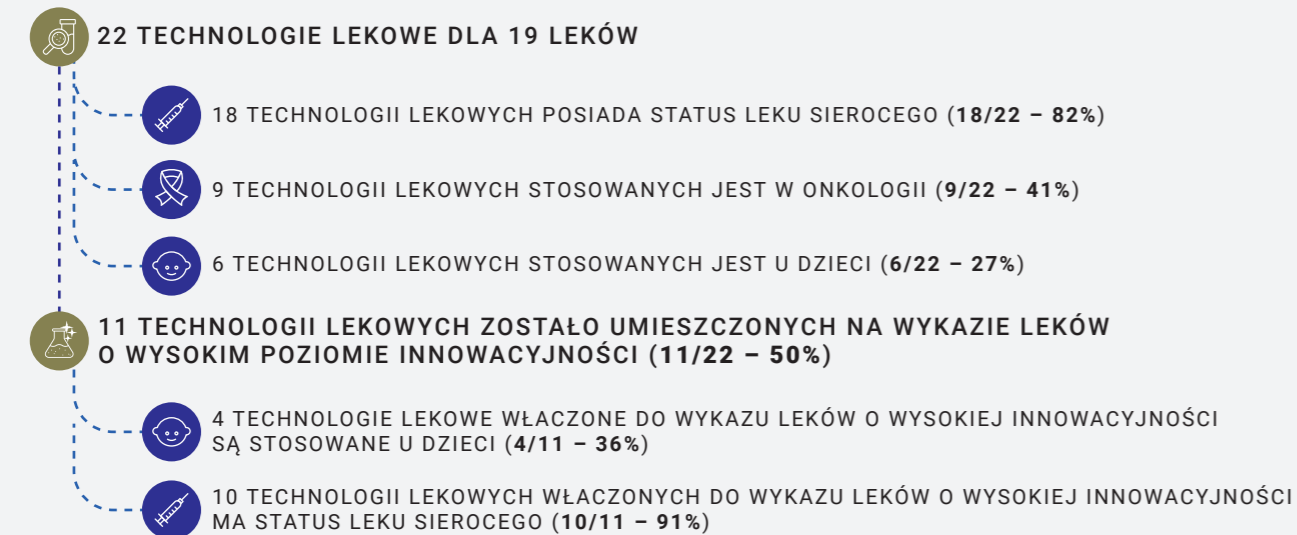
Leki, które nie zostały włączone przez AOTMiT na wykaz leków o wysokim poziomie innowacyjności

Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Data rejestracji	Wskazanie	Status orphan	Populacja dzieci	Lek onkologiczny	
Leki wykluczone przez AOTMiT i nie włączone na wykaz leków o wysokim poziomie innowacyjności							
12	Adakveo	crizanlizumab	28.10.2020	Lek stosowany w zapobieganiu bolesnym przelomom u pacjentów powyżej 16. roku życia z niedokrwistością sierpowatokrwinkową.	Tak	>16 lat	
13	Arikayce liposomal	amikacin	27.10.2020	Antybiotyk stosowany u osób dorosłych w leczeniu zakażenia płuc wywołanego przez prątki <i>Mycobacterium avium complex</i> (MAC).	Tak		
14	Blenrep	belantamab mafodotin	25.08.2020	Lek stosowany w leczeniu szpiczaka mnogiego.	Tak		Tak
15	Calquence	acalabrutinib	5.11.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z przewlekłą białaczką limfocytową nie leczonych wcześniej.			Tak
16	Calquence	acalabrutinib	5.11.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z przewlekłą białaczką limfocytową, którzy wcześniej otrzymali co najmniej jedną terapię.			Tak
17	Daurismo	glasdegib	26.06.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową (AML, ang. <i>acute myeloid leukaemia</i>).	Tak		Tak
18	Hepcludex	bulevirtide	31.07.2020	Lek przeciwwirusowy stosowany w leczeniu przewlekłego (długotrwałego) zakażenia wirusem zapalenia wątroby typu D (HDV).	Tak		
19	Obiltoxaximab SFL	obiltoxaximab	18.11.2020	Lek stosowany w terapii antybiotykowej w leczeniu węglika wziewnego w skojarzeniu z odpowiednimi lekami przeciwbakteryjnymi we wszystkich grupach wiekowych.	Tak	Tak	
20	Obiltoxaximab SFL	obiltoxaximab	18.11.2020	Lek stosowany w ramach profilaktyki poekspozycyjnej węglika wziewnego we wszystkich grupach wiekowych kiedy inne metody leczenia są nieodpowiednie lub niedostępne.	Tak	Tak	
21	Reblozyl	luspatercept	25.06.2020	Lek stosowany w leczeniu niedokrwistości (niski poziom czerwonych krwinek), która wymaga regularnych transfuzji krwi u osób dorosłych z beta-talasemią.	Tak		
22	Sarclisa	isatuximab	30.05.2020	Lek stosowany w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem w leczeniu szpiczaka mnogiego.			Tak
Leki zidentyfikowane przez HTA Consulting, nie ocenione przez AOTMiT							
23	Kaftrio	ivacaftor, tezacaftor, elexacaftor	21.08.2020	Lek stosowany w leczeniu pacjentów w wieku od 12 lat z mukowiscydozą.	Tak	>12 lat	
24	Trepulmix	treprostinil	3.04.2020	Lek stosowany w leczeniu przewlekłego zakrzepowo-zatorowego nadciśnienia płucnego (CTEPH).	Tak		

Nowe cząsteczki zarejestrowane pomiędzy 01.01.2020–26.11.2020 (w rozbiciu na technologie lekowe)

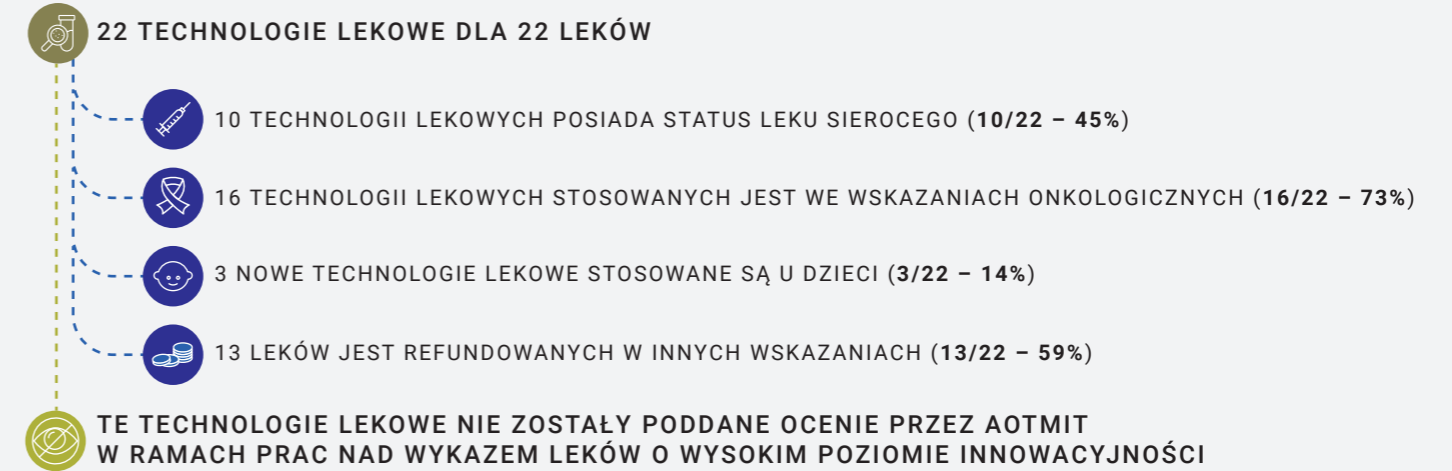


Leki ocenione przez AOTMiT (w rozbiciu na technologie lekowe)



Pomiędzy 26.11.2020 a 18.02.2021 w EMA zarejestrowano 8 technologii medycznych, które nie zostały poddane ocenie AOTMiT. Najbliższy kolejny wykaz dla tych leków zostanie opracowany prawdopodobnie w lutym 2022 roku.

Technologie lekowe zarejestrowane przed 01.01.2020, dla których po tej dacie zarejestrowano nowe wskazanie (nowa technologia od 01.01.2020 do 26.11.2020)



Nowe leki zarejestrowane od 26.11.2020 do 18.01.2021

Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Data rejestracji	Wskazanie	Status orphan	Lek onkologiczny	Populacja dzieci	Lek zarejestrowany po 26.11.2020
1 Elzonris	tagraxofusp	7.01.2021	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z nowotworem z blastycznych plazmacytoidalnych komórek dendrytycznych (BPDCN).	Tak	Tak		Tak
2 Enhertu	trastuzumab deruxtecan	18.01.2021	Lek stosowany w leczeniu przerzutowego lub nieoperacyjnego raka piersi.		Tak		Tak
3 Fintepla	fenfluramine	18.12.2020	Lek stosowany jako dodany do do innych leków przeciwpadaczkowych w leczeniu pacjentów w wieku od 2 lat z zespołem Dravet - typem padaczki rozpoczynającej się w dzieciństwie i mogącej trwać u dorosłego.	Tak		Tak	Tak
4 Libmeldy	Autologous CD34+ cells encoding ARSA gene	17.12.2020	Lek stosowany w leczeniu dzieci z leukodystrofią metachromatyczną (ang. metachromatic leukodystrophy, MLD).	Tak		Tak	Tak
5 Phesgo	pertuzumab, trastuzumab	21.12.2020	Lek stosowany w leczeniu dorosłych pacjentek z HER2-dodatnim rakiem piersi. Leczenie neoadjuwantowe raka piersi miejscowo zaawansowanego, zapalnego lub we wczesnym stadium z wysokim ryzykiem wznowy.		Tak		Tak
6 Phesgo	pertuzumab, trastuzumab	21.12.2020	Lek stosowany w leczeniu dorosłych pacjentek z HER2-dodatnim rakiem piersi. Leczenie adjuwantowe raka piersi we wczesnym stadium z wysokim ryzykiem.		Tak		Tak
7 Tecartus	autologiczne transdukowane anty-CD19 komórki CD3-dodatnie	14.12.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych chorych na chłoniaka z komórek płaszczą.	Tak	Tak		Tak
8 Tukysa	tucatinib	11.02.2021	Lek stosowany w leczeniu HER2-dodatniego raka piersi, który jest miejscowo zaawansowany lub przerzutowy.		Tak		Tak

Wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności



W dniu 31 marca 2021 Rada Przejrzystości dokonała oceny 11 technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności z wykazu AOTMiT w ramach konsultacji listy MZ.

Rada Przejrzystości wskazała na cztery technologie lekowe, które powinny zostać potraktowane priorytetowo.



Po opublikowaniu wykazu rozpoczął się etap jego konsultacji z Rzecznikiem Praw Pacjentów, Radą Przejrzystości i konsultantami krajowymi oraz tworzenie listy MZ leków o wysokim poziomie innowacyjności. Opublikowanie tej listy jest podstawą do składania wniosków refundacyjno-cenowych przez producentów technologii lekowych umieszczonych na tej liście.



Rzecznik Praw Pacjentów (RPP) w swojej opinii zarekomendował umieszczenie na liście leków o wysokim poziomie innowacyjności 9 technologii lekowych (w tym pięciu bezwarunkowo, a czterech kolejnych po dodatkowych konsultacjach). Dwie technologie zdaniem RPP nie powinny być umieszczone na liście z powodu niepewności danych klinicznych.

Lista MZ leków o wysokim poziomie innowacyjności

MAJ 2021

Ministerstwo Zdrowia przedstawiło listę technologii o wysokim poziomie innowacyjności, która jest podstawą do składania wniosków przez firmy farmaceutyczne o refundację w ramach Funduszu Medycznego.

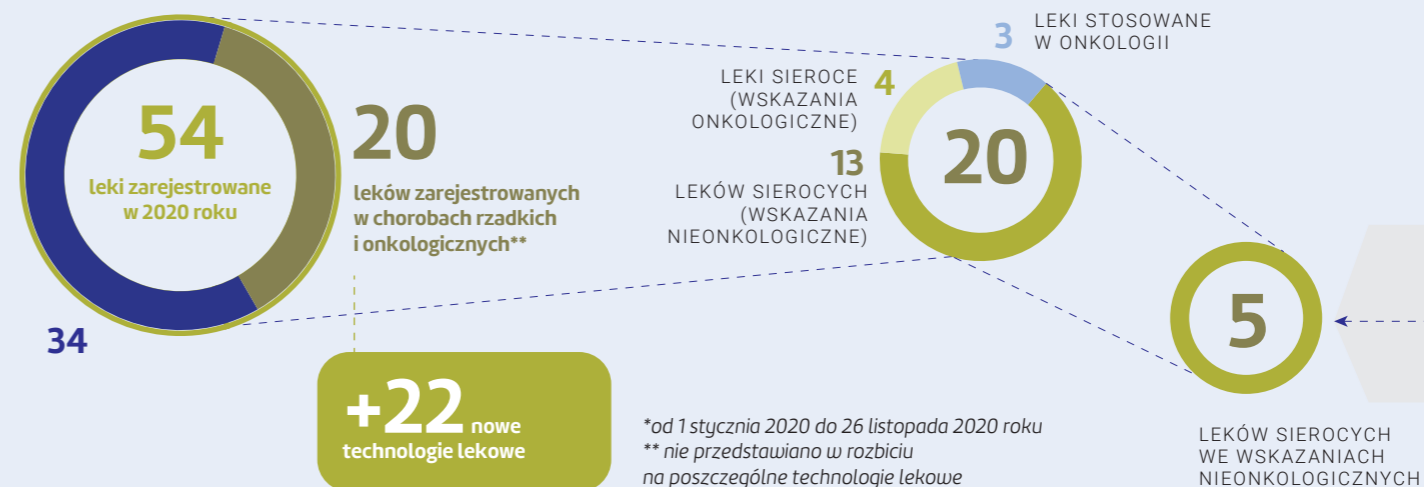
Z 20 leków, które zostało umieszczone na wykazie AOTMiT w lutym tego roku, ostatecznie 5 zostało wybranych na listę MZ i tylko w wskazaniach związanych z chorobami rzadkimi nieonkologicznymi. Szacowana roczna liczba nowych pacjentów dla wszystkich tych technologii wynosi ok. 300.

Ocena Technologii lekowych z wykazu leków o wysokim poziomie innowacyjności przez Radę Przejrzystości oraz Rzecznika Praw Pacjentów

	Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Data rejestracji	Wskazanie	Status orphan	Populacja dzieci	Lek onkologiczny	Priorytetowa TM wg Rady Przejrzystości	Opinia Rzecznika Praw Pacjentów	Lista leków o wysokim poziomie innowacyjności MZ
1	Ayvakyt	avapritinib	24.09.2020	Lek stosowany w leczeniu nowotworu podścieliskowego przewodu pokarmowego (<i>gastrointestinal stromal tumour, GIST</i>), którego nie można było usunąć chirurgicznie lub który rozprzestrzenił się na inne części ciała.	Tak		Tak	Negatywna ocena	Warunkowo	
2	Dovprela	pretomanid	31.07.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych chorych na lekooporną gruźlicę płuc.	Tak			Tak	Warunkowo	Tak
3	Givlaari	givosiran	2.03.2020	Lek stosowany w leczeniu ostrej porfirii wątrobowej u pacjentów w wieku 12 lat lub starszych.	Tak	>12 lat		Tak	Tak	Tak
4	Idefirix	imlifidase	25.08.2020	Lek stosowany w celu zapobiegania odrzuceniu przez organizm nowo przeszczepionej nerki.	Tak			Tak	Tak	Tak
5	Isturisa	osilodrostat	9.01.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z zespołem Cushinga.	Tak			Negatywna ocena	Warunkowo	
6	Oxlumo	lumasiran	19.11.2020	Lek stosowany w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1, choroby dziedzicznej, w której substancja zwana szczawianem gromadzi się w organizmie, powodując uszkodzenie nerek i innych narządów.	Tak	Tak		Negatywna ocena	Tak	Tak
7	Piqray	alpelisib	27.07.2020	Lek stosowany w leczeniu kobiet po menopauzie oraz mężczyzn z rakiem piersi, który jest miejscowo zaawansowany lub przerzutowy.			Tak	Negatywna ocena	Negatywna ocena	
8	Polivy	polatuzumab vedotin	16.01.2020	Lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z nawrotowym lub opornym chłoniakiem rozlanym z dużych komórek B (ang. <i>diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL</i>), którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia szpiku kostnego.	Tak		Tak	Negatywna ocena	Tak	
9	Reblozyl	luspatercept	25.06.2020	Lek stosowany w leczeniu niedokrwistości (niski poziom czerwonych krwinek), która wymaga regularnych transfuzji krwi u osób dorosłych z zespołem mielodysplastycznym.	Tak			Negatywna ocena	Warunkowo	
10	Rozlytrek	entrectynib	31.07.2021	Lek stosowany w leczeniu guzów litych z obecnością fuzji genu neurotroficznego receptorowej kinazy tyrozynowej (NTRK, ang. <i>neurotrophic tyrosine receptor kinase</i>)	Tak	>12 lat	Tak	Negatywna ocena	Negatywna ocena	
11	Zolgensma	onasemnogene abeparvovec	18.05.2020	Terapia genowa stosowana w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni (ang. <i>spinal muscular atrophy, SMA</i>).	Tak	Tak		Tak	Tak	Tak



Liczba leków podlegających ocenie AOTMiT w celu stworzenia wykazu leków o wysokim poziomie innowacyjności jako podstawy dla utworzenia listy MZ



Protokół nr 14/2021 z posiedzenia Rady Przejrzystości w dniu 31 marca 2021 roku

3



finansowanie
FUNDUSZU MEDYCZNEGO

Stabilne finansowanie

A WPROWADZENIE FUNDUSZU MEDYCZNEGO

Celem wprowadzenia Funduszu Medycznego jest zapewnienie dodatkowego i stabilnego finansowania na nowe leki, ponad Całkowity Budżet na Refundację (CBR). W roku 2021 nie zmieniono ustawy budżetowej pod kątem wprowadzonych przepisów ustawy o Funduszu Medycznym.



Wprowadzenie Funduszu Medycznego nie będzie skutkowało zwiększeniem środków na ochronę zdrowia ponad planowane 6% PKB w roku 2021.



Wprowadzono wyższy maksymalny roczny limit wydatków na RDTL w stosunku do lat poprzednich, jednocześnie wprowadzając mechanizm podejmowania decyzji na poziomie szpitala i jego kontraktu, co może prowadzić do ograniczeń dostępu.



Niejasne są zapisy dotyczące kwalifikacji wydatków na leki zagwarantowane w FM do Całkowitego Budżetu na Refundację.



Zmiany w CBR po wprowadzeniu FM:

- Wydatki na leki o wysokim poziomie innowacyjności i wysokiej wartości klinicznej nie są wliczane do budżetu CBR,
- Wprowadzenie do CBR: leki stosowane w ramach RDTL wchodzi do CBR.



Założenia finansowania FM

- Wpłaty z budżetu państwa przekazywane przez Ministra Zdrowia określone będą corocznie w ustawie budżetowej i nie mogą być niższe niż 4 mld złotych rocznie na wszystkie subfundusze FM w latach 2021-2029 r. Łącznie przez 9 lat na poziomie 38 mld zł. Zgodnie z zapowiedziami Ministerstwa Zdrowia, mają to być środki dodatkowe, poza środkami na leki w ramach Całkowitego Budżetu na Refundację (CBR).
- Poziom wydatków na nowe leki na poziomie 700 mln – w stosunku do 12 mld złotych na wszystkie wskazania z wykazu A, B, C – wskazuje na ograniczone możliwości budżetowe.
- Źródła przychodów Funduszu Medycznego**
 - wpłaty z budżetu państwa w wysokości nie niższej niż 4,0 mld zł,
 - wpływy z tytułu opłat za oceny wniosków odnośnie finansowania w ramach FM,
 - odsetki od zgromadzonych środków,
 - dobrowolne wpłaty, darowizny i zapisy,
 - wpływy z innych tytułów.
- Maksymalny limit wydatków na leki w ramach FM na poziomie:**
 - 5% CBR – 707 mln w 2021** – o wysokiej wartości klinicznej i technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności,
 - 3% wydatków** na leki stosowane w chemioterapii i programach lekowych – **160 mln w 2021** – RDTL.

Na refundację technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej i technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności, zgodnie z art. 33 ust. 1 Ustawy, ustanowiono limit wysokości budżetu wydatków publicznych do wysokości nie większej niż 5% wartości całkowitego budżetu na refundację.

Finansowanie leków FM

A CAŁKOWITY BUDŻET REFUNDACYJNY (CBR)



Publiczne źródła finansowania leków w Polsce:

1 CBR – Całkowity Budżet Refundacyjny

- leki dostępne w aptece na receptę,
- leki dostępne w ramach programów lekowych,
- leki stosowane w chemioterapii,
- leki dostępne w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych,
- leki dostępne w ramach importu docelowego,
- środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, sprowadzone z zagranicy.*

2 Leki finansowane z budżetu państwa:

- lista 75+,
- leki stosowane u kobiet w trakcie ciąży,
- w ramach programu szczepień obowiązkowych,
- w ramach Narodowych Programów Polityki Zdrowotnej (Krajowy Program Zapobiegania Zakażeniom HIV i Zwalczenia AIDS; Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne).

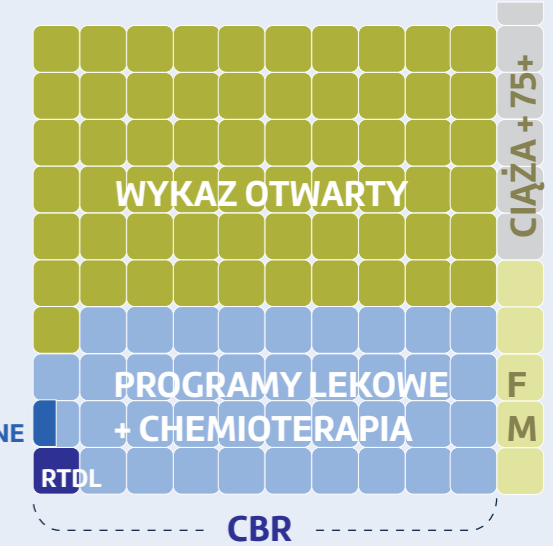
3 Leki finansowane w ramach rozliczenia świadczeń

np. Jednorodne Grupy Pacjentów (JGP)

4 Leki finansowane przez samorządy

w ramach programów zdrowotnych
np. szczepienia p/grypie

*Na warunkach i w trybie określonym w art.29a ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz. U. z 2019 r. poz. 1252 oraz z 2020 r. poz. 284 i 285), pod warunkiem, że w stosunku do tych środków wydano decyzję o objęciu refundacją na podstawie ustawy o refundacji.

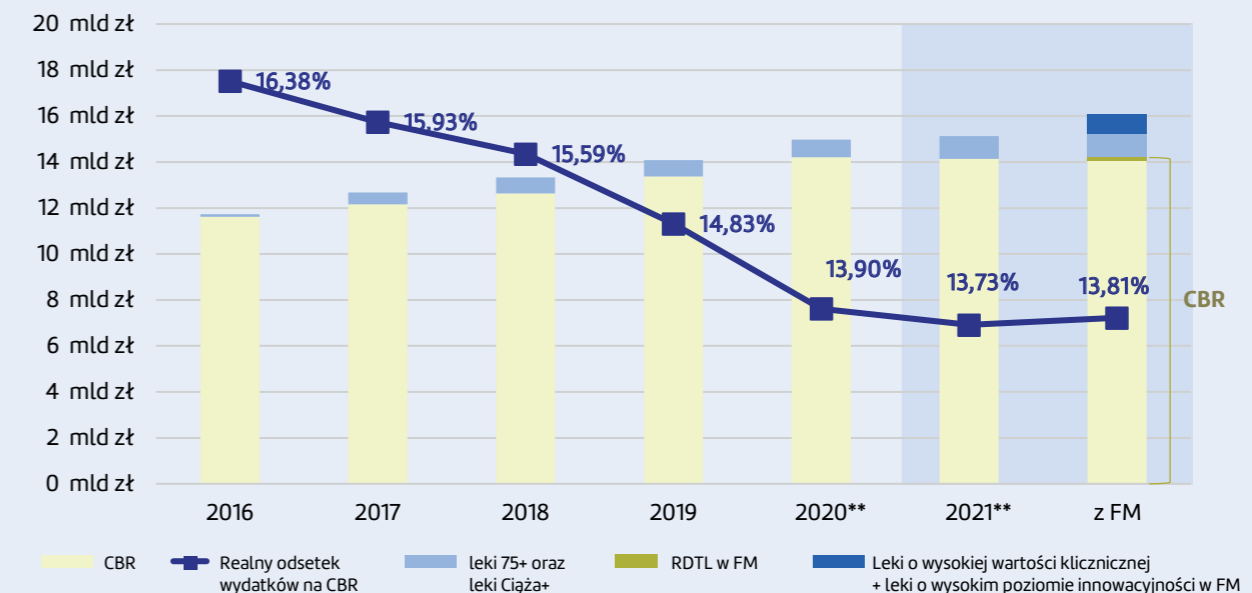


CBR A WPROWADZENIE FM

Oszacowanie udziału CBR w łącznych wydatkach na świadczenia gwarantowane w latach 2012 – 2021 (z uwzględnieniem Funduszu Medycznego)

Pomimo wzrostu bezwzględnej wartości wydatków na leki, z roku na rok widoczny jest spadek ich udziału w wydatkach na świadczenia gwarantowane. Podniesienie wydatków na RDTL w ramach FM prowadzi do wzrostu wydatków na CBR o ok. 0,08%.

Wydatki z budżetu Państwa na leki refundowane 75+ oraz Ciąża+ plus wydatki na technologie lekowe wysoce innowacyjne i o wysokiej wartości klinicznej potencjalnie pozwolą na osiągnięcie 15,2% wartości wszystkich wydatków na świadczenia gwarantowane.



**Wydatki na leki refundowane zawierają oszacowane dodatkowe środki na leki i RDTL związane z Funduszem Medycznym + wydatki na Fundusz Medyczny uwzględniono w wydatkach na świadczenia gwarantowane. Wydatki w latach 2011-2019 w oparciu o dane rozliczeniowe NFZ. Dane dla 2020 roku przyjęto z planu finansowanego NFZ na 2020 z 29 grudnia 2020. Dane dla 2021 przyjęto w oparciu o plan finansowy NFZ na 2021 rok z 30 września 2020 roku.

RDTL – ratunkowy dostęp do terapii lekowych

DOSTĘP DLA INDYWIDUALNYCH PACJENTÓW

Ratunkowy dostęp do technologii lekowych (RDTL) to **system wydawania indywidualnych zgód na leczenie pacjentów, dla których wyczerpano wszystkie dostępne opcje terapeutyczne finansowane ze środków publicznych.** Leki finansowane w ramach RDTL są dostępne bezpłatnie dla pacjentów, a ich koszt pokrywa Narodowy Fundusz Zdrowia.

RDTL pozwala na zaspokojenie potrzeb **pojedynczych chorych.** W ramach ustawy o Funduszu Medycznym decyzyjność została przeniesiona z poziomu Ministerstwa Zdrowia (i AOTMiT) na poziom szpitali leczących pacjentów i konsultantów krajowych i wojewódzkich.

Postawa prawna

Ustawa o Funduszu Medycznym zmodyfikowała przepisy ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej z 2004 r art 47d, f, i w zakresie procedur oraz zasad finansowania RDTL



Finansowanie



RDTL można rozliczać tylko w szpitalach sieciowych:

- ▶ III stopnia;
- ▶ onkologiczne lub pulmonologiczne;
- ▶ pediatryczne;
- ▶ ogólnopolskie.



Szpitale mogą rozliczać RDTL do wysokości rocznego limitu w skali kraju (3% sumy kwot przeznaczonych na finansowanie leków objętych programami lekowymi oraz leków stosowanych w chemioterapii, które szpitale mają określone w umowach o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej).

Wydatki na RDTL wchodzą do CBR (Całkowitego Budżetu na Refundację).

Finansowanie

W ramach RDTL możliwe jest sfinansowanie przez NFZ terapii lekiem nierefundowanym oraz lekiem refundowanym w innym wskazaniu, niż wskazanie refundacyjne.

1 W ramach procesu RDTL szpital na wniosek lekarza występuje do NFZ po uzyskaniu pozytywnej opinii konsultanta krajowego lub wojewódzkiego w danej dziedzinie medycyny. W tym celu szpital występuje do konsultanta przedkładając mu formularz (załącznik 2 do zarządzenia Prezesa NFZ Nr 20/2021/DSOZ).



2 Konsultant na odpowiednim formularzu przedstawia swoją opinię odnośnie zastosowania leku u pacjenta (załącznik nr 3 do zarządzenia Prezesa NFZ Nr 20/2021/DSOZ).



3 Szpital rozlicza się z wojewódzkim oddziałem NFZ na podstawie faktury dokumentującej zakup leku (z załączeniem opinii konsultanta lub informacją w sprawie kontynuacji) (załącznik nr 4 do zarządzenia Prezesa NFZ Nr 20/2021/DSOZ).



4 Wzór wniosku – Zarządzenie Prezesa NFZ Nr 20/2021/DSOZ



Zmiany w RDTL



Stan poprzedni



Stan aktualny



Decydent

Szpital składał wniosek do MZ o wydanie zgody na sfinansowanie leku. Wniosek podlegał ocenie AOTMiT.

Szpital samodzielnie decyduje o zastosowaniu danej technologii lekowej po uzyskaniu pozytywnej opinii konsultanta krajowego lub wojewódzkiego.



Obszar terapeutyczny

wszystkie

wszystkie



Budżet na RDTL

Do lutego 2020 finansowane w ramach ryczałtu. Od lutego 2020 RDTL wyłączono z finansowania ryczałtowego.

3% wydatków na leki stosowane w ramach programów lekowych i chemioterapii.



Odmowa finansowania

- Opinia AOTMiT
- Brak złożenia wniosku przez firmę w odpowiednim terminie
- Wydana została rekomendacja w zakresie niezasadności objęcia danego leku refundacją w danym wskazaniu
- Wydana została odmowna decyzja refundacyjna

- Firma nie złożyła wniosku w terminie 90 dni od publikacji informacji przez MZ w BIP
- Została wydana decyzja o umorzeniu postępowania o objęciu refundacją
- Została wydana rekomendacja w zakresie niezasadności objęcia refundacją danego leku
- Została wydana decyzja o odmowie objęcia refundacją
- Umieszczenie na wykazie leków niepodlegających finansowaniu w ramach RDTL



Wniosek refundacyjny

MZ wzywał firmę do złożenia wniosku refundacyjnego gdy:

- w opinii AOTMiT wskazania, że zasadne jest refundowanie tego leku
- jest to niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjentów.

W przypadku gdy koszt terapii danym lekiem w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej w ujęciu rocznym, w danym wskazaniu, finansowanym przez wszystkich świadczeniodawców, przekracza 5% budżetu na ratunkowy dostęp do technologii lekowych w ramach FM podmiot ma obowiązek złożyć wniosek do 90 dni od opublikowaniu tej informacji w BIP.

RDTL – ratunkowy dostęp do terapii lekowych

DOSTĘP DLA INDYWIDUALNYCH PACJENTÓW



Maksymalny budżet stanowi **3%** wydatków na leki w ramach programów lekowych oraz chemioterapii w skali kraju – czyli dla roku 2021 to

160,1 mln zł

(stan na 02.2021)

Kryteria kwalifikacji do RDTL:

- Lek dopuszczony do obrotu
Lek dostępny na rynku
- Wyczerpano możliwe do zastosowania
opcje terapeutyczne
- Brak umieszczenia na wykazie leków
niepodlegających finansowaniu w ramach
RDTL
- Wypełnienie wniosku o RDTL



Lekarz prowadzący leczenie

Wniosek świadczeniodawcy do konsultanta krajowego/ wojewódzkiego o zastosowanie leku w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej

Załącznik nr 2 do Zarządzenia Prezesa NFZ
Nr 20/2021/DSOZ

**Pozytywna
opinia**

**3 miesiące
lub 3 cykle leczenia**

**kolejne 3 miesiące
lub 3 cykle leczenia**

**powtarzanie cyklu
opinia lekarza
– kontynuacja leczenia**

**Negatywna
opinia**

pacjent nie może
odwołać się od tej
decyzji

**Pozytywna opinia lekarza
specjalisty odnośnie
skuteczności terapii**

Kontynuacja leczenia w ramach procedury RDTL jest możliwa pod warunkiem potwierdzenia przez lekarza specjalistę skuteczności dotychczasowego leczenia danym lekiem w ramach procedury RDTL. Informacja w sprawie kontynuacji leczenia w ramach procedury RDTL przekazywana jest przez świadczeniodawcę do dyrektora oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia właściwego ze względu na siedzibę świadczeniodawcy (...).

Opinia konsultanta lub informacja w sprawie kontynuacji leczenia w ramach procedury RDTL powinna zostać dołączona do dokumentacji medycznej pacjenta. Brak powyższych informacji może skutkować koniecznością zwrotu środków wypłaconych ze środków Funduszu Medycznego na pokrycie kosztów leku.

Komunikat Ministra Zdrowia w sprawie nowych zasad funkcjonowania procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych



Konsultant krajowy lub wojewódzki

Opinia konsultanta krajowego/
wojewódzkiego w sprawie zastosowania
u świadczeniobiorcy leku w ramach
ratunkowego dostępu do technologii
lekowych (RDTL)

Załącznik nr 3 do Zarządzenia Prezesa NFZ
Nr 20/2021/DSOZ



Lekarz prowadzący leczenie pacjenta

Informacja do dyrektora oddziału
wojewódzkiego Funduszu w sprawie
kontynuacji leczenia pacjenta lekiem
w ramach ratunkowego dostępu do
technologii lekowej + faktura

Załącznik nr 4 do Zarządzenia Prezesa NFZ
Nr 20/2021/DSOZ

Lek nie może być finansowany w ramach RDTL:

- Brak złożenia wniosku refundacyjnego w przypadku przekroczenia 5% budżetu na RDTL (do 90 dni)
- Umożnione postępowanie refundacyjne
- Negatywna rekomendacja AOTMiT w postępowaniu refundacyjnym
- Negatywna decyzja MZ



Komunikat w sprawie listy leków niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL



Czy wydatki na lek na terenie całego kraju przekroczyły 5% budżetu na RDTL?

nie

Możliwość dalszego finansowania w ramach RDTL

Jeżeli dany lek jest refundowany w innych wskazaniach to cena tego leku w RDTL nie może być wyższa niż efektywna cena tego leku w refundacji.

tak

Publikacja informacji w BIP przez NFZ oraz poinformowanie MZ

do 90 dni

Podmiot odpowiedzialny składa standardowy wniosek refundacyjny

Lista uprawnionych szpitali
PODSTAWOWEGO SZPITALNEGO
ZABEZPIECZENIA (PSZ)
– na stronach OW NFZ



Zarządzenie Prezesa
NFZ Nr 20/2021/DSOZ

4



ścieżka
refundacyjna

Procesy refundacyjno-cenowe

PODSUMOWANIE ZMIAN



Leki o wysokim poziomie innowacyjności



Skrócenie okresu trwania postępowania refundacyjnego dla leków innowacyjnych, zarejestrowanych po 2020 roku do 60 dni



Brak konieczności składania pełnego raportu HTA dla leków wysoce innowacyjnych – jedynie konieczność złożenia analizy wpływu na budżet płatnika



Konieczność przygotowania pełnego raportu HTA przy składaniu wniosku refundacyjnego dla przedłużenia refundacji (art. 25c Ustawy Refundacyjnej)



Wprowadzenie obowiązku publikacji wyników negocjacji z Komisją Ekonomiczną jako odpowiedź na wymóg zwiększenia przejrzystości



Leki o wysokiej wartości klinicznej



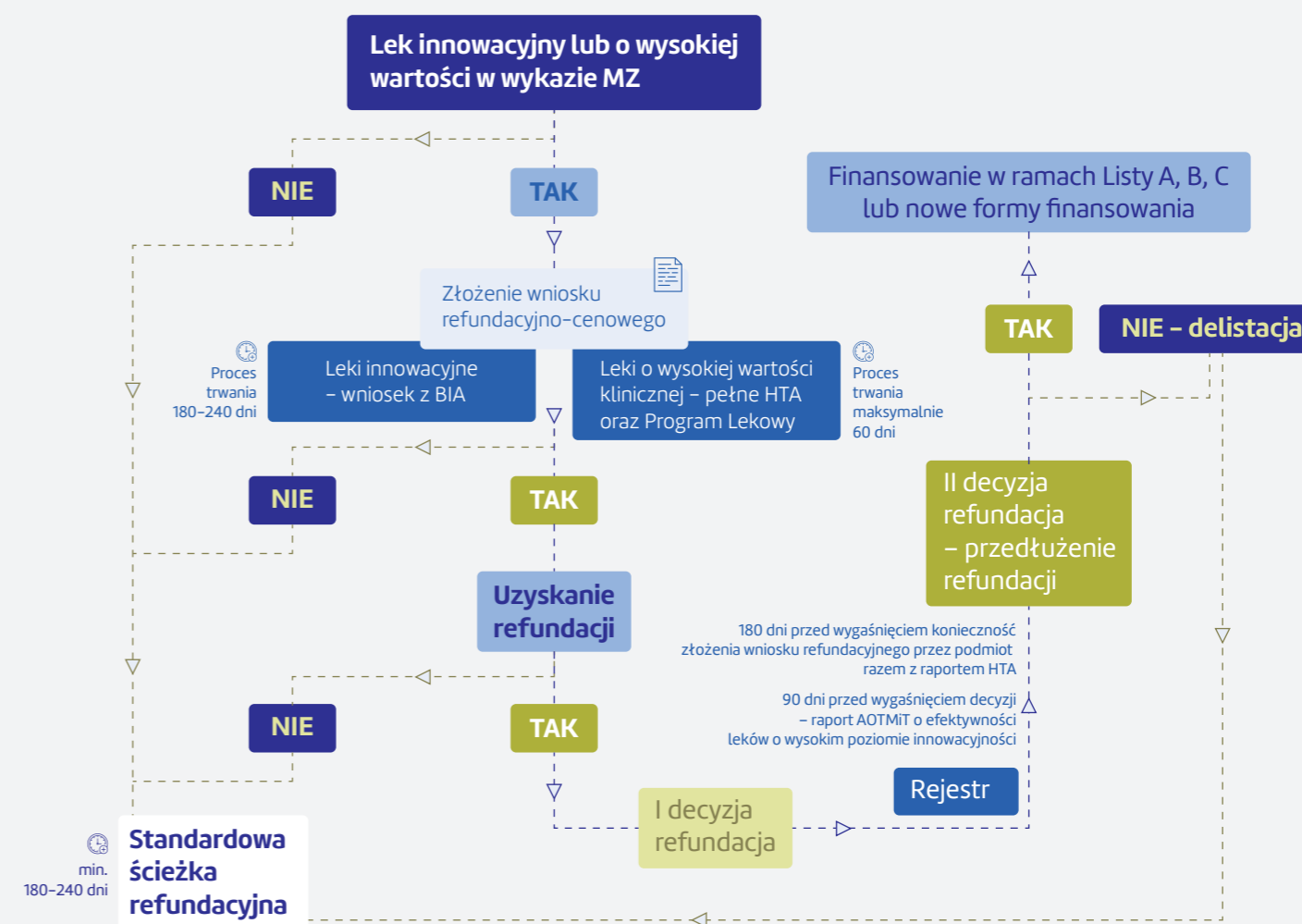
Wprowadzenie wykazu i pozostawienie identycznej ścieżki refundacyjnej potencjalnie wydłuża czas na uzyskanie refundacji



Konieczność złożenia pełnego raportu HTA dla technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej

Możliwości refundacji

DLA LEKÓW INNOWACYJNYCH ORAZ O WYSOKIEJ WARTOŚCI KLINICZNEJ



Postępowanie w zakresie procesu refundacyjno-cenowego dla leków o wysokim poziomie innowacyjności w chorobach rzadkich i onkologicznych jest w założeniach szybkie i uproszczone.

1

Konieczne jest wprowadzenie dużej nowelizacji ustawy refundacyjnej, która jest postulowana od 2012 roku.

Wprowadzenie Funduszu Medycznego wraz ze zmianami w ustawie refundacyjnej wskazuje na konieczność określenia spójnych zasad (wraz z zadaniami poszczególnych organów) w procesach podejmowania decyzji refundacyjno-cenowych. Jest to szczególnie istotne w świetle opublikowania Planu dla Chorób Rzadkich.

2

Brak obowiązku publikacji informacji oceny przez AOTMiT:

Ustawa nie określa, w jaki sposób AOTMiT będzie sporządzał wykazy technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności oraz o wysokiej wartości klinicznej. Jednocześnie ustawa nie narzuca AOTMiT opublikowania informacji o metodyce przyjętej przy sporządzeniu tych wykazów i szczegółach wyboru technologii (jak np. we Włoszech). Wybór zakresu opublikowanych materiałów pozostawiono w gestii AOTMiT.

3

Jednorazowa ocena leków w innych wskazaniach niż onkologiczne i rzadkie.

Zgodnie z art. 40a ust. 8 znowelizowanej ustawy refundacyjnej wykaz technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej jest sporządzany jednorazowo. Po stworzeniu listy MZ konieczne jest złożenie przez firmę farmaceutyczną pełnego wniosku wraz z programem lekowym, co prowadzi do potencjalnego braku możliwości wprowadzania nowych leków na receptę. Dodatkowo czas trwania procesu refundacyjnego wynoszący 8 miesięcy (240 dni) skutkuje podjęciem pierwszych decyzji najwcześniej w IV kwartale 2022 roku.

4

Brak ciągłej oceny rejestrowanych technologii lekowych dla chorób rzadkich i onkologicznych.

Zgodnie z art. 40a ust. 2 znowelizowanej ustawy refundacyjnej wykaz technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności jest sporządzany przez AOTMiT nie rzadziej niż raz do roku. Roczny okres oczekiwania na znalezienie się technologii lekowej w wykazie wydaje się zbyt długi z perspektywy pacjenta (np. onkologicznego). Skutkiem tych regulacji może być fakt, że leki zarejestrowane w 2020 roku będą mogły zostać zrefundowane w II połowie 2022 roku.

5

Brak terminu na opublikowanie listy przez MZ. W ustawie zdefiniowano terminy na publikację wykazu technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności i wykazu technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej przez AOTMiT.

Brak jest jednak przepisu, który wskazywałby częstotliwość i termin, w którym Minister Zdrowia publikuje listę technologii o wysokim poziomie innowacyjności oraz listę technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej. Tymczasem to właśnie lista stanowi podstawę do złożenia wniosku refundacyjnego. Konsekwencją powyższego jest całkowita dowolność działania Ministra w tej sprawie, podczas gdy charakter i cel tego rozwiązania uzasadniają postulat regularnego publikowania list przez Ministra Zdrowia.

6

W przypadku technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej

utrzymano obowiązujące regulacje dotyczące procesu refundacyjno-cenowego oraz wprowadzono rejestr i ocenę OER przez AOTMiT, co może utrudniać proces aplikacji przez firmy farmaceutyczne. Dodatkowo konieczne jest złożenie pełnego raportu HTA (z analizą opłacalności) dla przedłużenia decyzji refundacyjnej dla technologii lekowych z obu list przed opublikowaniem raportu OER.

7

W uchwalonej ustawie brak jest procedury odwoławczej, tak jak i brak jest formalnej możliwości

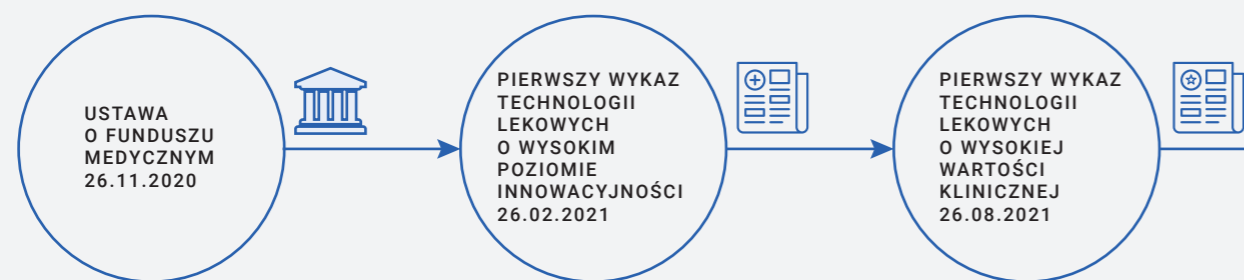
wnoszenia o umieszczenie danej technologii lekowej w wykazie (zgodnie z propozycją Senatu, kwalifikacja mogłaby następować w drodze decyzji administracyjnej Ministra Zdrowia), co powoduje bardzo dużą uznaniowość i małą przejrzystość takiego procesu.

Szczegółowa ścieżka

REFUNDACYJNO-CENOWA DLA LEKÓW O WYSOKIM POZIOMIE INNOWACYJNOŚCI ORAZ O WYSOKIEJ WARTOŚCI KLINICZNEJ

Zakres wykazu:

1. Lek
2. Wskazania
3. Data dopuszczenia do obrotu technologii lekowej
4. Poziom innowacyjności technologii lekowych lub technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej
5. Zakres danych gromadzonych w rejestrze, w tym wskaźniki oceny efektywności terapii i oczekiwanych efektów zdrowotnych.



Kluczową rolę w działaniu Funduszu Medycznego będzie odgrywać Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT), zobowiązana do sporządzania raz w roku wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności oraz jednorazowego wykazu technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej. Tym samym AOTMiT będzie oceniać ich profil skuteczności i bezpieczeństwa pod kątem niezaspokojonej potrzeby medycznej. Po ustaleniu listy leków z danej kategorii przez Ministerstwo Zdrowia i po złożeniu wniosków przez firmy, będą prowadzone negocjacje finansowe z producentami leków. **Wprowadzenie odrębnych kategorii leków lub mechanizmów ich finansowania jest etapem „przejściowym”,** służącym zmniejszeniu niepewności co do efektów zdrowotnych wprowadzanych leków oraz ocenie ich w rzeczywistej praktyce w danym kraju.

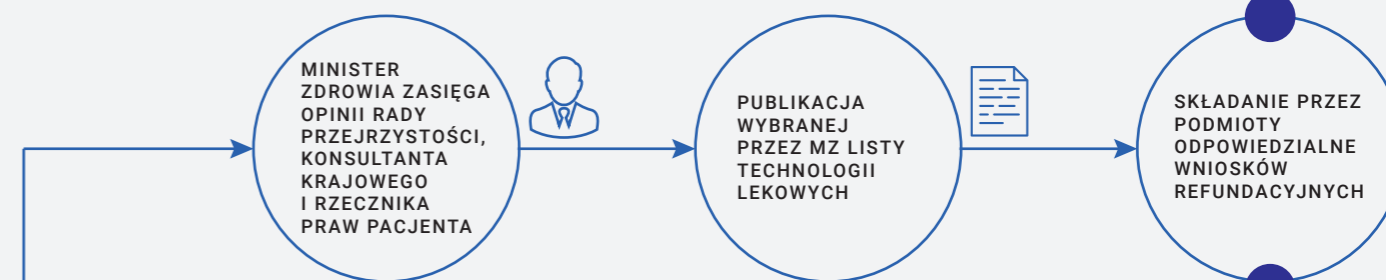


Proces refundacyjno-cenowy dla leków innowacyjnych został skrócony do oceny AOTMiT *a priori* (przed złożeniem wniosku) oraz negocjacji cenowych, lecz bez określenia ram czasowych dla wszystkich etapów procesu, oprócz etapu negocjacji cenowych prowadzonych po raz pierwszy.

Niejasne jest wdrożenie zmian w zakresie leków o wysokiej wartości klinicznej, gdyż nie implikuje ono znaczących modyfikacji ścieżki, a jedynie narzuca obowiązek wprowadzenia rejestru, co już wcześniej było możliwe w świetle przepisów ustawy (np. w SMPT – Systemie Monitorowania Programów Lekowych).

- **Wnioskodawca:** BIA
- **Strona publiczna:** Wykaz AOTMiT/MZ/ (Brak raportu HTA, brak szczegółów o opracowaniach AOTMiT)
- Negocjacje z KE z limitem czasowym do 30 dni

60 dni
Leki o wysokim poziomie innowacyjności: BIA



Leki o wysokiej wartości klinicznej: Raport HTA
240 dni

- **Wnioskodawca:** Raport HTA + Program Lekowy
- **Strona publiczna:** Wykaz AOTMiT/MZ/ Analiza weryfikacyjna AOTMiT
- Stanowisko Rady Przejrzystości/ Rekomendacja Prezesa AOTMiT
- **Negocjacje cenowe KE bez limitu czasowego**

Obowiązki poszczególnych interesariuszy

	Standardowa ścieżka	Wysoki poziom innowacyjności	Wysoka wartość kliniczna
AOTMiT		Ocena innowacyjności i wykaz AOTMiT	Ocena innowacyjności i wykaz AOTMiT
MZ		Opiniowanie wykazu Opublikowanie listy MZ	Opiniowanie wykazu Opublikowanie listy MZ
MZ	Wniosek refundacyjny	Wniosek refundacyjny	Wniosek refundacyjny
Firma	Raport HTA	Analiza BIA	Raport HTA + Program Lekowy
MZ	Zlecenie do AOTMiT		Zlecenie do AOTMiT
MZ	Ustalenie treści PL		Ustalenie treści PL
AOTMiT	Sprawdzenie minimalnych wymogów		Sprawdzenie minimalnych wymogów
Firma	Uzupełnienie analiz		Uzupełnienie analiz
AOTMiT	Analiza weryfikacyjna Stanowisko Rady Przejrzystości Rekomendacja Prezesa AOTMiT		Analiza weryfikacyjna Stanowisko Rady Przejrzystości Rekomendacja Prezesa AOTMiT
MZ	Negocjacje z KE	Negocjacje z KE (max. 30 dni)	Negocjacje z KE
Decyzja refundacyjna	Zgodnie z kryteriami z art. 12 ustawy refundacyjnej	Zgodnie z kryteriami z art. 12 ustawy refundacyjnej	Zgodnie z kryteriami z art. 12 ustawy refundacyjnej
RSA	Możliwe finansowe i oparte na wynikach klinicznych	Rejestr , możliwe finansowe i oparte na wynikach klinicznych	Rejestr , możliwe finansowe i oparte na wynikach klinicznych
Ustawowy czas trwania procesu	180 dni + 60 dni program lekowy	60 dni	240 dni (180 dni + 60 dni program lekowy)

Proces refundacyjno

-cenowy

DLA LEKÓW WYSOCE
INNOWACYJNYCH



I
etap

- Technologie lekowe zarejestrowane przez EMA po 1 stycznia 2020
- Wybór przez AOTMiT technologii lekowych stosowanych w chorobach rzadkich i onkologicznych
- Ocena stopnia innowacyjności wybranych technologii lekowych
- Publikacja wykazu przez AOTMiT w BIP

3 miesiące

- Konsultacje wykazu przez MZ z Radą Przejrzystości, Krajowym Konsultantem oraz Rzecznikiem Praw Pacjenta
- Opublikowanie przez MZ listy wybranych technologii lekowych na stronie oraz w BIP wraz z poinformowaniem podmiotów odpowiedzialnych

brak terminu

II
etap

- Złożenie wniosku refundacyjnego
- Ocena wniosku refundacyjnego?
- Negocjacje z KE
- Decyzja refundacyjna

60 dni

Proces dla leków o wysokiej innowacyjności



- Brak jasności co do definicji technologii lekowej i poziomów innowacyjności.
- Brak obowiązku publikacji wyników konsultacji przy ustaleniu listy przez MZ.
- Brak obowiązku ustawowego publikacji raportu z oceny lub/i ewentualnego przesłania szczegółowego raportu do wnioskodawcy po złożeniu wniosku.
- Brak możliwości zakwestionowania wykazu AOTMiT i listy MZ przez podmiot zainteresowany (brak umieszczenia produktu na liście), w tym brak procedur odwoławczych.
- Brak jasności przebiegu procesów i kryteriów oceny na poszczególnych etapach, w tym danych dotyczących oceny innowacyjności czy tworzenia porozumień podziału ryzyka.
- Analiza BIA nie musi spełniać minimalnych wymogów zgodnie z Rozporządzeniem MZ oraz wytycznymi HTA w Polsce dla leków.
- Brak zdefiniowanych szczegółowych kryteriów oraz stopni innowacyjności przy przyjętych kryteriach oceny.
- Praktyczne ograniczenie do kategorii Programów Lekowych.



AOTMiT

Nowe zadania
instytucji
publicznych
w świetle FM

- Opracowanie metodyki oceny leków innowacyjnych
- Opracowanie dokumentów (argumentacji oraz kalkulacji) na potrzeby negocjacji

- Opracowanie wykazu leków ze wskaźnikami oceny
- Publikacja przez AOTMiT, na 90 dni przed zakończeniem okresu refundacji, raportu z oceny efektywności objętych refundacją technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności oraz jakości leczenia w oparciu o dane z rejestrów medycznych



Komisja Ekonomiczna

- Negocjowanie warunków porozumień podziału ryzyka opartych na efektach klinicznych
- Publikacja wyników negocjacji cenowych

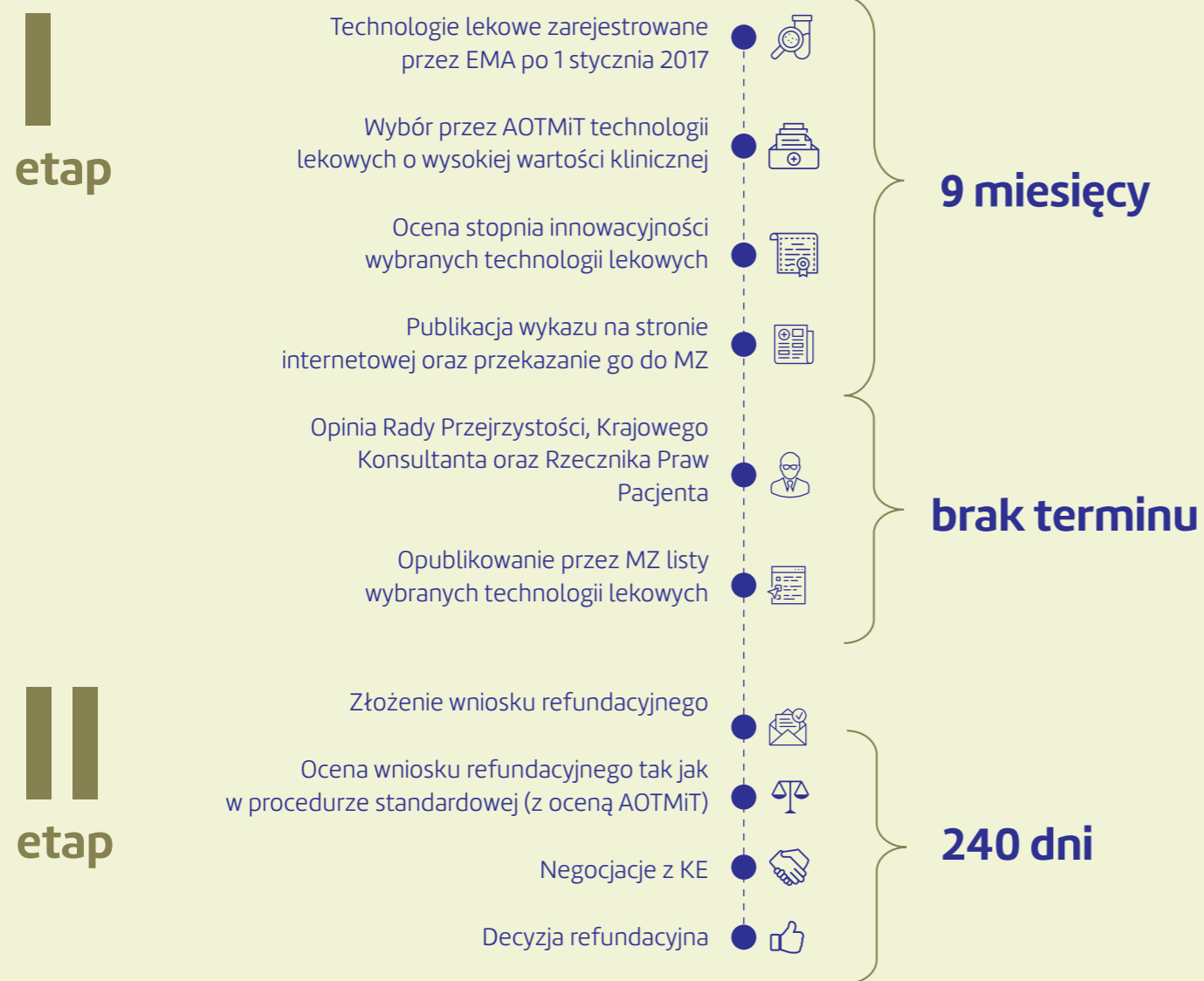
NFZ

Narodowy Fundusz Zdrowia


- Opracowanie modelu danych na podstawie dokumentacji z przebiegu procesu po wydaniu decyzji refundacyjnej
- Przekazanie danych z RSA do AOTMiT w celu ich analizy po 1,5 roku refundacji leków

Proces refundacyjno -cenowy

DLA LEKÓW O WYSOKIEJ
WARTOŚCI KLINICZNEJ



Proces refundacyjny dla technologii o wysokiej wartości klinicznej

- 
- Brak jasności co do definicji technologii lekowej i wysokiej wartości klinicznej.
 - Brak obowiązku publikacji wyników konsultacji przy ustaleniu wykazu przez MZ.
 - Lista powstaje jednorazowo i kolejne zarejestrowane technologie lekowe nie mogą być umieszczone na liście.
 - Brak informacji o postępowaniu w przypadku leków o niewykazanej wysokiej wartości klinicznej.
 - Brak obowiązku ustawowego publikacji raportu z oceny lub/i ewentualnego przesłania szczegółowego raportu do wnioskodawcy po złożeniu wniosku.
 - Brak możliwości zakwestionowania wykazu AOTMiT i listy MZ przez podmiot zainteresowany (brak umieszczenia produktu na liście), w tym brak procedur odwoławczych.
 - Brak jasności przebiegu procesów i kryteriów oceny na poszczególnych etapach, w tym danych dotyczących oceny innowacyjności czy tworzenia porozumień podziału ryzyka.
 - Formalne ograniczenie do kategorii Programów Lekowych.

Dowód dostępności

Dowód dostępności w obrocie, informacja o uzyskanych cenach: w świetle nowych przepisów ustawy refundacyjnej, wnioskodawca wraz z wnioskiem refundacyjnym przedkłada dowód dostępności produktu w obrocie w chwili składania wniosku lub w przypadku produktu leczniczego terapii zaawansowanej – zobowiązanie do zapewnienia gotowości technologicznej do jego wytworzenia.

Jest to uproszczenie dotychczasowej zasady, zgodnie z którą wnioskodawca wraz z wnioskiem refundacyjnym przedkładał dowód dostępności w obrocie w chwili składania wniosku. Obecnie, w przypadku produktu leczniczego terapii zaawansowanej, wystarczające jest zobowiązanie wnioskodawcy do zapewnienia gotowości technologicznej do jego wytworzenia.

Zmianę należy ocenić pozytywnie, ponieważ przedłożenie dowodu dostępności dla nowych technologii lekowych w niektórych przypadkach może okazać się utrudnione. Nie ma jednak pewności, czy zastosowane wyłączenie – jedynie w zakresie produktu leczniczego terapii zaawansowanej, obejmie wszystkie potencjalne przypadki, w których przedłożenie dowodu dostępności będzie problematyczne.

Propozycje zmian

- Doprecyzowanie zakresu zapisów wykazu wraz ze wskazaniem poziomu innowacyjności.
- Publikacja przez AOTMiT przeprowadzonej analizy lub streszczenia wyników oceny z przekazaniem raportu z oceny do podmiotów odpowiedzialnych po złożeniu wniosku z doprecyzowaniem metodyki oceny klinicznej oraz szczegółami propozycji rejestru.
- Zezwolenie na dostęp wnioskodawcy do danych zgromadzonych w rejestrze medycznym.
- Określenie wykorzystywania przez AOTMiT danych z rejestrów oraz możliwości odwołania się od wyników raportu AOTMiT.
- Negocjacje warunków finansowania leków po delistacji przez MZ.

5



kryteria

Ocena stopnia innowacyjności

PRZEZ AOTMiT

Podsumowanie problemów

Zakres kryteriów uwzględnianych przez AOTMiT przy tworzeniu wykazów jest katalogiem otwartym – co oznacza, że AOTMiT może brać pod uwagę inne kryteria niż wskazane w ustawie o FM



Brak określenia definicji innowacyjności oraz jej stopni

Utrudnienie procesu podejmowania decyzji refundacyjnych przez Ministra Zdrowia ze względu na uproszczenie zakresu danych niezbędnych do oceny leków o wysokim stopniu innowacyjności

Składanie wniosków w nowej ścieżce refundacyjnej dla technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności jest procedurą uproszczoną w porównaniu do dotychczasowej ścieżki refundacyjnej. Wnioskodawca nie ma obowiązku przedkładania analiz HTA wymaganych w standardowej procedurze, poza analizą wpływu na budżet na wydatki publiczne.

Celem tej regulacji jest przyspieszenie procesu refundacyjnego. Jednak powyższe rodzi potencjalne możliwości utrudnienia w zweryfikowaniu przez Ministra Zdrowia, czy zostały wszystkie kryteria refundacyjne określone w art. 12 ustawy o refundacji. W konsekwencji brak analiz HTA może utrudnić Ministrowi Zdrowia weryfikację spełnienia kryteriów refundacyjnych w porównaniu ze standardową procedurą refundacyjną.



Innowacyjność może być rozumiana w znaczeniu (1) terapeutycznym, (2) farmakologicznym, (3) technologicznym.

W ramach ustawy nie przedstawiono propozycji stopnia innowacyjności ani nie odwołano się do rozwiązań istniejących w Polsce (np. MCDA) czy wypracowanych na podstawie doświadczeń międzynarodowych.

Warto także nadmienić, że przyjęte przez ustawodawcę kryteria „innowacyjności” i „wartości klinicznej” nie są odrębnymi zbiorami. Posługiwanie się takimi pojęciami wprowadza nieporządek legislacyjny, może budzić uzasadnione wątpliwości co do znaczenia tych pojęć i w konsekwencji negatywnie wpływa na procedurę refundacyjną.

Włochy

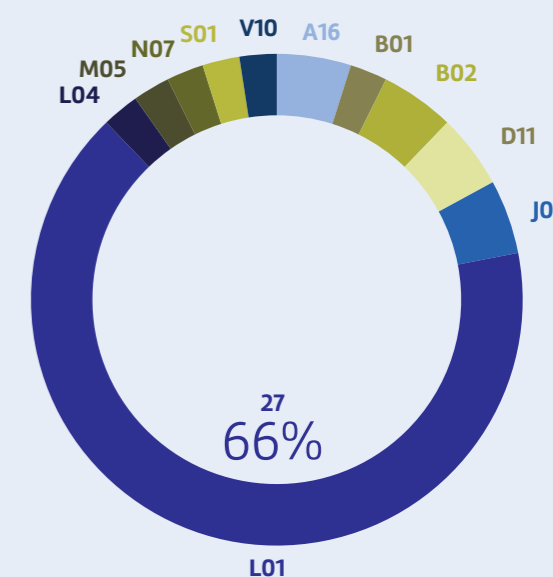
PRZYKŁAD DLA OCENY INNOWACJI



Innowacyjność to dodatkowa wartość terapeutyczna produktu lekowego względem dostępnych terapii w leczeniu ciężkich chorób, tj. zagrażających życiu/powodujących powtarzające się hospitalizacje czy powodujących niepełnosprawność w stopniu istotnie obniżającym jakość życia.

DEFINICJA INNOWACYJNOŚCI WE WŁOSZECH

Podgrupa terapeutyczna	Liczba leków (%)	Grupa leków
A16	2 (5)	Przewód pokarmowy i metabolizm
B01	1 (2)	Przeciwzakrzepowe
B02	2 (5)	Przeciwkrwotoczne
D11	2 (5)	Dermatologiczne
J05	2 (5)	Przeciwwirusowe
L01	27 (66)	Przeciwnowotworowe
L04	1 (2)	Immunosupresyjne
M05	1 (2)	Choroby kości
N07	1 (2)	Układ nerwowy
S02	1 (2)	Oftalmologiczne
V10	1 (2)	Środki radiofarmaceutyczne



Poziomy innowacyjności we Włoszech

- Nieżaspokojona potrzeba terapeutyczna
- Dodatkowa wartość terapeutyczna
- Jakość dowodów

Ważna
Ważna
Wysoka

Lek innowacyjny



Sytuacje pośrednie oceniane są indywidualnie dla każdego przypadku, biorąc pod uwagę względną wagę poszczególnych rozważanych czynników

Lek innowacyjny warunkowo

Brak
Brak
Bardzo niska

Lek nieinnowacyjny

Wprowadzono kryteria dodatkowe dla chorób rzadkich - w trakcie oceny leków sierocych lub innych leków stosowanych w chorobach rzadkich, jest brana pod uwagę trudność prowadzenia badań klinicznych.

POZIOMY INNOWACYJNOŚCI

Kryteria oceny

INNOWACYJNOŚCI

Na podstawie ustawy AOTMiT wydaje wykaz nie rzadziej niż raz w roku, z uwzględnieniem poziomu innowacyjności oraz zasady tworzenia wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności i jednorazowo o wysokiej wartości klinicznej, biorąc pod uwagę:



Duża uznaniowość AOTMiT przy ocenie poziomu innowacyjności oraz wartości klinicznej technologii lekowych.

Katalog kryteriów pozwalających na uznanie technologii lekowej za cechującą się wysokim poziomem innowacyjności jest katalogiem otwartym. Świadczą o tym użyte w art. 40a ust. 4 znowelizowanej ustawy refundacyjnej sformułowania „w szczególności” oraz „między innymi”:

„Agencja ustala poziom innowacyjności oraz zasady tworzenia wykazu (...), uwzględniając wiedzę z zakresu oceny technologii medycznych, **w szczególności** oczekiwane efekty zdrowotne, biorąc pod uwagę **między innymi** siłę interwencji, jakość danych naukowych, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, wielkość populacji docelowej oraz priorytety zdrowotne”. Zapis pozwala na wprowadzanie przez AOTMiT własnych, dodatkowych kryteriów. Zgodnie z art. 40a ust. 8 znowelizowanej ustawy refundacyjnej w/w postanowienie stosuje się odpowiednio przy sporządzaniu wykazu technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej.

Zakres opracowania analitycznego AOTMiT dla technologii medycznych w ramach Funduszu Medycznego

- Ocena niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej
- Zdefiniowanie stanu klinicznego
- Przegląd wcześniejszych ocen AOTMiT
- Analiza dostępności opcji terapeutycznych w Polsce
- Wielkość populacji docelowej
- Jakość dowodów naukowych
- Ocena siły interwencji
- Ocena ekonomiczna interwencji
- Ocena niepewności wnioskowania
- Wnioski

Kryteria oceny AOTMiT

Kryteria wymienione w ustawie o FM

niezaspokojone potrzeby



priorytety zdrowotne



oczekiwane efekty zdrowotne



siła interwencji



jakość danych naukowych



wielkość populacji docelowej



Kryteria uwzględnione w pracach AOTMiT

istotność schorzenia (lub wskazania szczegółowego), na które składają się ciężkość skutków i występowanie w Polsce

zaspokojenie potrzeby zdrowotnej, dostępność w Polsce i skuteczność technologii leczniczej w tym schorzeniu

siła wnioskowanej interwencji, uwzględniając jej skuteczności bezpieczeństwo (działania niepożądane) w rozpatrywanym wskazaniu

istotność najważniejszego punktu końcowego

dystans innowacyjny – różnica pomiędzy siłą wnioskowanej technologii a aktualnym zaspokojeniem potrzeb zdrowotnych w danym wskazaniu – jako sumaryczny miernik innowacji wynikowej

jakość dowodów naukowych

impakt budżetowy, przy uwzględnieniu wielkości populacji docelowej

innowacyjność procesowa technologii – czy jej działanie jest innowacyjne biorąc pod uwagę punkt uchwytu i mechanizm działania

koszt terapii (na miesiąc, na rok)
koszty efektu zdrowotnego (preferencyjnie LYG)

6

negocjacje
cenowe

Negocjacje cenowe

Wprowadzenie ram czasowych z Komisją Ekonomiczną (do 30 dni) – do tej pory ramy negocjacji nie były ustalone i nadal nie są dla leków w standardowej ścieżce refundacyjnej

Brak jasności co do kontynuowania rejestrów po pierwszej decyzji refundacyjnej

Ustawa przewiduje dość krótki czas na negocjacje cenowe. Przy zawieraniu skomplikowanych instrumentów podziału ryzyka opartych o efekty kliniczne konieczne jest przygotowywanie odpowiednich narzędzi i obliczeń. Jednym z tych elementów jest protokół takiego instrumentu, będący podstawą do przyszłych rozliczeń NFZ z firmą farmaceutyczną. Odpowiednie przygotowanie takiego protokołu wymaga zaangażowania klinicystów i specjalistów wykonujących obliczenia, co wydłuża czas na negocjacje.

Wątpliwości co do raportu o efektywności rzeczywistej AOTMiT, sporządzanego przed wygaśnięciem pierwszej decyzji refundacyjnej w ramach FM.
Ponadto istnieje obawa, że z uwagi na specyfikę tej ścieżki refundacyjnej, raport zostanie sporządzony w oparciu o zbyt małą próbę lub krótki okres obserwacji, stąd jego wynik może nie odzwierciedlać faktycznego stanu rzeczy.

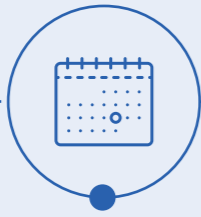
Negocjacje pierwszej decyzji refundacyjnej

1 rozpoczęcie negocjacji



ZAPROSZENIE DO NEGOCJACJI

2 czas negocjacji



MAX. 30 DNI

3 tury negocjacji



3 TURY W OKRESIE 30 DNI

4 publikacja uchwały KE



5 dodatkowe tury negocjacji



DO 10 DNI OD DNIA PODJĘCIA UCHWAŁY

6 decyzja refundacyjna



6a rejestr



6b analiza danych RWE (raport oceny AOTMiT)

INSTRUMENTY PODZIAŁU RYZYKA (RSA)



Osiągnięcie przez lek statusu leku innowacyjnego, daje liczne korzyści w zakresie cen, refundacji czy zwrotu kosztów we Włoszech

	lek innowacyjny	lek o wysokiej wartości klinicznej	inne refundowane leki
BUDŻET FM	■	■	■
ZWOLNIENIE Z OGÓLNEGO ZWROTU KOSZTÓW (PAYBACK)	■	■	leki na receptę ■ programy lekowe ■
CZAS DO ROZPOCZĘCIA LECZENIA W RAMACH PROGRAMÓW LEKOWYCH	taki sam	taki sam	taki sam
CZAS TRWANIA DECYZJI	24 miesiące	24 miesiące	24 miesiące
OBOWIĄZEK RSA OPARTEGO NA EFEKTACH ZDROWOTNYCH	■	■	■
	lek innowacyjny	lek innowacyjny warunkowo	lek nieinnowacyjny
REFUNDACJA PRZEZ FUNDUSZ LEKÓW INNOWACYJNYCH	■	■	■
ZWOLNIENIE ZE ZWROTU KOSZTÓW (PAYBACK)	■	■	■
WŁĄCZENIE DO SZPITALNYCH RECEPTARIUSZY DO 6 MIESIĘCY	■	■	■
CZAS TRWANIA DECYZJI	36 miesięcy	18 miesięcy	brak
OBOWIĄZEK RSA OPARTEGO NA WYNIKACH KLINICZNYCH	Możliwe	Możliwe	

Warunki finansowania

REJESTRY I RSA



Fundusz Medyczny wprowadza obowiązek zbierania rejestrów, które mogą być podstawą porozumień podziału ryzyka po objęciu refundacji w FM. Wprowadzone rozwiązania nie są nowe, lecz po raz pierwszy obowiązek ten obejmuje leki innowacyjne.

Ustawa refundacyjna od 2012 umożliwia wprowadzanie instrumentów podziału ryzyka w refundacji leków w oparciu o wyniki kliniczne – tzw. warunkową refundację (*conditional*) oraz oparte na efektach zdrowotnych (*outcome based schemes*) RSS.

Obecnie w programach lekowych zbierane i analizowane są dane kliniczne dla wybranych leków (bez względu na obszar terapeutyczny). W ustawie nie wskazano, kto i w jakim zakresie ma zbierać dane na potrzeby FM, lecz prawdopodobnie będzie kontynuowana ich realizacja przez NFZ.



Ustalanie ceny przy kontynuacji

W przypadku obu nowych kategorii technologii lekowych, gdy urzędowa cena zbytu w przeliczeniu na jedno opakowanie lub na jednego pacjenta ulega obniżeniu na skutek zawarcia instrumentu dzielenia ryzyka (cena efektywna) w kolejnej decyzji o objęciu refundacją produktu, cena efektywna nie może być **wyższa niż wynikająca z decyzji w odniesieniu do produktu, który w dniu złożenia tego wniosku był zawarty w obwieszczeniu.**

Przyczyny wprowadzenia opracowania raportu (OER) AOTMI T:

1. Implementacja standardu oceny porozumień podziału ryzyka na potrzeby refundacji.
2. Brak raportu HTA przy złożeniu wniosku refundacyjnego o kontynuację refundacji w ramach FM.
3. Konieczność oceny efektów zdrowotnych i ich porównanie oraz ustalenie ceny efektywnej (analiza danych RWE).

Porozumienie podziału ryzyka oparte na wynikach klinicznych

Parametr	Warunkowa refundacja (<i>conditional</i>)	Oparte na uzyskiwanych efektach (<i>outcome based schemes</i>)
Typ badań	Rejestr na podstawie protokołu badania (kraje Holandia, Dania, UK - CDF).	Forma uproszczonego rejestru (UK).
Zakres danych	Najczęściej wszystkie punkty końcowe zdefiniowane w uzgodnionym protokole. Możliwe jest zbieranie zakresu danych tak jak w badaniu klinicznym. W praktyce badania tego typu powinny się skupiać na zbieraniu klinicznie istotnych punktów końcowych, w tym surogatów.	Wybrane najistotniejsze klinicznie punkty końcowe (w tym w krótkim okresie obserwacji surogaty np. PFS), które warunkują ocenę kliniczną i warunki RSA.
Ocena efektów zdrowotnych	Na poziomie całej lub części populacji,	Ocena każdego pacjenta pojedynczo.
Implementowanie w system płatnika	Brak rozwiązań dotyczących leków na receptę.	W ramach systemu SMPT lub nowych rozwiązaniach NFZ w zakresie rejestrów.
Zakres populacji	Bez ograniczeń. W przypadku małych populacji powinni to być wszyscy leczeni pacjenci. W przypadku dużych populacji wszyscy leczeni pacjenci lub też wyznaczona próba.	Głównie małe populacje chorych - wszyscy leczeni pacjenci. Rzadko realizowana na świecie dla dużych populacji (przekraczających 20 tys. pacjentów) czy w ramach leków stosowanych na receptę.
Protokół i zakres zbierania danych o efektach zdrowotnych	Tak, jako załącznik do decyzji.	Nie jest konieczny pełen, lecz jedynie w formie uproszczonej.
Zaangażowanie lekarzy	W zależności od zakresu zbieranych danych. Może być na poziomie pełnego badania klinicznego.	Relatywnie nieduże w zależności od zakresu zbieranych danych, lecz mniejsze niż w ramach badań klinicznych.



„Fundusz Medyczny w zakresie dostępu do leków innowacyjnych oparto na dwóch mechanizmach: ratunkowym dostępie indywidualnym do technologii lekowych (RDTL), który istniał już wcześniej, ale został znacznie uproszczony i przeniesiony na niższy poziom decyzyjności, oraz na dostępie grupowym, tzw. wczesnym warunkowym dostępie do leków innowacyjnych (WDTL) w oparciu o pojęcie niezaspokojonej potrzeby medycznej. W ustawie założono też mechanizmy, które wymuszają analizę i planowanie potrzeb w zakresie WDTL (horizon scanning) oraz pozwalają na ocenę skuteczności nowych leków poprzez zastosowanie rejestrów medycznych. Co istotne, Fundusz jest swego rodzaju „poczekalnią” dla najnowszych leków – po zebraniu w trybie rzeczywistym danych na ich temat (*real world data*) będą one „przesuwane” w tryb normalnej refundacji.”



HTA Consulting
ul. Starowiślna 17/3
31-038 Kraków
hta.pl