

PROPOZYCJA NOWEGO MECHANIZMU
WCZESNEGO I WARUNKOWEGO DOSTĘPU
DO PRZECIWNOWOTWOROWYCH ORAZ
INNOWACYJNYCH TECHNOLOGII LEKOWYCH (WDTL+)



IZWOZ | INSTYTUT ZARZĄDZANIA
W OCHRONIE ZDROWIA

PROPOZYCJA NOWEGO MECHANIZMU WCZESNEGO
I WARUNKOWEGO DOSTĘPU
DO PRZECIWNOWOTWOROWYCH ORAZ
INNOWACYJNYCH TECHNOLOGII LEKOWYCH (WDTL+)

Warszawa, wrzesień 2020 r.

© Copyright by Uczelnia Łazarskiego
Warszawa 2020

DOI: 10.26399/izwoz.2020.01

Autorzy – zespół redakcyjny:

Dr Małgorzata Gałązka-Sobotka

Dr Iwona Skrzekowska-Baran

Lek. Rafał Zyśk MBA

Adwokat Monika Duszyńska

Redakcja naukowa:

dr n. ekon. Małgorzata Gałązka-Sobotka

Współpraca:

Value Communications Izabella Dessoulavy-Gładysz

Opracowanie graficzne: Laboratorium Artystyczne (www.laboratoriumartystyczne.pl), Izabela Cieślikowska

Skład: Izabela Cieślikowska

Wydawca: Uczelnia Łazarskiego

ul. Świeradowska 43, 02-662 Warszawa Polska

+ 48 /22/ 54-35-450, + 48 /22/ 54-35-410

wydawnictwo@lazarski.edu.pl

www.lazarski.pl

Projekt badawczy zrealizowany dzięki wsparciu Janssen Cilag Polska Sp. z o.o., Novartis Poland Sp. z o.o. oraz Roche Polska Sp. z o.o.

SPIS TREŚCI

1.	WSTĘP	4
2.	MECHANIZMY WCZESNEGO DOSTĘPU DO INNOWACYJNYCH TERAPII LEKOWYCH STOSOWANE NA ŚWIECIE I W POLSCE. ZALETY I OGRANICZENIA.	7
	2.1. Rozwiązania międzynarodowe	8
	2.2. Rozwiązania polskie	10
3.	WCZESNE UDOSTĘPNIANIE NAJBARDZIEJ WARTOŚCIOWYCH TECHNOLOGII LEKOWYCH – MECHANIZMY, KONSEKWENCJE FINANSOWE. WYNIKI ANALIZY HS	15
	3.1. Proces wyłaniania najbardziej wartościowych technologii lekowych w oparciu o analizę Horizon Scanning (HS)	17
	3.2. Kluczowe wnioski z raportu pt. „Koszty nowych technologii lekowych w leczeniu najczęściej diagnozowanych nowotworów”	19
	3.3. Wyniki analizy prospektywnej - koszty technologii wyłonionych w analizie HS i objętych refundacją w 2019 r.	20
4.	PROPOZYCJA NOWYCH ROZWIĄZAŃ SYSTEMOWYCH W ZAKRESIE WARUNKOWEGO DOSTĘPU DO INNOWACYJNYCH TECHNOLOGII LEKOWYCH – WDTL+	30
	4.1. Cele wdrożenia w kontekście celów polityki zdrowotnej i NSO	31
	4.2. Warunkowy, wczesny dostęp do przeciwnowotworowych oraz innowacyjnych technologii lekowych (WDTL+) – podstawowe założenia	35
	4.3. Narzędzia krytyczne dla efektywności mechanizmu WDTL+	38
	4.4. Zasady finansowania WDTL+	38
	4.5. Proces uzyskania terapii dla indywidualnego pacjenta	40
	4.6. Korzyści wynikające z przyjęcia mechanizmu	43
	4.7. Szanse i zagrożenia wdrożenia mechanizmu WDTL+	44
5.	OPINIE EKSPERCKIE	45
	BIBLIOGRAFIA	55
	SPIS TABEL I WYKRESÓW	57

Onkologia jako jedna z kluczowych i priorytetowych obszarów ochrony zdrowia, wymaga zdecydowanych działań, zmierzających do poprawy efektów leczenia. Rocznie na choroby nowotworowe umiera 106 tysięcy Polaków. Jednocześnie diagnozowanych jest aż 164 tys. nowych przypadków (Krajowy Rejestr Nowotworów stan na 2016 r).

Farmakoterapia, obok chirurgii i radioterapii, jest jedną z głównych metod leczenia pacjentów z guzami litymi, a dla chorych na nowotwory układu krwiotwórczego i chłonnego jest metodą podstawową, obok przeszczepów, którym mogą być poddani jedynie pacjenci w dobrym ogólnym stanie zdrowia. Dynamiczny rozwój medycyny, zwłaszcza genetyki, biologii molekularnej i biotechnologii pozwala odkryć i zrozumieć nowe mechanizmy powstawania choroby nowotworowej, co prowadzi do możliwości indywidualizacji terapii. Coraz bardziej widoczny staje się trend medycyny personalizowanej. Największą liczbę badań naukowych oraz najbardziej dynamiczny rozwój nowych technologii obserwujemy właśnie w obszarze leków przeciwnowotworowych.

W świetle rosnącej zachorowalności i umieralności na nowotwory w Polsce, przy jednoczesnym dynamicznym postępie medycznym, zapewnienie właściwego dostępu do nowoczesnych terapii stanowi ogromne wyzwanie ekonomiczne dla systemów ochrony zdrowia w wielu krajach EU, w tym także w Polsce.

Wymagające i czasochłonne procesy dopuszczania do obrotu leków innowacyjnych, długotrwałe procedury refundacyjne oraz niepokojące trendy epidemiologiczne w zakresie chorób nowotworowych spowodowały konieczność poszukiwania przez instytucje administrujące systemami ochrony zdrowia rozwiązań, które umożliwią znacznie szybszy dostęp do nowych metod leczenia dla ciężko chorych pacjentów. Analizie wprowadzonych na świat rozwiązania prawnych poprawiających wcześniejszy dostęp chorych do leków innowacyjnych, ze szczególnym uwzględnieniem dostępu do leków przeciwnowotworowych poświęciliśmy opublikowany w 2016 roku Raport „*Mechanizmy wczesnego dostępu do leków innowacyjnych na świecie ze szczególnym uwzględnieniem terapii onkologicznych*”. W kolejnej publikacji Instytutu pt. „*Koszty nowych technologii lekowych w leczeniu najczęściej diagnozowanych nowotworów. Prognoza 2019-2021*” przygotowanej we współpracy z Polskim Towarzystwem Onkologicznym (PTO) oraz Polskim Towarzystwem Hematologów i Transfuzjologów (PTHiT) podjęliśmy próbę oszacowania kosztów z jakimi będzie musiał mierzyć się publiczny system ochrony zdrowia, chcąc udostępnić polskim pacjentom innowacyjne terapie o wysokiej wartości dodanej. Na potrzeby tej pracy wykorzystaliśmy analizę typu Horizon Scanning (HS), która jest stałym narzędziem wykorzystywanym w planowaniu strategicznym i projektowaniu budżetu refundacyjnego w wielu krajach, a jej celem jest utrzymanie zdolności do sukcesywnego zwiększania dostępu pacjentów do najnowszych i najskuteczniejszych technologii medycznych. Była to pierwsza w Polsce tego typu analiza, która wniosła nowe spojrzenie na cele i narzędzia niezbędne do efektywnego realizowania polityki zdrowotnej w obszarze onkologii.

W obliczu niekorzystnych trendów związanych ze wzrostem zachorowań na nowotwory oraz bardzo dynamicznym postępem we wprowadzaniu na rynek europejski nowych ukierunkowanych molekularnie leków przeciwnowotworowych, immunoterapii oraz produktów leczniczych nowej generacji, uzasadnione jest monitorowanie tego postępu przez resort zdrowia w celu wczesnego rozpoznania nowych technologii medycznych o wysokiej wartości dodanej, identyfikacji zapotrzebowania na nie określonych grup chorych oraz przygotowania właściwych rezerw niezbędnych do ich sfinansowania. Dostępność do nowoczesnych technologii lekowych o wysokiej skuteczności, dających szansę nie tylko na przeżycie, ale także na poprawę jakości życia, pozwalających chorym funkcjonować – pomimo choroby – w społeczeństwie i w rodzinie, stanowi jedno z największych wyzwań polskiego systemu ochrony zdrowia. Wieloetapowość procesu refundacyjnego, referencyjność polskiego rynku farmaceutycznego dla wielu państw oraz ograniczony budżet płatnika powodują, że proces udostępnienia polskim pacjentom nowej terapii od momentu jej rejestracji w Unii Europejskiej wynosi minimum 24-36 miesięcy, co oznacza często 3 do nawet 5 lat opóźnienia możliwości zastosowania efektywnych terapii.

Zrównoważenie systemu ochrony zdrowia warunkowane jest zdolnością do ciągłego zwiększania wartości zdrowotnej, rozumianej jako poprawa wyników leczenia, doświadczeń pacjentów z korzystania z opieki medycznej oraz optymalizacji kosztowej. Droga do tego celu jest poszukiwanie i wdrażanie rozwiązań, które pozwolą skutecznie i efektywnie odpowiadać na niezaspokojone potrzeby medyczne, rozumiane jako stan, w przypadku którego w danym wskazaniu nie jest dostępna zadowalająca technologia medyczna finansowana ze środków publicznych lub nie są objęte refundacją technologie medyczne, które oferują chorym znacząco wyższą korzyść terapeutyczną (ang. clinical benefit), niż technologie aktualnie finansowane ze środków publicznych.

Zwiększanie dostępu do specjalnie wyselekcjonowanych i najbardziej wartościowych technologii lekowych musi jednak uwzględniać ograniczenia finansowe z jakimi mierzy się każdy system, w tym również nasz, dysponujący znacznie niższymi niż inne europejskie kraje nakładami na ochronę zdrowia. Stąd potrzeba stworzenia mechanizmu wczesnego dostępu do nowoczesnych technologii lekowych stosowanych w leczeniu nowotworów, opartego na refundacji warunkowej nakierowanej na pomiar efektywności w oparciu o dane pochodzące nie z badania zaprojektowanego przez producenta ale z praktyki medycznej (ang. Real World Evidence). Mechanizm ten powinien poprzedzać refundację właściwą, uregulowaną w Ustawie refundacyjnej. Autorzy niniejszego opracowania przedkładają koncepcję mechanizmu, któremu nadano nazwę Wczesnego i Warunkowego Dostępu do, Przeciwnowotworowych Technologii Lekowych (WDTL+). Dokument zawiera opis poszczególnych etapów procesu wraz z odpowiedzialnością poszczególnych interesariuszy, narzędziami krytycznymi dla skuteczności WDTL+ oraz definiuje zasady finansowania oraz ich źródło.

Mechanizm WDTL+ w systemowy sposób, w oparciu o pomiar skuteczności leków, umożliwi dostęp do najnowszych osiągnięć nauki w obszarze farmakoterapii oraz zwiększy wiedzę Ministerstwa Zdrowia oraz AOTMiT na temat efektywności terapii przed ich zasadniczą refundacją. Zagwarantuje dostęp do leków, które poprzez swoją innowacyjność są odpowiedzią na niezaspokojone potrzeby zdrowotne.

Zapewnienie warunkowego dostępu do najnowszych i skutecznych terapii dla chorych onkologicznie, niewątpliwie wpisuje się w cele polityki zdrowotnej państwa polskiego, wyrażonych w wielu aktach prawnych oraz w przyjętej w 2019 r. uchwale Rady Ministrów w sprawie Narodowej Strategii Onkologicznej na lata 2020-2030. Zdaniem autorów Raportu przyjęcie i wdrożenie rozwiązań mających zapewnić chorym na nowotwory oraz choroby onkologiczne krwi wczesny dostęp do najnowocześniejszych terapii, będące przedmiotem niniejszego opracowania, doskonale wpisuje się w cele i zadania wskazane w strategii. Przesłanką do przygotowania raportu była chęć kontynuacji prac nad analizami zawartymi w dwóch poprzednich opracowaniach IZWOZ, ale prace zbiegły się w czasie z pracami nad Ustawą o Funduszu Medycznym (FM). Autorów cieszy zbieżność wielu rozwiązań z tymi ujętymi w FM.

Eksperti Instytutu Zarządzania w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego przedkładają to opracowanie przedstawicielom organów decyzyjnych administracji państwowej oraz szeroko rozumianej opinii publicznej z nadzieją, że stanie się potwierdzeniem potrzeby rozwoju systemowych rozwiązań w zakresie planowania dostępu do innowacyjnych technologii medycznych o wysokiej wartości dodanej, potwierdzonej w dowodach naukowych, nie zapominając o potrzebie szacowania środków finansowych niezbędnych do ich zabezpieczenia w min. trzyletnich planach wydatków.

Opracowanie to nie mogło by powstać, bez wsparcia merytorycznego wybitnych ekspertów klinicznych w tym: prof. dr hab. n. med. Ewie Lech-Marańdy Konsultanta krajowego w dziedzinie hematologii i transfuzjologii, prof. dr hab. n. med. Iwony Hus Prezesa Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, prof. dr hab. n. med. Macieja Krzakowskiego Konsultanta krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej, prof. dr hab. n. med. Adama Maciejczyka Prezesa Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, prof. dr hab. n. med. Piotra Czauderny Koordynatora Sekcji Ochrony Zdrowia Narodowej Rady Rozwoju, prof. dr hab. n. med. Piotra Rutkowskiego Przewodniczącego Zespołu Ministra Zdrowia ds. Narodowej Strategii Onkologicznej. Ważny wkład w finalny kształt mechanizmu WDTL+ wnieśli też przedstawiciele organizacji pacjentów, w tym: Federacji Stowarzyszeń „Amazonki”, Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych, Stowarzyszenia Hematoonkologiczni, oraz Fundacji Onkocafe-Razem Lepiej. Wszystkim Państwu składamy serdeczne podziękowania za wsparcie merytoryczne oraz opinie nt. finalnej wersji Raportu i koncepcji mechanizmu WDTL+. Państwa wkład i zaangażowanie są dowodem, że troska o jakość opieki onkologicznej i hematoonkologicznej w Polsce łączy ludzi na rzecz poszukiwania i wypracowywania jeszcze lepszych rozwiązań, których wdrożenie realnie poprawi szanse na skuteczne leczenie.

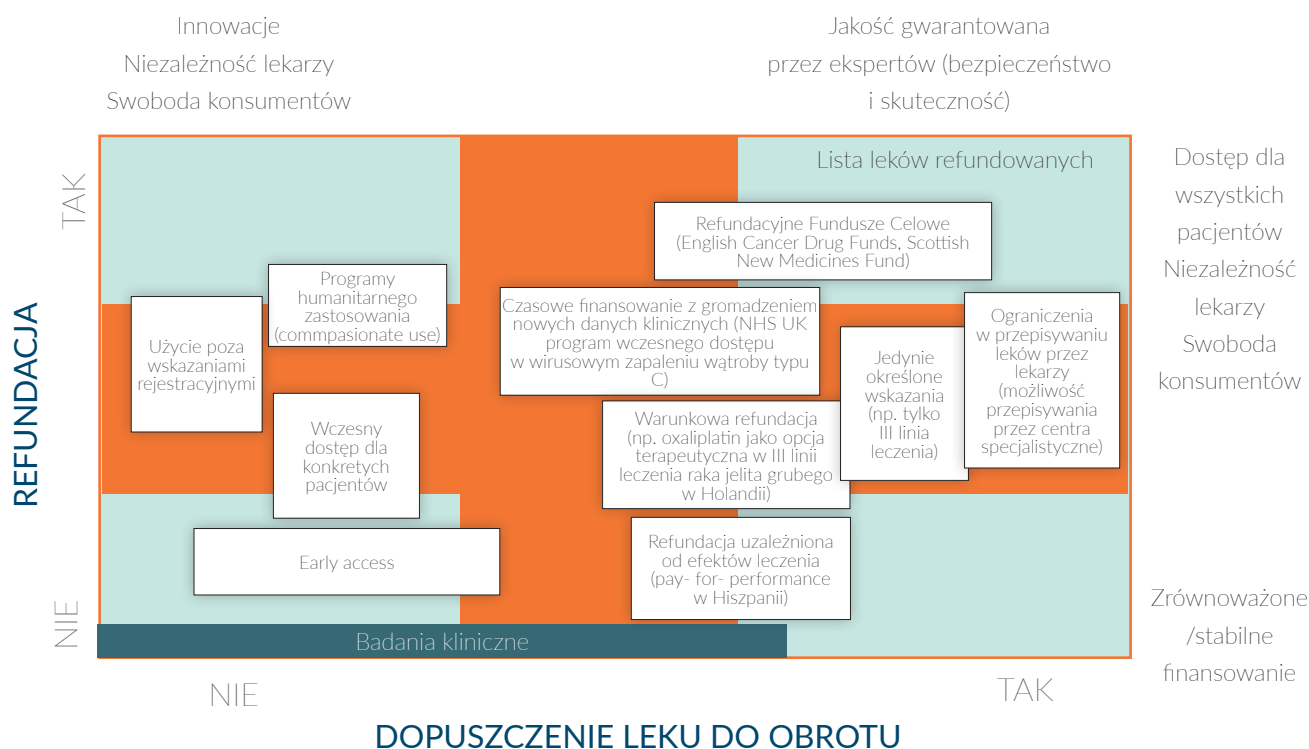
dr. Małgorzata Gałązka -Sobotka

2.1. ROZWIĄZANIA MIĘDZYNARODOWE

W przypadku obiecujących leków, które nie zostały jeszcze zarejestrowane, wczesny dostęp najczęściej przybiera formę specjalnych procedur przyspieszających rejestrację lub programów humanitarnego zastosowania (*compassionate-use*), w ramach których leki przekazywane są szpitalom nieodpłatnie przez zainteresowanych producentów. W większości przypadków beneficjentami takich programów są chorzy cierpiący z powodu choroby zagrażającej życiu, dla których brak jest alternatywy terapeutycznej.

Natomiast wczesny dostęp do innowacyjnych leków, które niedawno zostały dopuszczone do sprzedaży ma na celu skrócenie okresu oczekiwania (od daty rejestracji leku do czasu jego realnej dostępności w szpitalu) ciężko chorych pacjentów, dla których nie ma żadnej innej alternatywy terapeutycznej na podanie produktu leczniczego. W związku z zważywszy na czas rozpoczęcia terapii odgrywa niezwykle istotną rolę w leczeniu chorób onkologicznych i hematologicznych jak również tym, że wysokie ceny innowacyjnych leków, które praktycznie uniemożliwiają ich zakup ze środków własnych, programy wczesnego dostępu dotyczą najczęściej leków przeciwnowotworowych. W konsekwencji wiele krajów wprowadza rozwiązania bazujące na warunkowym finansowaniu leku w ramach specjalnych programów *early access*, na celowo wyodrębnionym budżecie płatnika dla systemowo nierefundowanych leków przeciwnowotworowych (np. *Cancer Drugs Fund* w Wielkiej Brytanii) lub specjalne programy powiązane z obowiązkowym gromadzeniem nowych danych klinicznych (programy *coverage with evidence development* w Australii, Francji, Finlandii, Holandii i Kanadzie). Często stosowane są również rozwiązania powiązane z aspektami ekonomicznymi tzw. instrumenty podziału ryzyka (ang. *financial risk-sharing schemes*)¹.

Warunki skorzystania z procedury



Źródło: Löblová O. i wsp. Health Policy 123 (2019) 630–634.

¹ <https://izwoz.lazarski.pl/projekty-badawcze/raport-mechanizmy-wczesnego-dostepu-do-lekow-innowacyjnych-na-swiecie/>

W tabeli poniżej zaprezentowano przegląd rozwiązań w zakresie wczesnego dostępu do innowacyjnych technologii lekowych na świecie.

Kategorie	Mechanizm ułatwiający wczesny dostęp do leku ciężko chorym pacjentom	Przykłady krajów wykorzystujących mechanizm
Przed dopuszczeniem leku do sprzedaży	Rapid scientific advice	EMA (EU)
	Rapid agreement of pediatric investigation plan (PIP)	EMA (EU)
	Rolling review	EMA (EU)
	Accelerated assessment	EMA (EU)
	Adaptive pathways	EMA (EU)
	PRIME	EMA (EU)
	Early Access to Medicines Scheme	Wielka Brytania
	Fondo Nazionale AIFA (centralny fundusz finansujący leki ratujące życie, które oczekują na rejestrację)	Włochy
	Arzneimittel-Härtefall-Verordnung (AMHV)	Niemcy
	SAKIGAKE accelerated approval scheme (wyłącznie leki, dla których badania prowadzono w Japonii)	Japonia
	Programy humanitarnego stosowania leku (compassionate use)	większość krajów UE (polskie regulacje nie implementują tego rozwiązania), Australia, Kanada, Turcja
Po dopuszczeniu leku do sprzedaży	Cancer Drugs Fund	Wielka Brytania
	New Medicines Fund	Szkocja (leki sieroce i leki stosowane w ramach terapii paliatywnej)
	Conditional coverage/ Conditional reimbursement/ Coverage with evidence development - programy warunkowego, okresowego finansowania powiązane z obowiązkowym gromadzeniem nowych danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa	Włochy, Niemcy, Holandia, Finlandia, Francja (Temporary Utilization Program /ATU), Kanada, Australia
	Indywidualne zgody na sfinansowanie leku systemowo nier refundowanego	Wielka Brytania ("individual funding requests")
	Węgry ("named-patient program")	
	Dočasná úhrada vysoce inovativního přípravku	Czechy
	Product Familiarisation Programs - program wczesnego dostępu dla leków, dla których toczy się procedura refundacyjna	Australia

Źródła:

<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/adaptive-pathways>

<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

<https://www.gov.uk/government/publications/early-access-to-medicines-scheme-eams-how-the-scheme-works>

<https://sp-bpr-en-prod-cdnep.azureedge.net/published/2020/1/16/Medicines-in-Scotland-1/SB%2020-08.pdf>

<https://www.mhlw.go.jp/english/policy/health-medical/pharmaceuticals/140729-01.html>

<https://www.aifa.gov.it/farmaci-a-uso-compassionevole>

<https://www.aifa.gov.it/web/guest/fondo-nazionale-aifa>

https://www.sahealth.sa.gov.au/wps/wcm/connect/83147d004ac200148921ad1be4847105/directive_Medicines_Access_Programs_v3.0_04.03.2020.pdf?mod=ajperes&camp

<https://www.highpointsolutions.com/use-of-eaps-in-the-global-pharmaceutical-environment/>

<https://www.aemps.gob.es/medicamentos-de-uso-humano/acceso-a-medicamentos-en-situaciones-especiales/>

https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/committee/stamp/stamp_stamp_agenda_point_4_es_aemps_en.pdf

<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2212109918302279>

<http://zakony.centrum.cz/zakon-o-verejnym-zdravotnim-pojisteni/cast-6-paragraf-39d>

https://www.hila.fi/content/uploads/2020/01/Information-on-conditional-reimbursement_170220.pdf

2.2. ROZWIĄZANIA POLSKIE

W Polsce nie ma specjalnej, dedykowanej ścieżki dostępu do jednocześnie nierefundowanych oraz innowacyjnych technologii lekowych. Jest kilka opcji, dzięki którym pacjent może uzyskać dostęp do innowacyjnego leczenia, ale dotyczą one ogólnie nierefundowanych technologii lekowych, które niekoniecznie są nowo zarejestrowane. Nie ma też żadnego specjalnego mechanizmu, zapewniającego dostęp do innowacyjnych leków przeciwnowotworowych.

Indywidualny dostęp do innowacyjnego leczenia, w różnych, nierefundowanych dotąd wskazaniach oraz w różnych obszarach terapeutycznych (a więc nie tylko w onkologii i hematoonkologii) pacjent może otrzymać w ramach procedury RDTL oraz refundacji indywidualnej (leki z importu docelowego). Do tej pory nie została wprowadzona do polskiego ustawodawstwa procedura *compassionate use*. Deficyt ten w rzadkich przypadkach kompensowany jest opiniami lokalnych komisji bioetycznych wydawanych na leczenie eksperymentalne. Jest to niestety proteza optymalnego rozwiązania, bardzo trudno dostępna, w niewielu ośrodkach.

2.2.1 RDTL

Ratunkowy dostęp do technologii lekowych (RDTL) został wprowadzony do polskiego porządku prawnego nowelizacją ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (t.j. Dz. U.2019 poz. 1373 (Rozdział 3a Ratunkowy dostęp do technologii lekowych), która weszła w życie 23 lipca 2017 r.

W RDTL finansowane są wyłącznie leki, które są zarejestrowane i dostępne na terenie Polski.

Warunki skorzystania z procedury



Niezbędność leku dla ratowania życia lub zdrowia świadczeniobiorcy



Wskazanie do zastosowania leku występuje u jednostkowych pacjentów



Wszystkie możliwe do zastosowania technologie medyczne (nie tylko lekowe) finansowane ze środków publicznych zostały u tego świadczeniobiorcy wyczerpane



Lek musi być zarejestrowany i dostępny na rynku polskim

Finansowanie leku w tym trybie wymaga indywidualnej zgody, wydawanej przez Ministra Zdrowia, w specjalnej i dość złożonej procedurze uregulowanej w ustawie o świadczeniach. Uruchamia ją wniosek składany przez szpital (świadczeniodawcę), gdzie pacjent jest leczony. Wypełnienie tego wniosku wymaga zebrania i podania wielu informacji, obejmujących szczegółowe dane kliniczne oraz pewne dane finansowe (należy podać wartość terapii oraz uzasadnienie tej wartości). Wniosek powinien być zaopiniowany przez konsultanta krajowego lub wojewódzkiego.

Dodatkowo, w wielu przypadkach jest konieczne uzyskanie opinii Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT). Taka opinia jest wymagana, gdy koszt leczenia w ujęciu kwartalnym lub trzech cykli leczenia przekracza $\frac{1}{4}$ średniej wartości PKB *per capita* (obecnie ok. 12.000 zł), albo gdy została wydana przynajmniej jedna zgoda dotycząca sfinansowania tego samego leku w tym samym wskazaniu w ramach RDTL (nawet jeśli koszt leczenia nie przekracza $\frac{1}{4}$ średniej wartości PKB *per capita*). Opinia AOTMiT powinna dotyczyć zasadności objęcia tego leku refundacją w ogóle, w oparciu o przeważającą część zwykłych kryteriów refundacyjnych wymienionych w art. 12 ustawy o refundacji. Minister rozstrzyga wniosek dopiero po otrzymaniu opinii AOTMiT.

Przebieg procesu wydawania zgody na RDTL



Gdy z opinii Agencji wynika, że finansowanie ze środków publicznych leku we wskazaniu objętym wnioskiem jest zasadne, Minister Zdrowia jest zobligowany wezwać producenta do złożenia wniosku o jego refundację w tym wskazaniu, w terminie 90 dni.

Minister Zdrowia ma dość ograniczone możliwości działania, gdyż wymienione w ustawie okoliczności wymuszają decyzję odmawiającą sfinansowania leku w trybie RDTL. Są to następujące sytuacje:



Z opinii Agencji wynika, że finansowanie substancji czynnej leku w tym konkretnym wskazaniu nie jest zasadne



Producent nie złożył wniosku refundacyjnego w terminie 90 dni



AOTMiT wydał rekomendację (pozytywną lub negatywną) na temat refundacji substancji czynnej leku w tym wskazaniu (czyli ewentualne postępowanie refundacyjne doszło do etapu wydania rekomendacji)



Została wydana decyzja odmawiająca refundacji substancji czynnej leku w tym wskazaniu

Wystarczy zaistnienie którejkolwiek z powyższych okoliczności, aby pacjent nie mógł uzyskać zgody na otrzymanie leku w ramach RDTL.

Istotnym problemem RDTL jest limitowany czas ważności zgody na zastosowanie leku w tym trybie, która jest wydawana przez Ministra Zdrowia maksymalnie na trzy miesiące lub na trzy cykle leczenia. Po tym okresie wygasa, i na ewentualną kontynuację leczenia wymagane są kolejne zgody, również obarczone tym samymi, lub nawet jeszcze trudniejszymi do spełnienia wymogami (wymagane potwierdzenie skuteczności dotychczasowego leczenia w ramach RDTL).

Do niedawna pacjent nie był uważany za podmiot mający jakiekolwiek prawa strony w tym postępowaniu, dotyczącym przecież jego żywotnych interesów. Nie mógł odwołać się od ewentualnej decyzji odmownej, ani nie musiał być informowany o przebiegu postępowania. Stanowisko odmawiające pacjentce prawa do udziału w postępowaniu w przedmiocie wydania decyzji na zastosowanie u niej leku w tym trybie było przedmiotem sporu przed Wojewódzkim Sądem Administracyjnym w Warszawie, w którym tenże sąd w grudniu 2019 r. uznał, że pacjentka ma prawo brać udział w takim postępowaniu w charakterze strony.

Co należałoby zmienić w procedurze RDTL, aby stała się rzeczywiście bardziej dostępna dla pacjenta?

Uproszczenie procedury wydawania zgody ministra zdrowia albo odejście w ogóle od wymogu uzyskiwania zgody ministra

Uniezależnienie refundacji leku konkretnemu świadczeniobiorcy od opinii AOTMiTu dotyczącej zasadności refundacji danej substancji czynnej w danym wskazaniu w ogóle (a nie u konkretnego pacjenta)

Zwiększenie decyzyjności Ministra Zdrowia (odejście od zasady obligatoryjnego wydawania decyzji odmownych w sytuacji zaistnienia pewnych okoliczności), gdyby wymóg uzyskania zgody MZ na RDTL miał pozostać

Wyraźne upodmiotowienie pacjenta (gdyby wymóg uzyskania zgody Ministra Zdrowia na zastosowanie RDTL miał pozostać)

2.2.2 Refundacja leków z importu docelowego i importu interwencyjnego

Istnieje jeszcze jedna potencjalna ścieżka dostępu do innowacyjnej terapii, a mianowicie refundacja indywidualna, na którą zgodę wydaje również minister zdrowia w oparciu o art. 39 ust. 1 ustawy refundacyjnej.

Procedura ubiegania się o zgodę na refundację indywidualną leku z importu docelowego lub interwencyjnego (leku niezarejestrowanego w Polsce, który uzyskał pozwolenie w oparciu o art. 4 ustawy Prawo farmaceutyczne, ale również leku niedostępnego w obrocie, np. leku zarejestrowanego przez Komisję Europejską, który nie jest jeszcze dostępny w Polsce) została dość znacząco znowelizowana tą samą ustawą, która wprowadziła zapisy odnoszące się do RDTL. Zapewne dlatego między tymi procedurami jest sporo podobieństw.

Zgodę na refundację indywidualną również wydaje Minister Zdrowia, jednak działa on na wniosek pacjenta. Zatem w tym przypadku chory staje się stroną postępowania i może skarżyć niekorzystne dla siebie rozstrzygnięcie. Minister, w toku postępowania, także może uzyskać rekomendację Prezesa AOTMiT o zasadności finansowania leku w danym wskazaniu, niemniej jednak może o nią wystąpić według swojego uznania. Zgoda na refundację leku w Polsce zarejestrowanego, ale niedostępnego, jest wydawana na okres nie dłuższy niż 1 rok.

Refundacja indywidualna, podobnie jak RDTL, jest obwarowana wieloma warunkami, przez co realne możliwości jej wykorzystania są mocno ograniczone. Z pewnością oba te mechanizmy nie są w stanie zaspokoić zapotrzebowania pacjentów onkologicznych na nowoczesne leki przeciwnowotworowe.

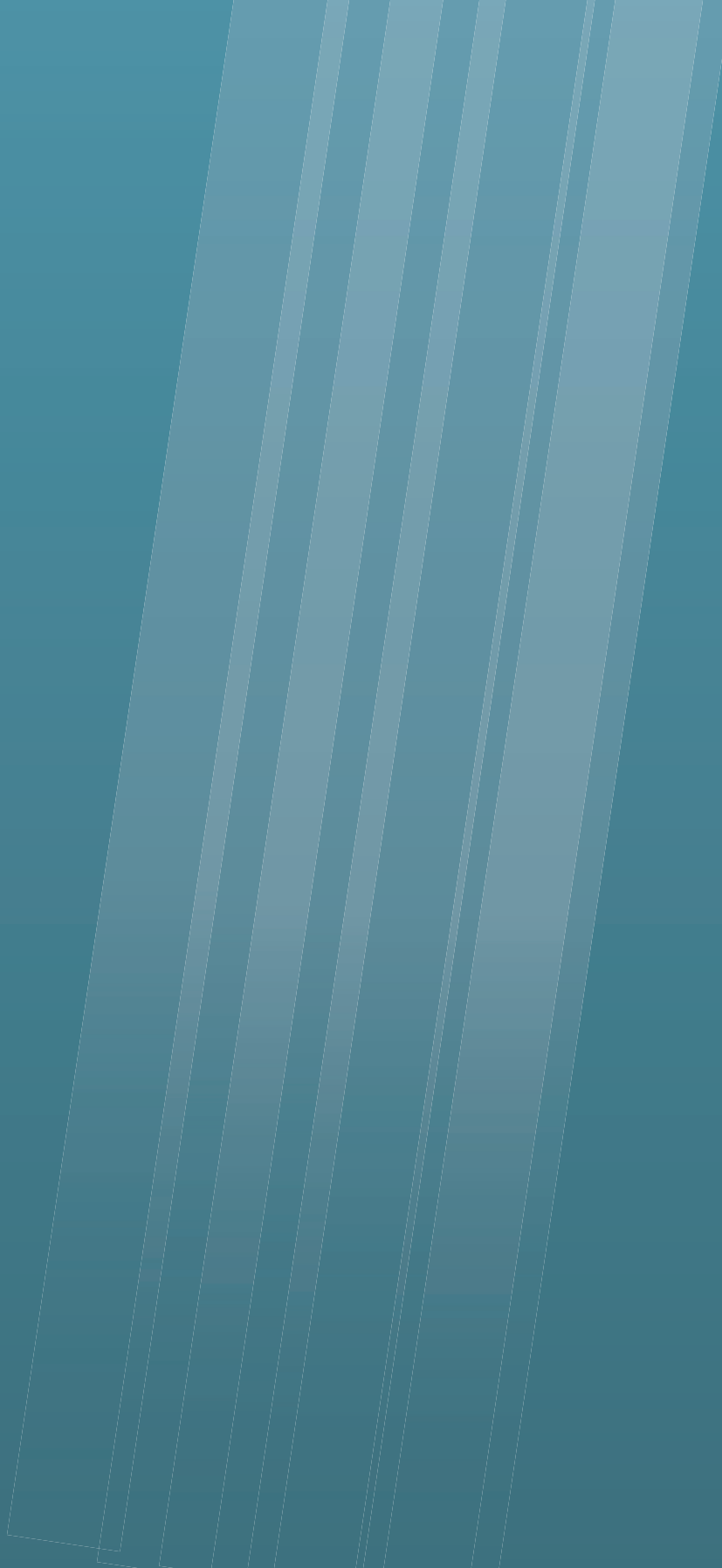
Jednakowoż, mimo istniejących ograniczeń i trudności w stosowaniu tych procedur, są one i pozostają nadal potrzebne, stanowiąc może niedoskonałą, ale jednak możliwą ścieżkę dostępu do nierefundowanych terapii dla różnych chorych, nie tylko oczywiście onkologicznych i hematoonkologicznych. Proponowany w niniejszym opracowaniu mechanizm wczesnego dostępu do innowacyjnych i przeciwnowotworowych technologii lekowych nie ma na celu zastąpienie RDTLu czy refundacji indywidualnej, ale ma je uzupełniać i stwarzać nową, dodatkową ścieżkę dostępu do nierefundowanych i najnowszych terapii, dedykowaną osobom cierpiącym na choroby nowotworowe.

2.2.3 Rozwiązania pozasystemowe

Tam, gdzie system ochrony zdrowia nie zaspakaja potrzeb pacjentów onkologicznych i hematoonkologicznych, w sytuacji zagrożenia życzenia lub bardzo poważnego zagrożenia zdrowia, pojawiają się różne mechanizmy pozasystemowe, których celem jest udostępnienie, choćby z ograniczeniami, nowoczesnego leczenia.

Jedną z możliwych dróg jest udział w badaniu klinicznym nowego leku. Oczywiście dotyczy to przede wszystkim leków jeszcze niezarejestrowanych (szczególnie badania kliniczne III fazy). Niestety dostęp do badań klinicznych jest mocno ograniczony z uwagi na samą konstrukcję badania klinicznego, w szczególności zazwyczaj dość restrykcyjne kryteria włączenia chorego do badania, ograniczoną liczbę ośrodków i badaczy, zaangażowanych w badanie, oraz limitowany czas jego trwania. Po zakończeniu badania, o ile chory miał szansę wziąć w nim udział, leczenie jest przerywane. Czasem firmy będące sponsorami badań decydują się na zapewnienie leku nieodpłatnie przez jakiś określony czas, ale jest to uzależnione od czynników, na które pacjent nie ma żadnego wpływu.

Zdarza się, że świadczeniodawcy powołują do istnienia specjalne fundacje, które pozyskują fundusze na leczenie, w tym właśnie na zakup nowych technologii lekowych, które nie są objęte refundacją. Środki finansowe do takich fundacji wpłacają chorzy lub ich rodziny lub gromadzone w nich środki pochodzą ze zbiorów publicznych (np. internetowych). Z tych funduszy (fundacji oraz pochodzących z prywatnych źródeł) pokrywana jest część lub całość kosztów nierefundowanego leku. Ogromna liczba takich zbiorów pokazuje, jak ogromne i niezaspokojone są potrzeby chorych w dostępie do leków, które w Polsce nie są finansowane ze środków publicznych, lub są finansowane w zbyt wąskim zakresie (np. poprzez ograniczenie wskazań refundacyjnych). Nie można pominąć również ryzyka, iż brak szerokiego dostępu do nowoczesnych technologii lekowych stwarza obszar do nadużyć związanych z oferowaniem pacjentom interwencji medycznych o nieudowodnionej skuteczności za granicą. Remedium na to zagrożenie byłoby zwiększenie dostępu pacjentów do informacji o wiarygodnych, choć niedostępnych w Polsce opcjach terapeutycznych. Należy jednak zauważyć, że skala tego problemu zmniejsza się wraz z upowszechnianiem się RDTL.



3. WCZESNE UDOSTĘPNIANIE NAJBARDZIEJ WARTOŚCIOWYCH TECHNOLOGII LEKOWYCH – MECHANIZMY I KONSEKWENCJE FINANSOWE. WYNIKI ANALIZY HORIZON SCANNING

Mając na uwadze opisane wyżej, niezaspokojone w wystarczającym stopniu potrzeby chorych, oraz brak mechanizmów specjalnie dedykowanych chorym onkologicznym i hematoonkologicznym, umożliwiającym tym chorym – na określonych warunkach – dostęp do specjalnie wyselekcjonowanych, nowych, obiecujących i najbardziej wartościowych technologii lekowych, pożądane jest stworzenie takiego mechanizmu – mechanizmu wczesnego dostępu do technologii lekowych stosowanych w leczeniu nowotworów (WDTL+).

Elementy procesu dopuszczenia leku do refundacji w mechanizmie WDTL+



AOTMiT przy współpracy z ekspertami klinicznymi

Selekcja w drodze analizy horizon scanning (HS) oraz przy zastosowaniu algorytmu oceny wartości dodanej leku najbardziej efektywnych technologii lekowych istotnych w leczeniu nowotworów litych oraz nowotworów krwi i układu chłonnego



Ministerstwo Zdrowia

Uzyskanie zgody producentów tych technologii oraz wynegocjowanie z nimi warunków dostaw leku, na potrzeby mechanizmu WDTL+



Minister Zdrowia

Ustalenie listy technologii lekowych objętych wczesnym dostępem do technologii lekowych WDTL+. Proces objętych konsultacjami publicznymi. Maksymalny czas objęcia technologii wczesnym dostępem - 24 miesiące



2
LATA

Minister Zdrowia

Po upływie okresu 2 lat, pod warunkiem spełnienia zwykłych kryteriów refundacyjnych, oraz po uzyskaniu i przeanalizowaniu zebranych danych i doświadczeń klinicznych, uzupełniających zwykłe dossier refundacyjne (dane z rejestrów medycznych), dana technologia lekowa mogłaby zostać objęta refundacją właściwą (na podstawie decyzji refundacyjnej).

² <https://ec.europa.eu/jrc/en/research/crosscutting-activities>

³ Cuhls KE 2020. Horizon Scanning in Foresight – Why Horizon Scanning is only a part of the game. Future and foresights science 2020;2:e23

3.1. PROCES WYŁANIANIA NAJBARDZIEJ WARTOŚCIOWYCH TECHNOLOGI I LEKOWYCH W OPARCIU O ANALIZĘ HORIZON SCANNING

Metodologie i techniki zorientowane na prognozowanie przyszłych zjawisk, perspektyw czy trendów (np. nowych technologii) mogą być stosowane indywidualnie lub łącznie. Każda z technik ma określone zalety i ograniczenia. Jedną z nich jest *horizon scanning* (HS), z którego Komisja Europejska korzysta od wielu lat. Aby zapewniać wysoki poziom naukowego wsparcia polityce UE, Joint Research Centre - ciało doradcze Komisji Europejskiej, wykorzystuje obecnie *horizon scanning* w celu monitorowania istotnych trendów oraz przewidywania przyszłych wyzwań społecznych.²

Definicja horizon scanning stosowana przez Komisję Europejską jest następująca:

Horizon Scanning w szerokim rozumieniu to systematyczne podejście do wykrywania wczesnych oznak potencjalnie ważnych zmian. Mogą to być słabe (lub wczesne) sygnały, nowe trendy, zmiany prowadzące do powstania lub redukcji ryzyk i zagrożeń, nie branych wcześniej pod uwagę. HS może być całkowicie eksploracyjny i otwarty lub ograniczony do konkretnych zagadnień w oparciu o zestaw kryteriów wykorzystywany do wyszukiwania i filtrowania informacji. W zależności o zdefiniowanych celów horyzont czasowy analizy może być krótko-, średnio- lub długoterminowy.³

”

W ocenie organizacji OECD
rzetelnie przeprowadzone analizy
HS zapewniają podstawy do
opracowania strategii
przewidywania przyszłych
zmian.

”

Z kolei organizacja OECD definiuje *horizon scanning* jako jedną z technik służących wykrywaniu i badaniu wczesnych sygnałów dla potencjalnie istotnych dla społeczeństwa odkryć lub trendów, a w szczególności dla nowych technologii.⁴ Technika często opiera się na analizie danych zastanych (ang. *desk research*), pomagającej w opracowaniu ogólnego obrazu zagadnień, które należy zbadać. Analiza obejmuje wiele różnych źródeł (czasopisma naukowe, bazy danych naukowych, strony internetowe instytucji publicznych oraz kongresów właściwych dla analizowanej problematyki) dostępnych on-line i off-line.

² <https://ec.europa.eu/jrc/en/research/crosscutting-activities>

³ Cuhls KE 2020. Horizon Scanning in Foresight – Why Horizon Scanning is only a part of the game. Future and foresights science 2020;2:e23

⁴ <https://www.oecd.org/site/schoolingfortomorrowknowledgebase/futuresthinking/overviewofmethodologies.htm>

W ocenie organizacji OECD rzetelnie przeprowadzone analizy HS zapewniają podstawy do opracowania strategii przewidywania przyszłych zmian, a tym samym uzyskania dodatkowego czasu na optymalną adaptację.

W kontekście związanym z identyfikacją nowych najbardziej obiecujących technologii medycznych i prognozowaniem ich potencjalnych korzyści dla pacjentów, HS wykorzystywany jest także jako element planistyki w polityce lekowej oraz przez komercyjnych ubezpieczycieli na potrzeby przygotowania aktualizacji zakresu finansowanych terapii.

Jako technika wczesnej identyfikacji i selekcji obiecujących, jeszcze nierefundowanych technologii lekowych będących w trakcie badań klinicznych lub w trakcie procesu dopuszczenia do obrotu HS został wykorzystany na potrzeby obecnego opracowania. Zgodnie z założeniami analizę ograniczono do technologii lekowych, które mogą być zastosowane u chorych cierpiących na najczęściej diagnozowane w Polsce nowotwory hematologiczne i guzy łe. Należy podkreślić, że w tym kontekście HS może stanowić wartościowe systemowe narzędzie planistyczne dla administracji publicznego systemu ochrony zdrowia.

Rysunek 1. Elementy kompleksowej analizy wykorzystującej horizon scanning.



Źródło: Cuhls KE 2020. Horizon Scanning in Foresight – Why Horizon Scanning is only a part of the game. Future and foresights science 2020;2:e23.⁵

⁵ <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1002/ffo2.23>

W 2020 roku międzynarodowa sieć rządowych agencji oceny technologii medycznych EuNetHTA, do której należy AOTMiT, opublikowała swoje rekomendacje dotyczące wykorzystywania horizon scanning na potrzeby oceny technologii medycznych.⁶ EuNetHTA rekomenduje powołanie centralnego unijnego ośrodka, który przeprowadzałby analizy dla nowych technologii medycznych w oparciu o wyniki horizon scanning. W pierwsze kolejności analizy te powinny obejmować nowe leki i niektóre wyroby medyczne, a docelowym odbiorcą takich analiz powinny być krajowe agencje rządowe odpowiedzialne za ocenę technologii medycznych i inne zainteresowane podmioty.

Dostępne dane z publikacji naukowych wskazują na wysoką użyteczność techniki HS, co potwierdzają korzystające z niej instytucje w wielu krajach.

Jak wynika z treści zarządzeń Prezesa AOTMiT, w 2017 roku prowadzenie monitoringu technologii medycznych przed ich rejestracją lub na wczesnym etapie rejestracji (w oparciu o horizon scanning) należało do zadań Działu Metodologii i Informacji Naukowej AOTMiT⁷. Zasadne byłoby nawiązanie w tym obszarze współpracy Agencji z Joint Research Centre.

3.2. KLUCZOWE WNIOSKI Z RAPORTU „KOSZTY NOWYCH TECHNOLOGII LEKOWYCH W LECZENIU NAJCZĘŚCIEJ DIAGNOZOWANYCH NOWOTWORÓW”

Opracowanie „Koszty nowych technologii lekowych w leczeniu najczęściej diagnozowanych nowotworów” Instytutu Zarządzania w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego z 2019 r.⁸ zawiera oszacowanie najistotniejszych dla chorych nier refundowanych technologii lekowych w leczeniu najczęściej diagnozowanych złośliwych guzów litych (6) i najczęściej diagnozowanych chorób hematologicznych (6) oraz oszacowanie rocznych wydatków

NFZ związanych z finansowaniem tych technologii. Mając na względzie dynamiczny postęp w leczeniu nowotworów, w analizie przyjęto perspektywę 2019-2021, uwzględniając technologie mogące przynieść największą korzyść dla pacjenta. Opracowanie obejmuje 30 technologii lekowych (niektóre w kilku wskazaniach) dla łącznej grupy 16 590 chorych na najczęściej diagnozowane złośliwe guzy litych oraz 20 technologii lekowych (niektóre w kilku wskazaniach) dla łącznej grupy 6 260 chorych na najczęściej diagnozowane choroby hematologiczne. Łączny koszt finansowania wyselekcjonowanych technologii lekowych dla 22 850 chorych oszacowany został na ponad 985 mln zł w skali roku. Estymacja kosztów

⁶ <https://eunetha.eu/horizon-scanning-tisp/>

⁷ http://www.aotm.gov.pl/www/wp-content/uploads/struktura_statut/Regulamin-28-04-2017.pdf

została przeprowadzona na bazie realnych danych sprzedażowych znajdujących się w sprawozdaniu finansowym NFZ za rok 2018. W analizie podkreślono, że rzeczywiste koszty większości terapii będą niższe ze względu na stosowanie poufnych mechanizmów zwrotu (tzw. payback) po przekroczeniu ustalonego poziomu wydatków NFZ w perspektywie roku, zawartych w umowach pomiędzy producentami a Ministerstwem Zdrowia.

Jak wiadomo, efektywne kreowanie polityki lekowej przez Ministra Zdrowia wymaga stałych działań analitycznych i planistycznych, które pozwalałyby na opracowywanie projektów budżetu płatnika z uwzględnieniem najistotniejszych technologii medycznych, pozostających w fazie rejestracji lub których rejestracja jest planowana w najbliższym czasie.

3.3. WYNIKI ANALIZY PROSPEKTYWNEJ - KOSZTY TECHNOLOGII WYŁONIONYCH W ANALIZIE HS I OBJĘTYCH REFUNDACJĄ W 2019 R.

Na potrzeby weryfikacji szacunków przedstawionych w raporcie pt. „Koszty nowych technologii lekowych w leczeniu najczęściej diagnozowanych nowotworów” autorzy niniejszego opracowania przeprowadzili przegląd opublikowanych obwieszczeń Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych od grudnia 2018 r. do listopada 2019 r. Ponadto przeanalizowali uaktualnienia/nowe programy lekowe: w 6 wymienionych wskazaniach onkologicznych i 6 hematologicznych. W konsekwencji wyodrębniono wszystkie nowe molekuly, które zostały objęte refundacją w 2019 r. w ramach w/w programów lekowych. Za pacjentów w objętych terapią w programie lekowym uznaj się tylko tych, dla których NFZ rozliczył przeprowadzoną diagnostykę kwalifikującą.

Analizę kosztów terapii oparto na:



wartości umów
świadczeniodawców podpisanych
na 2019 r.



wartości refundacji na dany lek
refundowany w ramach programu
lekowego



liczbie pacjentów leczonych danym
lekiem w 2019 r.

Kalkulację rocznego kosztu ww. leków oparto na sprawozdaniu Departamentu Gospodarki Lekami NFZ z wykonanego planu za 2019 r. opublikowanego w 20 marca 2020 r.⁸ Centrala NFZ podaje do wiadomości informację o wielkości kwoty refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN (GTIN) lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN (GTIN) od stycznia do grudnia 2019 r. w związku z art. 102 ust. 5 pkt 31 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Istotnym podkreślenia jest fakt, iż skalkulowany średni roczny koszt innowacyjnej terapii przeciwnowotworowej na pacjenta w 2019 r. na podstawie danych, o których mowa w punkcie 2. nie uwzględnia zawartych pomiędzy producentami a Ministerstwem Zdrowia umów dotyczących instrumentów podziału ryzyka związanych ze zwrotem kosztów po przekroczeniu ustanowionego limitu wydatków (tzw. *payback*).

Spośród uwzględnionych w prognozie na początku 2019 r., 30 nierefundowanych terapii stosowanych w leczeniu najczęściej diagnozowanych 6 złośliwych guzów litych i 6 najczęściej diagnozowanych chorób hematologicznych, do dnia 31.12.2019 r. objętych refundacją w ramach programów lekowych zostało 9 nowych substancji.

W leczeniu guzów litych zrefundowano następujące molekuły: Atezolizumabum, Alectinibum (rak płuca), Palbociclibum, Ribociclibum (rak piersi) oraz Trifluridinum + Tipiracilum (rak jelita grubego).

W leczeniu chorób hematologicznych pozytywną decyzję refundacyjną uzyskały: Venetoclaxum (przewlekła białaczka limfoblastyczna), Daratumumabum, Karfilzomib (szpiczak plazmocytowy), Blinatumomab (ostra białaczka limfoblastyczna).

Szczegóły dotyczące nowych terapii czyli kody EAN refundowanych opakowań, data i czas decyzji oraz informacje dotyczące programów lekowych znajdują się w tabeli 1 i 2.

Tabela 1. Nowe substancje chemiczne w leczeniu guzów litych – refundacja w 2019 r.

Nazwa substancji czynnej	kod EAN	Data decyzji	Okres obowiązywania decyzji	Załącznik z opisem programu lekowego	Uwagi
Atezolizumabum	5902768001167	01.01.2019	2 lata	B.6. Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca	w ramach istniejącego programu lekowego
Alectinibum	5902768001143	01.07.2019	2 lata	B.6. Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca	w ramach istniejącego programu lekowego
Palbociclibum	5907636977087 5907636977094 5907636977070	01.09.2019	2 lata	B.9. Leczenie raka piersi	w ramach istniejącego programu lekowego
Ribociclibum	5909991336769	01.09.2019	2 lata	B.9. Leczenie raka piersi	w ramach istniejącego programu lekowego
Trifluridinum + Tipiracilum	5901571320618 5901571320625 5901571320632 5901571320649	01.11.2019	2 lata	B.4. Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego	w ramach istniejącego programu lekowego

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

⁸ <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,7658.html>

Tabela 2. Nowe substancje chemiczne w leczeniu chorób hematologicznych – refundacja w 2019r

Nazwa substancji czynnej	kod EAN	Data decyzji	Okres obowiązywania decyzji	Załącznik z opisem programu lekowego	Uwagi
Venetoclaxum	8054083013688 8054083013718 8054083013916 8054083013701 8054083013695	01.11.2019 (w skojarzeniu z rytuksymabem) 01.01.2019	2 lata	B.103. Leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej wenetoklaksem	nowy program lekowy
Daratumumabum	5909991275228	01.07.2019	2 lata	B.54. Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytozowego	w ramach istniejącego programu lekowego
Karfilzomib	5909991298463 5909991256388	01.07.2019	2 lata	B.54. Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytozowego	w ramach istniejącego programu lekowego
Blinatumomab	5909991336769	01.09.2019	2 lata	B.9. Leczenie raka piersi	w ramach istniejącego programu lekowego

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

Tabela 3. Porównanie wskazań rejestracyjnych oraz refundacyjnych w Polsce/ guzy łagodne

Nowotwór	Lek / Lek	Wskazanie zarejestrowane / badane	wskazanie refundacyjne
Rak płuca	atezolizumab	drobnokomórkowy rak płuca w stadium rozległym	Leczenie drugiej linii (chorzy z niepowodzeniem wcześniejszej chemioterapii wielolekowej z udziałem pochodnych platyny lub monoterapii stosowanej z powodu zaawansowanego nowotworu) z zastosowaniem atezolizumabu w raku płaskonabłonkowym lub niepłaskonabłonkowym (niezależnie od stopnia ekspresji PDL1) zgodnie z publikowanymi kryteriami włączenia
	Alektynib	Leczenie pierwszej linii chorych na NDRP z rearanżacją ALK(	Rearanżacja genu ALK) w pierwszej linii leczenia (chorzy wcześniej nie poddawani systemowemu leczeniu z powodu zaawansowanego nowotworu) oraz w leczeniu pacjentów z zaawansowanym ALK-dodatnim niedrobnokomórkowym rakiem płuca po niepowodzeniu terapii kryzotynibem zgodnie z publikowanymi kryteriami włączenia
Rak jelita grubego	Triflurydyna/ Typiracyl	Leczenie chorych na rozlanego raka jelita grubego, którzy otrzymali wcześniej inne dostępne leczenie, w tym chemioterapię fluoropirymidynami, oksaliplatyną i irynotekaniem oraz terapię inhibitorami VEGF i inhibitorami EGFR, bądź też nie kwalifikują się do tego typu leczenia.	Leczenie trzeciej lub czwartej linii chorych na zaawansowanego raka jelita grubego z wykorzystaniem terapii skojarzonej triflurydyną oraz typiracylem zgodnie z publikowanymi w PL kryteriami włączenia

Nowotwór	Lek / Leki	Wskazanie zarejestrowane / badane	wskazanie refundacyjne
Rak piersi	Inhibitory CDK4/6 (rybocyklib, palbocyklib,	Leczenie kobiet chorych na miejscowo zaawansowanego lub uogólnionego raka piersi HR(+)/HER2(-) w skojarzeniu z gosereliną oraz tamoksyfenem lub AI lub fulwestrantem jako leczenie hormonalne pierwszej lub kolejnych linii.	Leczenie zaawansowanego raka piersi palbocyklibem lub rybocyklibem w skojarzeniu z inhibitorami aromatazy lub palbocyklibem w skojarzeniu z fulwestrantem ze ściśle określonymi kryteriami włączenia do PL
Przewlekła białaczka limfocytowa	Wenetoklaks	Leczenie chorych na PBL opornych na immunochemioterapię i inhibitory BCR.	1.Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (chorzy bez delecji 17p l ub/i mutacji TP53)2.Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (chorzy z delecją 17p lub mutacją TP53) 3. Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wenetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (chorzy bez delecji 17p lub/i mutacji TP53)
	Daratumumab (schemat trójkowy DRd)	Leczenie dorosłych chorych ze szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą terapię	
	Karfilzomib (schemat trójkowy KRd)	Leczenie chorych na nawrotowego i opornego szpiczaka mnogiego.	
	Karfilzomib (schemat dwulekowy KD)	Leczenie nawrotowego i opornego szpiczaka u chorych, u których stosowano co najmniej jeden schemat leczenia	
Ostra Białaczka limfatyczna	Blinatumomab	Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z komórek prekursorowych limfocytów B bez chromosomu Filadelfia w przypadku oporności na wcześniejszą terapię.	Leczenie blinatumomabem ostrej białaczki limfoblastycznej z komórek prekursorowych limfocytów B bez chromosomu Filadelfia. Do leczenia kwalifikowani są dorośli (≥ 18 lat) chorzy na ostrą białaczkę limfoblastyczną z komórek prekursorowych limfocytów B bez obecności genuBCR-ABL i/lub chromosomu Philadelphia, u których nie uzyskano remisji hematologicznej po leczeniu indukującym remisję

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

Tabela 4. Porównanie wskazań rejestracyjnych oraz refundacyjnych w Polsce/ hematologia

Choroba nowotworowa	Lek	Wskazanie zarejestrowane / badane	Wskazanie refundacyjne
Przewlekła białaczka limfocytowa	Wenetoklaks	Leczenie chorych na PBL opornych na immunochemioterapię i inhibitory BCR.	1. Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wnetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (chorzy bez delecji 17p/i mutacji TP53) 2. Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wnetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (chorzy z delecją 17p lub mutacją TP53) 3. Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową wnetoklaksem w skojarzeniu z rytuksymabem (chorzy bez delecji 17p lub/i mutacji TP53)
Szpiczak mnogi	Daratumumab (schemat trojlekowy DVD)	Leczenie dorosłych chorych na nawrotowego i opornego szpiczaka plazmocytozowego, których wcześniejsze leczenie obejmowało inhibitor proteasomu i lek immunomodulujący i zakończyło się niepowodzeniem.	Daratumumab w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem w leczeniu chorych na szpiczaka plazmocytozowego, u których 1. zastosowano jedną linię leczenia, obejmującą bortezomib oraz przeszczepienie komórek macierzystych szpiku i celowe jest ponowne leczenie bortezomibem zgodnie z zaleceniami klinicznymi pod warunkiem niewystępowania polineuropatii obwodowej lub bólu neuropatycznego ≥ 2 stopnia; 2. Pacjenci u których zastosowano 2 lub 3 poprzedzające linie leczenia, obejmujące bortezomib i lenalidomid.
	Daratumumab (schemat trójkowy DRd)	Leczenie dorosłych chorych ze szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą terapię	
	Karfilzomib (schemat trójkowy KRd)	Leczenie chorych na nawrotowego i opornego szpiczaka mnogiego.	Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytozowego z wykorzystaniem skojarzonego leczenia karfilzomibem, lenalidomidem i deksametazonem dla pacjentów, u których stosowano jeden, dwa lub trzy poprzedzające protokoły leczenia
	Karfilzomib (schemat dwulekowy KD)	Leczenie nawrotowego i opornego szpiczaka u chorych, u których stosowano co najmniej jeden schemat leczenia	
Ostra białaczka limfatyczna	Blinatumomab	Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną z komórek prekursorowych limfocytów B bez chromosomu Filadelfia w przypadku oporności na wcześniejszą terapię.	indukującym remisję

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

8 nowych molekuł zostało dopisanych do istniejących programów lekowych. Jedynie dla leku wnetoklaks stworzono nowy program lekowy B.103. Jak pokazuje tabelaryczne porównanie wskazań refundacyjnych są węższe w porównaniu ze wskazaniami rejestracyjnymi.

Liczba pacjentów objętych leczeniem w 2019 r. w ramach analizowanych programów lekowych została podana na podstawie rozliczonej przez NFZ diagnostyki przeprowadzonej u pacjentów włączonych do danego programu.

Tabele 5 i 6 prezentują odpowiednio szacowane liczby pacjentów objętych leczeniem, w podziale na terapie stosowane w guzach litych i hematologii.

Tabela 5. Zestawienie liczebności populacji objętej refundacją w 2019 w PL – guzy lite.

Nazwa międzynarodowa	Program lekowy	Data decyzji refundacyjnej	Liczba pacjentów PL w 2019 (dane NFZ)	Analiza weryfikacyjna (AOTMiT)	Liczba pacjentów leczonych w pierwszych 12 miesiącach
Atezolizumab	B.6. Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca	01.01.2019	692	1500-1600	1000
Alectinib	B.6. Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca	01.07.2019	55	200	130
Palbociclib	B.9. Leczenie raka piersi	01.09.2019	330	3000-5000	1000
Ribociclib	B.9. Leczenie raka piersi	01.09.2019	216	3000-5000	650
Tipiracil	B.4. Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego	01.11.2019	275	1500	1500

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

Tabela 6. Zestawienie liczebności populacji objętej refundacją w 2019 w PL – hematologia

Nazwa międzynarodowa	Program lekowy	Data decyzji refundacyjnej	Liczba pacjentów PL w 2019 (dane NFZ)	Analiza weryfikacyjna (AOTMiT)	Liczba pacjentów leczonych w pierwszych 12 miesiącach
venetoclax	B.103. Leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej wenetoklaksem	1.11.2019** i 1.01.2019	70	180	120
daratumumab	B.54. Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytozowego	01.07.2019	97	100-150	230
carfilzomib	B.54. Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytozowego	01.07.2019	59	150-300***	140
blinatumomab	B.65. Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną	01.07.2019	10	brak danych	50

** w skojarzeniu z rytuksymabem *** z lbrutynibem u chorych, którzy otrzymali I linię lub oporną i nawrotową PBL

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

W celu estymacji populacji pacjentów w perspektywie pierwszych 12. miesięcy refundacji objętych danym leczeniem wzięto pod uwagę następujące czynniki:

- realną datę rozpoczęcia realizacji programu lekowego, która była zazwyczaj późniejsza niż data decyzji refundacyjnej;
- brak limitów na realizację kontraktów w onkologii, co może skutkować przekroczeniem podpisanych przez świadczeniodawcę kontraktów;
- liczebność populacji podaną w analizach weryfikacyjnych (AWA), publikowaną przez AOTMiT;
- dynamikę włączania pacjentów do PL w perspektywie dwuletniej obowiązywania decyzji refundacyjnej.

- Atezolizumab - refundowany od 1 stycznia 2019r. pojawia się w rozliczeniach NFZ w kwotach rosnących od maja do grudnia 2019. W związku z powyższym założono, że zużycie leku w skali 12 miesięcy może osiągnąć poziom 1000 pacjentów.
- Trifluridine + Tipiracil – refundowany od 1 listopada 2019 pojawia się w rozliczeniach NFZ od listopada. Biorąc pod uwagę niezaspokojone potrzeby pacjentów, długi okres oczekiwania na refundację oraz wielkość sprzedaży w 1 miesiącu założono zużycie leku w skali 12 miesięcy dla 1500 pacjentów

Tabela 7. Estymacja kosztów refundacji /pacjenta w 2019 r.

Nazwa nowotwór	Liczba populacji leczonej w 2019	Średni koszt terapii/pacjenta w 2019 r. w zł	ŁĄCZNY KOSZT TERAPII DLA ROZPOZNANIA w 2019 r.
Leczenie raka płuca	747	31 015	23 168 205
Leczenie raka piersi	546	10 528	5 748 288
Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego	275	10 011	2 753 025
Leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej	70	34 997	2 449 790
Leczenie szpiczaka mnogiego	156	51 089	7 969 884
Leczenie ostrej białaczki limfoblastycznej	10	41295	412 950
ŁĄCZNY KOSZT TERAPII DLA WYMIENIONYCH WSKAZAŃ w 2019 r.			42 502 142

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

Podsumowanie i wnioski oraz ograniczenia analizy

W ocenie skutków polityki refundacyjnej prowadzonej w 2019 r. w zakresie cząsteczek objętych analizą HS istotne jest jak wielu pacjentów uzyskało dostęp do nowoczesnych terapii, które znalazły się na obwieszczenia ministra zdrowia. W Tabeli nr 9. Przedstawiono porównanie populacji pacjentów szacowanych przez ekspertów do objęcia terapiami względem liczny chorych, którzy z takiego leczenia skorzystali w 2019 r.

Tabela 8. Porównanie liczebności populacji pacjentów

Nazwa międzynarodowa	Prognoza 2019-2021	Liczba pacjentów w 2019 (1 roku finansowania przez NFZ)
Atezolizumab	1600	1000
Alectinib	200	130
Palbociclib	3000*	1000
Ribociclib		650
Trifluridine + tipiracil	2000	1500
Venetoclax**	160+ 1300	100
Daratumumab	700***	400
Carfilzomib	500****	250
Blinatumomab	50	50

* prognoza dotyczy (rybociklib,palbociklib,abemacyklib)
 ** prognoza dla venetoklaxu dotyczyła nawrotowej i opornej PBL oraz schematu z rytuksymabem wspólnie/zamiennie lbrutinib
 *** prognoza dotyczyła wskazania: Leczenie dorosłych chorych na nawrotowego i opornego szpiczaka plazmocytozowego, których wcześniejsze leczenie obejmowało inhibitor proteasomu i lek immunomodulujący i zakończyło się niepowodzeniem oraz Leczenie dorosłych chorych ze szpiczakiem plazmocytozowym, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą terapię.
 **** Leczenie chorych na nawrotowego i opornego szpiczaka plazmocytozowego oraz leczenie nawrotowego i opornego szpiczaka u chorych, u których stosowano co najmniej jeden schemat leczenia.

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

Zestawienie danych dotyczących liczebności populacji wskazuje, że liczba pacjentów oszacowana na podstawie refundacji NFZ w 2019 r. jest mniejsza niż estymowana przez ekspertów klinicznych. Różnice wynikają z faktu, iż:

wskazania refundacyjne obowiązujące w danym programie lekowym są węższe niż wskazania rejestracyjne, na podstawie których dokonano prognozy,

istnieją możliwości występowania bias, wynikającego z przyjętej metodologii oszacowań dla pełnych 12 miesięcy,

populacja wyliczona na podstawie refundacji dotyczy pierwszych 12. miesięcy realizowania danego programu lekowego. W kolejnym roku finansowania należy zakładać wzrost liczebności danej populacji.

Estymacja populacji w kolejnych latach finansowania powinna opierać się między innymi na analizie przyszłego otoczenia refundacyjnego/konkurencji w danym wskazaniu, co może być na tym etapie obarczone dużym błędem.

Można zaryzykować twierdzenie, że populacje docelowe w kolejnych latach finansowania programów lekowych mogą osiągnąć prognozowane wielkości.

Jedyny wyjątek stanowi Blinatumumab w ostrej białaczce limfatycznej, gdzie estymowana liczebność pacjentów jest zgodna z prognozą już w pierwszym roku obowiązywania umowy refundacyjnej. W tym przypadku można spodziewać się przekroczenia prognozowanej wielkości populacji.

Tabela 9. Porównanie kosztów terapii/pacjenta/rok

Nowotwór	Średni koszt terapii/pacjenta/rok – prognoza (raport IZWOZ)	Średni koszt terapii/pacjenta w 2019 (dane NFZ)
Leczenie raka płuca	35 262	31 015
Leczenie raka piersi	50 014	10 528
Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego	40 146	10 011
Leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej	50 924	34 997
Leczenie szpiczaka mnogiego	91 534	51 089
Leczenie ostrej białaczki limfoblastycznej	50 583	41 295

Źródło: Opracowanie własne na podstawie danych NFZ.

Różnice w kosztach pomiędzy prognozą a oszacowanym średnim kosztem terapii w 2019 r. wynikają przede wszystkim z niepełnej rocznej realizacji danego programu lekowego.

Koszy leczenia raka płuca w prognozie i oszacowaniu różnią się w niewielkim stopniu. Wynika to z faktu, że Atezolizumab był ujęty na liście refundacyjnej od 1.01.2019 r. a pierwsze opakowania leku zostały udostępnione chorym w maju 2019 r. W pozostałych 8 przypadkach nowe molekuly zostały faktycznie refundowane w większości w III i IV kwartale 2019 r. Największe różnice pomiędzy prognozowanym kosztem a estymowanym średnim kosztem w pierwszych 12 miesiącach obserwujemy w przypadkach molekuł refundowanych najkrócej. Przykładowo.: koszt/pacjenta/rok z użyciem molekuły Trifluridine + Tipiracil, który był refundowany od listopada 2019 r. jest dużo niższy od prognozowanej wartości.

Zestawienie średnich kosztów na pacjenta w 2019 r. należy traktować poglądowo.

Zwłaszcza, że prognoza kosztu/pacjenta /rok w danym obszarze terapeutycznym opierała się na oszacowaniu kosztów kilku molekuł w danym obszarze terapeutycznym. Uaktualnienie tegoroczne przedstawia natomiast koszty dla jednej lub dwu molekuł w wskazaniu onkologicznym.

Pomimo staranności analitycznej zachowanej w procesie przeprowadzania uaktualnienia analizy, uzyskane oszacowania obarczone są kilkoma ograniczeniami, których uniknięcie nie było możliwe.

1. Oszacowania liczebności populacji pacjentów, którzy zostali kwalifikowali się do leczenia refundowanymi nowymi lekami przeciwnowotworowymi dokonano na podstawie, dla których NFZ rozliczył przeprowadzoną diagnostykę. Należy mieć na względzie, iż liczebność populacji leczonej w 2019 r. powinna być zweryfikowana na podstawie unikalnych peseli pacjentów.
2. Do wyliczeń kosztu terapii rocznej innowacyjnym lekiem przeciwnowotworowym refundowanym od 2019 r. posłużyło sprawozdanie Departamentu Gospodarki Lekami NFZ z wykonanego planu za 2019 r. Ograniczeniem przeprowadzanych estymacji jest brak danych z pełnych 12 miesięcy realizacji umowy.
3. Dodatkowym ograniczeniem przeprowadzonej estymacji liczebności populacji jest niepewność dotycząca dynamiki procesów refundacyjnych dotyczących leków konkurencyjnych w danym obszarze terapeutycznym.
4. Dodatkowo należy zaznaczyć, że rzeczywiste koszty niektórych terapii będą niższe ze względu na stosowanie poufnych mechanizmów zwrotu (tzw. *payback*) po przekroczeniu ustalonego poziomu wydatków NFZ w perspektywie roku, zawartych w umowach pomiędzy producentami a Ministerstwem Zdrowia.

Biorąc pod uwagę ograniczenia analizy warto podkreślić, że liczebność populacji pacjentów leczonych nowymi molekułami w ramach uaktualnionych programów lekowych najprawdopodobniej nie przekroczy prognozowanych ilości. Średnie koszty terapii nowymi lekami są niższe niż zakładane w prognozie opracowanej na początku 2019 r. przez IZWOZ. Rzeczywiste koszty większości terapii będą jeszcze niższe ze względu na stosowanie poufnych mechanizmów zwrotu (tzw. payback) po przekroczeniu ustalonego poziomu wydatków NFZ w perspektywie roku, zawartych w umowach pomiędzy producentami a Ministerstwem Zdrowia, co podkreślono również w pierwotnej analizie.

4.1. CELE WDROŻENIA W KONTEKŚCIE CELÓW POLITYKI ZDROWOTNEJ I NARODOWEJ STRATEGII ONKOLOGICZNEJ

Zapewnienie warunkowego dostępu do najnowszych i skutecznych terapii dla chorych dotkniętymi tak poważnymi schorzeniami, jak choroby onkologiczne, niewątpliwie wpisuje się w cele polityki zdrowotnej państwa polskiego, wyrażonych w wielu aktach prawnych oraz w przyjętej w tym roku uchwale Rady Ministrów w sprawie Narodowej Strategii Onkologicznej na lata 2020-2030.

Aktem najwyższej rangi jest tu Konstytucja RP, której art. 68 przyznaje każdemu prawo do ochrony zdrowia i jednocześnie nakłada na władze publiczne obowiązek zapewnienia obywatelom równego dostępu do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, niezależnie od sytuacji materialnej. Przyjmuje się, że przepisu Konstytucji nakładają na władze publiczne obowiązek stworzenia funkcjonalnego i sprawnego systemu ochrony zdrowia, którego zadaniem i skutkiem jest ciągłe podnoszenie poziomu zdrowotności społeczeństwa, co zakłada znajdowanie i finansowanie takich narzędzi, które pozwolą ten cel efektywnie realizować, w ramach dostępnych środków publicznych. Ten system musi uwzględniać potrzeby najciężiej chorych, także tych jednostkowych pacjentów, dla których obecnie refundowane ze środków publicznych terapie nie są dostępne z uwagi na spodziewany brak skuteczności, ryzyko działań niepożądanych czy jakiegokolwiek inne czynniki dotyczące tych chorych.

Niezależnie od samej Konstytucji, obowiązek zapewnienia możliwie skutecznych opcji terapeutycznych dla pacjentów onkologicznych i hematoonkologicznych można wywieść z przepisów co najmniej kilku aktów prawnych:



Ustawą z dn. 26 kwietnia 2019 r. Rada Ministrów została zobowiązana do przyjęcia strategii w obszarze onkologii dla Rzeczypospolitej Polskiej, na lata 2020-2030 (zwanej niekiedy cancer planem). W preambule do tej ustawy wymieniono powody konieczności jej wdrożenia między innymi jakie jak obecny i prognozowany wzrost zachorowań na choroby nowotworowe. (w jednym zdaniu). Skutki wynikające z tego wzrostu to:

Obecny i prognozowany wzrost zachorowań na choroby nowotworowe

Wynikające z tego wzrostu skutki w postaci:

- dużej śmiertelności
- poważnych konsekwencji społecznych, w tym pogorszenia jakości życia chorych i ich rodzin
- znacznego obciążenia finansowego związanego z leczeniem chorób nowotworowych dla obywateli i finansów publicznych

Jednym z wymienionych w ustawie celów Strategii (art. 2 ustawy) jest zapewnienie równego dostępu do wysokiej jakości świadczeń opieki zdrowotnej w obszarze onkologii, udzielanych zgodnie z aktualną wiedzą medyczną.

Strategia została przyjęta uchwałą nr 10 Rady Ministrów z dn. 4 lutego 2020 r. w sprawie przyjęcia programu wieloletniego pn. Narodowa Strategia Onkologiczna na lata 2020-2030. Narodowa Strategia Onkologiczna proponuje prowadzenie działań w pięciu obszarach:

1. Inwestycje w kadry – Poprawa sytuacji kadrowej i jakości kształcenia w dziedzinie onkologii.

2. Inwestycje w edukację, prewencja pierwotna i styl życia – Ograniczanie zachorowalności na nowotwory przez redukcję ryzyka w zakresie profilaktyki pierwotnej nowotworów.

3. Inwestycje w pacjenta, prewencja wtórna – Poprawa skuteczności profilaktyki wtórnej.

4. Inwestycje w naukę i innowacje – Zwiększenie potencjału badań naukowych i projektów innowacyjnych w Polsce w celu umożliwienia pacjentom korzystania z najskuteczniejszych rozwiązań diagnostyczno-terapeutycznych.

5. Inwestycje w system opieki onkologicznej – Poprawa organizacji systemu opieki onkologicznej przez zapewnienie pacjentom dostępu do najwyższej jakości procesów diagnostyczno-terapeutycznych oraz kompleksowej opieki na całej „ścieżce pacjenta”.

Jednym z celów w ramach obszaru czwartego Strategii (Inwestycje w naukę i innowacje) jest zwiększenie potencjału badań naukowych i projektów innowacyjnych w Polsce w celu umożliwienia pacjentom korzystania z najskuteczniejszych rozwiązań diagnostycznoterapeutycznych. Jednym z siedmiu oczekiwanych rezultatów działań podjętych w tym obszarze ma być osiągnięcie do końca 2030 r. poziomu przynajmniej 90% dostępnych terapii onkologicznych wśród wszystkich refundowanych na terenie UE.

Osiągnięciu tych oczekiwanych rezultatów mają służyć określone działania i odpowiedzialność poszczególnych urzędów i instytucji. Jako działanie nr 16 wskazano zapewnienie dostępu do innowacyjnych terapii w onkologii i hematologii, co ma zostać zrealizowane dzięki wypełnieniu następujących zadań:



wprowadzeniu rozwiązań
legislacyjnych umożliwiających
skrócenie czasu dostępu chorych
do innowacyjnych terapii
(do końca 2020 r.)



wypracowaniu zasad gromadzenia
i analizy danych dotyczące
skuteczności innowacyjnych terapii
stosowanych w Polsce
(do końca 2022 r.)



rozszerzaniu wykazu leków
refundowanych w terapiach
onkologicznych, oferując
pacjentom sukcesywny wzrost
dostępu do najnowszych metod
terapeutycznych
(do końca 2030 r.)

Odpowiedzialność za wykonanie tych zadań spoczywa na Ministrze Zdrowia.



Niewątpliwie przyjęcie i wdrożenie rozwiązań mających zapewnić chorym na nowotwory oraz choroby onkologiczne krwi warunkowy dostęp do najnowocześniejszych terapii, będące przedmiotem niniejszego opracowania, doskonale wpisuje się w cele i zadania wskazane w Strategii.

4.2. WARUNKOWY WCZESNY DOSTĘP DO PRZECIWNOWOTWOROWYCH ORAZ INNOWACYJNYCH TECHNOLOGII LEKOWYCH (WDTL+) – PODSTAWOWE ZAŁOŻENIA

Niniejszy dokument ma na celu przedłożenie opinii publicznej propozycji nowego mechanizmu wczesnego dostępu do przeciwnowotworowych oraz innowacyjnych technologii lekowych, opartego na refundacji warunkowej, poprzedzającej refundację właściwą, uregulowaną w Ustawie refundacyjnej. Mechanizm ten zwany jest w skrócie WDTL+.

Kryteria kwalifikacji danej technologii do objęcia jej wczesnym dostępem byłyby następujące:

- wskazanie w leczeniu nowotworów litych i nowotworów układu krwiotwórczego i chłonnego
- dopuszczenie do obrotu w procedurze centralnej w ciągu ostatnich lat (okres ustalony w metodyce HS)
- wysoka wartość kliniczna, definiowana w oparciu o algorytm wartości dodanej leku (ESMO/ASCO/AOTMiT).

Mechanizm ten zakładałby następujące działania:



1. **wyłanianie technologii lekowych, w obszarze onkologii i hematoonkologii, o najwyższej wartości dodanej spośród rejestrowanych lub oczekujących na rejestrację w Unii Europejskiej/EOG.** Odpowiedzialność AOTMiT we współpracy z Zespołem Ekspertów. Metodologia Horizon Scanning. Technologie lekowe, o których mowa, powinny stanowić odpowiedź na **niezaspokojone potrzeby medyczne**⁹, rozumiane jako stan, w przypadku którego w danym wskazaniu: nie jest dostępna zadowalająca technologia medyczna finansowana ze środków publicznych lub nie są objęte refundacją technologie medyczne, które oferują chorym znacząco wyższą korzyść terapeutyczną (ang. clinical benefit) niż technologie aktualnie finansowane ze środków publicznych.



2. **uzyskiwanie zgody producenta** technologii na objęcie jej mechanizmem wczesnego dostępu, **wynegocjowanie ceny oraz innych** warunków sprzedaży leku w ramach tego mechanizmu



3. **Coroczne sporządzanie LISTY TECHNOLOGII OBJĘTYCH WCZESNYM DOSTĘPEM (Lista WDTL+)** przez właściwy organ (Minister Zdrowia) z uwzględnieniem opinii ZESPOŁU EKSPERTÓW. Lista ta będzie sporządzona na bazie wniosków z analizy HS przy jednoczesnym zastosowaniu **ALGORYTMU WARTOŚCI DODANEJ LEKÓW (ESMO/ASCO/PTO-PTOK-AOTMiT)**. Wybrane technologie lekowe będą mogły znajdować się na takiej liście przez okres nie dłuższy niż dwa lata.

⁹ Na podstawie Rozporządzenia (WE) nr 726/2004 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 31 marca 2004 r. ustanawiające unijne procedury wydawania pozwoleń dla produktów leczniczych stosowanych u ludzi i do celów weterynaryjnych i nadzoru nad nimi oraz ustanawiające Europejską Agencję Leków, art. 14a.

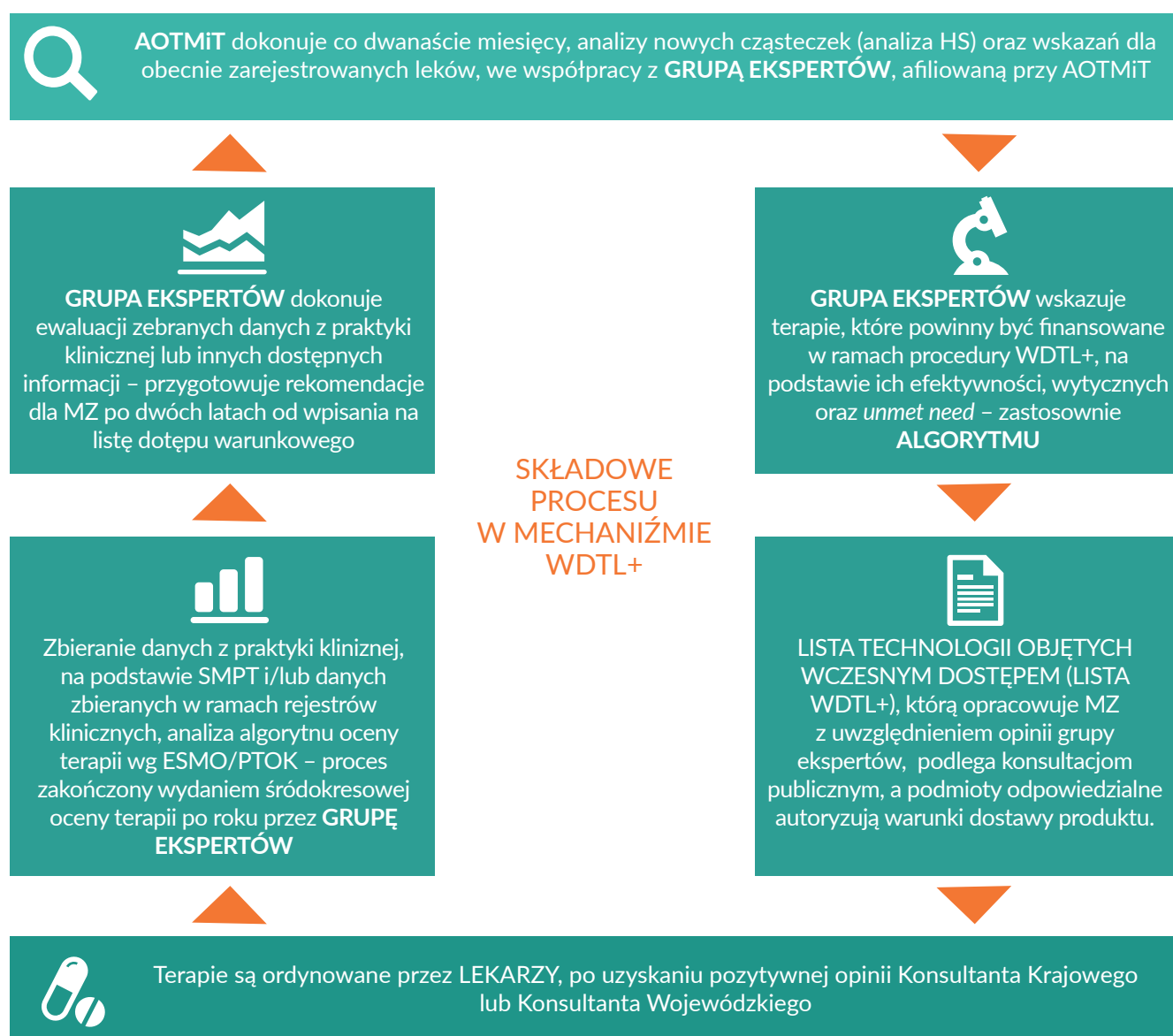


4. **dokonywanie okresowej oceny efektywności i bezpieczeństwa** technologii lekowych objętych warunkowym dostępem (rejestr WDTL+) przez AOTMiT we współpracy z ZESPOŁEM EKSPERTÓW



5. **formułowanie rekomendacji** dla refundacji zwykłej przez AOTMiT we współpracy z ZESPOŁEM EKSPERTÓW

Etapy procesu warunkowego dostępu do innowacyjnych technologii lekowych WDTL+



Źródło: Opracowanie własne.

Rola poszczególnych Interesariuszy w mechanizmie WDTL+

MZ	Zatwierdzanie wniosków z analizy HS Ogłaszanie Listy technologii objętych wczesnym dostępem Przyjmowanie Raportu z analizy danych zbieranych w rejestrze WDTL+ (Lista WDTL+)
AOTMiT	Analiza HS Wsparcie analityczne zespołu eksperckiego
ZESPÓŁ EKSPERCKI	Konsultowanie analiz, opiniowanie wniosków i rekomendacji dla AOTMiT Opiniowanie projektu Listy technologii objętych wczesnym dostępem (Lista WDTL+). Opracowanie raportu z analizy danych zbieranych w rejestrze WDTL+ i rekomendacji technologii objętych wczesnym dostępem do zwykłej refundacji
LEKARZ	Kierowanie na leczenie z zastosowaniem leku z listy WDTL+ (pod warunkiem uzyskania pozytywnej opinii konsultanta wojewódzkiego lub krajowego)
PRODUCENT LEKU	Wyrażanie zgody na udostępnienie leku w ramach mechanizmu wczesnego, warunkowego dostępu (WDTL+), przedstawienie propozycji cenowej oraz innych proponowanych warunków dostaw leku, ustalenie tych warunków w toku negocjacji prowadzonych z Ministrem Zdrowia przy wsparciu Zespołu Ekspertów. Podpisanie Umowy, zgodnie z ustaleniami

Źródło: Opracowanie własne.

4.3. NARZĘDZIA KRYTYCZNE DLA EFEKTYWNOŚCI MECHANIZMU WDTL+

Efektywne zarządzanie mechanizmem WDTL+ wymaga odpowiednich narzędzi. Za kluczowe uznaje się:

- **Horizon scanning**, który powinien być systematycznie przeprowadzany przez AOTMiT. Wykorzystanie HS dla przeglądu innowacyjnych przeciwnowotworowych technologii lekowych mogłoby być początkiem szerokiego stosowania tej analizy do długoterminowego planowania refundacji innych technologii, także nielekowych.
- **Algorytm wartości dodanej leku**. Oprócz wymogu wykazania w badaniach korzyści istotnych klinicznie, na potrzeby selekcji, liczne państwa wprowadziły wymóg weryfikacji efektywności kosztowej. W związku z ograniczeniami, z którymi wiąże się stosowanie jednostki QALY (ang. quality adjusted life years) coraz częściej wykorzystywanym rozwiązaniem stają się algorytmy oceny wartości dodanej leku. Narzędzia te przyjęły się z sukcesem w brytyjskim i szwajcarskim systemie ochrony zdrowia. W 2015 roku naprzeciw oczekiwaniom ubezpieczycieli i płatników wyszły największe onkologiczne towarzystwa naukowe: Europejskie Towarzystwo Onkologiczne (ESMO) i Amerykańskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (ASCO), publikując propozycje własnych algorytmów oceny leku przeciwnowotworowego. W tym samym roku opublikowana została również wspólna propozycja algorytmu, stworzonego przez ekspertów polskich onkologicznych towarzystw naukowych (PTOK, PTO). Na potrzeby wdrożenia WDTL+ zasadny jest przegląd algorytmu PTOK i PTO lub opracowanie jego nowej wersji np. we współpracy z AOTMiT.
- **Rejestr WDTL+**. Warunkowy dostęp do najnowszych technologii oparty powinien być na przejrzystym, transparentnym i skutecznym procesie monitoringu i ewaluacji skuteczności terapii. W procesie tym kluczową rolę muszą odegrać rejestry medyczne. W przypadku WDTL+ rekomenduje się stworzenie odrębnego poza systemu sprawozdawczości, analogicznego do SMPT, ale unikając wszystkich słabości i błędów popełnianych przy konstruowaniu SMPT, w szczególności gromadzenia nadmiaru informacji, które w konsekwencji nie umożliwiają oceny skuteczności terapii.

4.4. ZASADY FINANSOWANIA WDTL+

Zasady finansowania WDTL+ należy rozpatrywać w kontekście:

- **Ustalania ceny leku zakwalifikowanego do WDTL+**

Po przeprowadzeniu analizy HS oraz wyłonieniu wstępnej listy proponowanych technologii lekowych, które mogłyby znaleźć się na właściwej liście WDTL+ (liście technologii lekowych objętych wczesnym dostępem, ogłaszanej przez Ministra Zdrowia) kolejnym krokiem byłoby ustalenie warunków finansowych dostaw tych technologii. Ten etap wymagałby dokonania ustaleń finansowych z dostawcą (producentem) leku.

Ustalenia powinny zapadać między producentem (dostawcą) a Ministrem Zdrowia, przy wsparciu specjalnego zespołu powołanego przez Ministra, który odpowiadałby za negocjowanie szczegółowych warunków dostaw leku. Zespół nie powinien być zbyt liczebny ani procedura nie powinna być zbyt złożona – chodzi bowiem o ustalenie warunków finansowych dla leku jedynie na okres warunkowej refundacji. Byłoby pożądane zwrócenie uwagi na zakres kompetencji instytucji reprezentowanych w tym zespole. Konieczne jest, aby wzorem Cancer Drug Fund w Wielkiej Brytanii w skład takiego zespołu wchodził przedstawiciel NFZ oraz AOTMiT.

Minister Zdrowia wzywałby dostawcę (producenta) leku do złożenia oferty cenowej. Oferta mogłaby zawierać nie tylko cenę dostawy, ale także instrumenty dzielenia ryzyka, czyli np. propozycję dostaw leku po obniżonej cenie (wszystkich lub do określonego limitu), propozycję refundacji do określonego limitu (cap), po przekroczeniu którego producent byłby zobowiązany do finansowania terapii na swój koszt, lub po przekroczeniu którego byłby zobowiązany do dokonywania zwrotu części kosztów poniesionych przez płatnika na warunkową refundację leku.

Po złożeniu oferty, jeśli byłaby taka potrzeba, odbywałyby się negocjacje (w szczególności wówczas, gdyby Minister Zdrowia uznał, że nie może przyjąć oferty bez zmiany jej warunków), na których zapadałyby ostateczne ustalenia co do warunków dostaw. Spisywana byłaby umowa pomiędzy Ministrem Zdrowia z dostawcą (producentem) leku, w której byłyby zawarte postanowienia odnośnie ceny leku oraz ewentualnych instrumentów dzielenia ryzyka, jak również minimalny wolumen leku, jaki producent zapewni na czas objęcia leku trybem wczesnego dostępu. Umowa powinna być możliwie prosta, aby jej wykładnia nie budziła wątpliwości. Niewykonywanie lub niewłaściwe wykonywanie umowy przez producenta (np. oferowanie leku po wyższej cenie niż ustalona, brak dostaw, lub dostawy poniżej zadeklarowanych ilości pomimo zamówień) narażałoby go nie tylko na odpowiedzialność cywilno-prawną, ale także pociągałoby za sobą usunięcie leku z listy WDTL+.

Po podpisaniu umowy byłaby wydawana decyzja administracyjna (Minister Zdrowia) o wpisaniu leku na listę WDTL+. Usunięcie leku z listy, oraz jego ewentualne ponowne wpisanie, następowałoby w drodze decyzji administracyjnej, od której przysługiwałyby środki odwoławcze na zasadach określonych w KPA.

Dana technologia, która uzyskała pozytywną rekomendację w ramach analizy HS, oraz której warunki dostawy zostały uzgodnione w trybie opisanym powyżej, byłaby obejmowana wczesnym dostępem (wpisywana na listę technologii objętych wczesnym dostępem) na okres 2 lat. Na taki też okres byłyby zawierane umowy obejmujące warunki handlowe dostawy leku. Jednakże już po pierwszym roku dokonywana byłaby ewaluacja technologii lekowej i Minister Zdrowia byłby uprawniony do renegotjowania warunków umowy zawartej z producentem. Przesłanki uprawniające do renegotjacji warunków umowy byłyby następujące:

- niższa niż szacowana na podstawie badań klinicznych skuteczność terapii
- większa od szacowanej populacja włączona do leczenia,
- brak zapewnienia rzeczywistej dostępności leku przez jego producenta np. dostawy leku poniżej zadeklarowanej ilości

W wyniku tych renegotjacji byłoby możliwe obniżenie ceny, zmiana capu (tj. limitu, do którego lek finansuje płatnik publiczny), itp.

• Ustalanie budżetu WDTL+.

Poziom finansowania WDTL+ powinien być powiązany z ogólnym budżetem na refundację i stanowić kwotę wyodrębnioną w planie finansowym NFZ. Wydatki na terapie objęte WDTL+ nie powinny obciążać ryczałtu szpitala. Lista leków objętych WDTL+ jest ustalana na podstawie wartości punktowej uzyskanej w algorytmie, populacji szacowanej do objęcia terapią w danym roku oraz ceny wynegocjowanej z producentem, do limitu środków dostępnych w mechanizmie WDTL+ w danym roku budżetowym. Przekroczenie liczby pacjentów kwalifikowanych do leczenia względem szacunków analizy HS lub niskie wyniki śródkresowej oceny skuteczności terapii mogą skutkować zmianą parametrów umowy o wczesną warunkową refundację.

• Źródła finansowania WDTL+

Mechanizm WDTL+ powinien być traktowany jako narzędzie realizacji celów Narodowej Strategii Onkologicznej (NSO). Tym samym powinien być finansowany z budżetu przypisanego do NSO. Środki zaplanowane na realizację działań przewidzianych w NSO wydają się dalece niewystarczające, aby możliwe było osiągnięcie wielu zapisanych w niej ambitnych celów. Konieczne wydaje się przeznaczenie dodatkowych środków, które mogłyby zasilić budżet NSO. W toku podjętych inicjatyw ustawodawczych okazją do realizacji tego celu jest propozycja powołania Funduszu Medycznego (FM), który zasili system ochrony zdrowia kwotą ponad 2,7 mld zł. Wyodrębnienie w FM budżetu WDTL+ pozwoliłoby na realizację ambitnych celów określonych w NSO w zakresie dostępu do innowacyjnych terapii, przyjętych przez środowiska pacjenckie, z jednej strony z dużym entuzjazmem, zaś z drugiej strony z nieukrywanym sceptycyzmem właśnie z powodu zbyt małych środków finansowych, które dzisiaj dostępne są w tym obszarze.

Innym wartym rozważenia rozwiązaniem jest ustalenie stałego procenta środków pochodzących z akcyzy na alkohol i papierosy, czyli substancje o udowodnionym negatywnym, kancerogennym wpływie na zdrowie. Zasadne byłoby powrócenie do koncepcji oznaczenia przynajmniej części środków pochodzących z tego podatku i powiązanie ich z finansowaniem opieki zdrowotnej, w szczególności onkologicznej.

4.5. PROCES UZYSKANIA TERAPII DLA INDYWIDUALNEGO PACJENTA

Terapia finansowana ze środków publicznych w ramach WDTL+ byłaby co do zasady przeznaczona dla jednostkowych pacjentów. Pacjent, spełniający określone kryteria kwalifikacji do takiego leczenia, mógłby – na określonych zasadach – otrzymać lek, który wcześniej został wpisany na listę leków objętych wczesnym dostępem (wykaz ustalany przez Ministra Zdrowia). Jednak DTL+ w odróżnieniu od RDTL oparty jest na refundacji terapii dla określonej, zdefiniowanej w analizie HS grupy chorych, mających niezaspokojoną potrzebę medyczną, a nie dla pojedynczego pacjenta.

Zgodnie z przedstawianą koncepcją na etapie HS dokonywana jest ocena kliniczna poszczególnych molekuł oraz szacowane ich koszty. W procesie tym uczestniczy AOTMiT oraz grupa ekspertów, działająca w imieniu Ministra Zdrowia. Dla tego na etapie wnioskowania u udostępnienie terapii jednostkowemu pacjentowi nie ma już potrzeby dokonywania przez AOTMiT ponownej oceny klinicznej i ekonomicznej tej technologii (w RDTL ocena zasadności refundacji leku przez AOTMiT poprzedza wydawanie ewentualnej indywidualnej zgody na RDTL przez Ministra Zdrowia, co opóźnia moment rozpoczęcia leczenia). Ponadto AOTMiT posiada kompetencje z zakresu HTA, więc nie wydaje się uzasadnione, aby dokonywał oceny zasadności zastosowania danej terapii, nawet z kosztowego punktu widzenia, u jednostkowych pacjentów.

Postulowane byłoby równocześnie odejście od wymogu uzyskiwania indywidualnej zgody Ministra Zdrowia. Wszelkie decyzje o przyznaniu danemu pacjentowi dostępu do leczenia danym lekiem z listy technologii lekowych objętych WDTL+ powinny być podejmowane wyłącznie o kryteria kliniczne, przez lekarza prowadzącego pacjenta, za potwierdzeniem prawidłowości takich decyzji przez właściwego konsultanta wojewódzkiego lub krajowego.

Warunkiem skorzystania z tej formy terapii byłyby następujące przesłanki:

Zagrożenie życia lub zdrowia pacjenta

oraz

Niedostępność technologii medycznej refundowanej w Polsce w danym wskazaniu (czyli brak innego leczenia refundowanego)

lub

Niecelowość zastosowania technologii medycznej refundowanej w Polsce (innymi słowy spodziewany brak dostatecznej skuteczności zastosowania takiej technologii lub spodziewane ryzyko niewspółmierne do spodziewanych efektów)

Rekomendujemy uwzględnienie tej ostatniej przesłanki jako alternatywy dla zwykłej niedostępności refundowanego leczenia. Czasem bowiem leczenie refundowane w danym wskazaniu jest formalnie dostępne, niemniej jednak z uwagi na pewne okoliczności jego zastosowanie u konkretnego pacjenta byłoby niecelowe – np. można z dużą dozą prawdopodobieństwa założyć, że nie przyniesie ono wymiernych korzyści choremu lub narazi go na niewspółmierne ryzyko, dodatkowo opóźniając wdrożenie właściwego leczenia. Bezwzględny wymóg niedostępności innej refundowanej opcji terapeutycznej, który obowiązuje w procedurze RDTL, jest wielokrotnie krytykowany jako zbyt formalny, i prowadzący właśnie do opóźniania właściwego leczenia, w sytuacji, w której można racjonalnie przewidywać, że formalnie dostępne refundowane leczenie nie przyniesie choremu korzyści. Podejście, zakładające konieczność wyczerpania wszelkich innych, choćby tylko formalnie dostępnych, refundowanych opcji terapeutycznych, jest niekorzystne zarówno dla pacjenta, jak i dla płatnika publicznego, który przecież ponosi koszty takiego zbędnego leczenia.

Spełnienie powyższych przesłanek potwierdzałby lekarz kwalifikujący pacjenta do leczenia w ramach warunkowego dostępu do technologii lekowych. Lekarz ten wskazywałby jednocześnie lek z wykazu WDTL+, który w jego ocenie powinien zostać u pacjenta zastosowany, podając stosowne uzasadnienie kliniczne.

Od strony formalnej konieczny byłby specjalny wniosek, który w pierwszej kolejności powinien być sporządzany przez lekarza kwalifikującego pacjenta do leczenia w ramach wczesnego dostępu do technologii lekowych. Wniosek podlegałby następnie zaopiniowaniu przez konsultanta wojewódzkiego lub krajowego we właściwej dziedzinie medycyny (onkologia lub hematookologia). Innymi słowy, lekarz prowadzący chorego, przed rozpoczęciem leczenia, byłby zobligowany uzyskać pozytywną opinię konsultanta. Konsultant, w celu wydania opinii, otrzymywałby od lekarza wniosek o wydanie opinii, zawierający informacje o chorobie, przebiegu dotychczasowego leczenia, proponowanej terapii z użyciem konkretnej technologii lekowej, spodziewanych korzyściach z jej zastosowania, wraz z odnośną dokumentacją medyczną pacjenta. Konsultant byłby zobligowany do przedstawienia opinii w terminie 14 dni od dnia otrzymania wniosku; brak odpowiedzi w tym terminie byłby różnoznaczny z udzieleniem pozytywnej opinii.

Proces rozpatrywania wniosku



Po potwierdzeniu decyzji lekarza prowadzącego przez właściwego konsultanta, pacjent powinien móc rozpocząć leczenie z zastosowaniem leku z wykazu technologii lekowych objętych WDTL+. Przerzucenie maksimum działań kwalifikujących lek do objęcia go tym mechanizmem na etap poprzedzający wnioskowanie o sfinansowanie leku z takiego wykazu indywidualnemu pacjentowi pozwoli nie tylko dokonać odpowiednio wcześniej jego analizy klinicznej i kosztowej, ale również pozwoli możliwie szybko rozpocząć proces leczenia, co z pewnością przełoży się na wyższą skuteczność zastosowania leku, komfort i bezpieczeństwo pacjenta i odbiurokratyzowanie samej procedury, dzięki czemu lekarze będą chętniej z niej korzystać.



4.6. KORZYŚCI WYNIKAJĄCE Z PRZYJĘCIA MECHANIZMU

Wprowadzenie mechanizmu służyć będzie:

zwiększeniu dostępu chorych do najbardziej innowacyjnych i obiecujących terapii przeciwnowotworowych, odpowiadających na niezaspokojone potrzeby medyczne;

poszerzaniu wiedzy Ministra Zdrowia i AOTMiTu w oparciu o Real World Evidence (RWE) na temat efektywności i bezpieczeństwa technologii objętych warunkowym dostępem, przed podejmowaniem przez ministra ewentualnej decyzji o refundacji technologii, po upływie okresu warunkowego dostępu;

zwiększeniu roli środowiska klinicznego (np. konsultanci krajowi, szefowie towarzystw naukowych i klinicznych) w procesie ustalania wykazu technologii lekowych objętych warunkowym dostępem;

4.7. SZANSE I ZAGROŻENIA WDROŻENIA MECHANIZMU WDTL+



SZANSE

- ✓ Narodowa Strategia Onkologiczna i dążenie do skutecznego realizowania jej celów
- ✓ Gwranacja rosnących nakładów na ochronę zdrowia zabezpieczona w ustawie 6%
- ✓ Inicjatywa powołania Funduszu Medycznego
- ✓ Świadomość i oczekiwanie Polaków, że konieczne jest dalsze zwiększanie nakładów na onkologię
- ✓ Możliwość sprawdzenia rozwiązań opartych na wczesnym dostępie, w które wpisane są obiektywne mechanizmy monitorowania i efektywności terapii.



ZAGROŻENIA

- ✓ Kryzys gospodarczy i ryzyko zapaść w systemie finansów publicznych, ograniczające w dłuższej perspektywie nakłady na Ochronę Zdrowia
- ✓ Opór części pacjentów przed wdrażaniem rozwiązań nakierowanych na potrzeby określonej grupy
- ✓ Naciski innych grup interesariuszy systemu opieki zdrowotnej na wzrost finansowania ich działalności/potrzeb
- ✓ Potencjalny opór niektórych podmiotów odpowiedzialnych przed rozwojem narzędzi monitorujących efektywność terapii i wykorzystywaniem ich w procesie refundacji.

Prof. dr hab. n. med. Maciej Krzakowski

**Krajowy konsultant w dziedzinie onkologii klinicznej. Kierownik Kliniki Nowotworów Płuca i Klatki Piersiowej;
Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie
– Państwowy Instytut Badawczy w Warszawie Prezes Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej
Przewodniczący Krajowej Rady ds. Onkologii przy Ministrze Zdrowia.**

Dokument – przygotowany przez zespół ekspertów Uczelni Łazarskiego – został opracowany w związku z znacznym zwiększeniem liczby nowych leków przeciwnowotworowych, których udostępnienie chorym staje się coraz większym wyzwaniem. Trudności wynikają z kilku powodów. Po pierwsze, nowe leki – wykorzystujące niejednokrotnie nowoczesne mechanizmy działania przeciwnowotworowego – mają zróżnicowaną wartość pod względem skuteczności i bezpieczeństwa oraz mają często odmienne znaczenie w przypadku chorych na poszczególne nowotwory (np. w sytuacjach, gdzie są dostępne metody leczenia lub nie ma wartościowych możliwości postępowania). Po drugie, nowoczesne leki cechuje zwykle duży koszt i decyzje refundacyjne powinny być oparte na – możliwie najbardziej – przejrzystych i racjonalnych zasadach. Dodatkową okolicznością jest fakt, że wartość nowych leków wykazana podczas prospektywnych badań klinicznych nie zawsze znajduje potwierdzenie w praktyce, ponieważ kryteria kwalifikowania w ramach badań klinicznych nie odpowiadają rzeczywistej charakterystyce chorych. Niezależnie od wspomnianych uwarunkowań klinicznych (różnice pod względem tzw. wartości dodanej) i finansowych (duży koszt) problemem jest zapewnienie dostępności do nowych metod leczenia w okresie między zarejestrowaniem i podjęciem decyzji refundacyjnych – problem jest szczególnie istotny w krajach, w których czas między decyzjami rejestracyjnymi i refundacyjnymi jest w wielu wypadkach nadmiernie długi.

Wymienione wyżej okoliczności uzasadniają pilną potrzebę wprowadzania mechanizmów, które mogą umożliwiać większą dostępność nowych leków w okresie przed refundacją. Przykładem są – istniejące w niektórych krajach – rozwiązania, które umożliwiają warunkowe finansowanie nowych leków do czasu potwierdzenia rzeczywistej wartości w praktyce klinicznej. Wspomniane mechanizmy są praktykowane przede wszystkim w krajach o dużym potencjale finansowania (np. Japonia i Niemcy). Mają również zastosowanie w przypadku systemów, które dysponują mniejszymi środkami (np. Czechy). W Polsce od 2017 roku funkcjonuje system Ratunkowej Dostępności Technologii Lekowych (RDTL), który jednak nie jest rozwiązaniem optymalnym z powodu złożoności procedur składania i oceniania wniosków (np. różne postępowanie w zależności od relacji kosztu leczenia wobec średniej wartości krajowego produktu brutto) oraz realizowania (np. limitowany czas ważności decyzji pozytywnej wynoszący 3 miesiące).

Projekt – przygotowany przez ekspertów Uczelni Łazarskiego – zakłada zwiększenie racjonalności procedury RDTL oraz możliwości podejmowania decyzji przez Ministra Zdrowia. Podstawowym założeniem projektu jest konieczność określania rzeczywistej wartości nowych leków na podstawie analizy prowadzonej przez ekspertów z dziedziny onkologii, przy czym analiza powinna uwzględniać skuteczność i bezpieczeństwo ocenianych technologii oraz powinna uwzględniać zapisy obecnie dostępnych – powszechnie akceptowanych – wytycznych postępowania i stopień potrzeb w ocenianych sytuacjach klinicznych. Wydaje się, że wymienione analizy powinny zwracać szczególną uwagę na leki stosowane w ramach postępowania o założeniu radykalnym (np. okołooperyacyjne leczenie uzupełniające chorych w stadium wczesnym lub kojarzenie z radioterapią w stadium zaawansowania miejscowego). Istotne powinno być również zwrócenie szczególnej uwagi na sytuacje kliniczne, w których nie ma wartościowego leczenia poza postępowaniem objawowym.

Bardzo ważnym elementem projektu jest propozycja, aby decyzje refundacyjne miały tzw. warunkowy charakter (tzn. na okres do uzyskania dowodów świadczących o rzeczywistej wartości leków w praktyce klinicznej). Wydaje się, że ocena rzeczywistej wartości nowych technologii na podstawie informacji z praktyki klinicznej powinna być podstawą finalnych negocjacji z producentami, a także może być bardzo wartościowa w sytuacji podejmowania ustaleń w zakresie wdrażania mechanizmów tzw. „podziału ryzyka”. Przedstawione założenia stwarzają realną szansę na identyfikowanie grup chorych z największym prawdopodobieństwem uzyskania korzyści związanych z wykorzystywaniem określonych metod postępowania – korzyści mogą dotyczyć nowotworów występujących często i rozpoznawanych rzadko oraz sytuacji klinicznych, w których nie ma obecnie wartościowych metod lub nowa technologia stanowi alternatywę terapeutyczną i pozwala na indywidualizację postępowania z uwzględnieniem różnic w zakresie charakterystyki chorych (np. uwzględnienie współwystępujących chorób).

Wdrażanie mechanizmów umożliwiających stosowanie nowoczesnych metod leczenia wymaga przeznaczenia znacznych środków finansowych, które obecnie są w Polsce mniejsze od średniej europejskiej. Zbyt małe nakłady finansowe uniemożliwią poprawienie

dostępności do nowoczesnych metod leczenia nawet w sytuacji wprowadzenia bardziej racjonalnych zasad określania klinicznej wartości i podejmowania decyzji na temat refundowania technologii lekowych z publicznych środków. Konieczne jest również wprowadzenie możliwości wykorzystywania mechanizmów tzw. „podziału ryzyka”. Jednocześnie bardzo wskazane jest przeprowadzenie analizy zasadności i zakresu finansowania szeregu technologii medycznych w ramach obecnie istniejącego koszyka gwarantowanych świadczeń onkologicznych, które mogą być niejednokrotnie mniej skuteczne i obciążone większym ryzykiem powikłań w porównaniu do metod nowych (tym samym – mogą generować nieuzasadnione wydatki finansowe).

Wartość projektu jest związana ze szczegółową oceną sytuacji w zakresie dostępności nowoczesnych metod postępowania terapeutycznego oraz – przede wszystkim – potencjalnym znaczeniem proponowanych rozwiązań. Proponowane rozwiązania mogą być ważnym elementem Narodowej Strategii Onkologicznej.

Prof. dr hab. med. Piotr Rutkowski

**Kierownik Kliniki Nowotworów Tkanek Miękkich, Kości i Czerniaków
Pełnomocnik Dyrektora ds. Badań Klinicznych
Narodowy Instytut Onkologii im. Marii Skłodowskiej-Curie - Państwowy Instytut Badawczy Warszawa
Przewodniczący Zespołu Ministra Zdrowia ds. Narodowej Strategii Onkologicznej**

Propozycja stworzenia mechanizmu wczesnego i warunkowego dostępu do przeciwnowotworowych oraz innowacyjnych technologii lekowych WDTL+ wydaje się interesującą opcją wypełnienia luki dla polskich pacjentów chorych na nowotwory i realizacji jednego z zadań Narodowej Strategii Onkologicznej. Kraje Unii Europejskiej proponują szereg różnych rozwiązań w zakresie dostępności niezbędnych terapii onkologicznych na etapie przed- i porejestacyjnym. Również Europejska Agencja Medyczna zaproponowała kilka strategii, jak *accelerated assessment* czy *conditional marketing authorisation* w przypadku szczególnie obiecujących terapii spełniających założenia *unmet clinical need*. Polska legislacja nadal nie przewiduje możliwości dostępności terapii przed rejestracją w ramach *expanded access/compassionate use* i tu również niezbędne są zmiany prawne. WDTL+ ma uzupełnić lukę szybkiej dostępności takich terapii w bezpośrednim okresie po rejestracji, co może być szczególnie ważne w przypadku nowotworów rzadkich, gdzie z reguły trudno spełnić wszystkie kryteria oceny HTA-AOTMiT dla dużych badań z losowym doborem chorych i właściwą mocą statystyczną. Bardzo ważne są punkty czasowe dla realizacji WDTL+, aby mechanizm ten nie stanowił powielenia procesu refundacyjnego. Ważne jest opracowanie szczegółów tego rozwiązania w zakresie i oczywiście przerzucenia możliwości procedowania WDTL+ przez Ministra Zdrowia przy wczesnym udziale producentów leków. W polskich warunkach, jak wiemy dotychczasowa praktyka w sposób niewłaściwy opóźnia i zniekształca refundację terapii (nie tylko w onkologii) poprzez mechanizm, że tylko na wniosek producenta przygotowywany jest program lekowy i proces refundacyjny. Bardzo dobrą propozycją jest wykorzystanie dla priorytetyzacji propozycji terapeutycznych skal oceny skuteczności technologii lekowych, m.in. ESMO ESMO-MAGNITUDE OF CLINICAL BENEFIT SCALE (ESMO-MCBS) [<https://www.esmo.org/content/download/288502/5736211/1/ESMO-MCBS-Booklet.pdf>] czy Algorytmu wartości dodanej leków PTOK. Równie istotne jest określenie maksymalnej długości trwania WDTL+ dla danego leku, następstw w odniesieniu do „normalnego” refundowanego programu lekowego oraz systemu gromadzenia i analizy danych dotyczących skuteczności innowacyjnych terapii stosowanych w ramach WDTL+ w Polsce.

Prof. Piotr Czauderna

Koordynator Sekcji Ochrony Zdrowia
Narodowej Rady Rozwoju

Powyższe opracowanie stanowi bardzo cenny wkład do rozwiązania problemu ograniczonej dostępności do leków innowacyjnych w Polsce. Można nawet pokusić się o stwierdzenie, iż przyczyniło się ono do wprowadzenia pewnych rozwiązań systemowych w procedowanej obecnie w polskim Sejmie z inicjatywy Prezydenta RP, Andrzeja Dudy ustawy o Funduszu Medycznym.

Cenną częścią Raportu jest skrócony przegląd rozwiązań międzynarodowych w zakresie wczesnego i warunkowego dostępu do leków. W opracowaniu ujęto 30 technologii lekowych (niekiedy stosowanych w kilku wskazaniach) chorych leczonych z powodu najczęstszych złośliwych guzów litych oraz 20 technologii lekowych (także niekiedy stosowanych w kilku wskazaniach) dla grupy chorych z najczęstszymi chorobami hematologicznymi. Co bardzo ważne, w oparciu o szacunek liczebności ww. grup chorych oraz oficjalne koszty zakupu leków oceniono też ich orientacyjne koszty wynoszące blisko 1 miliard złotych. Pozwala to na oszacowanie skali wydatków publicznych niezbędnych na sfinansowanie poszerzonego dostępu do nowych leków dla obywateli Polski dla we wskazaniach onkohematologicznych. Cennym elementem Raportu jest również wprowadzenie pojęcia **niezaspokojonej potrzeby medycznej** oznaczającej stan, w przypadku którego nie istnieje zadowalająca metoda terapeutyczna dopuszczona do stosowania w Polsce lub - nawet jeżeli taka metoda istnieje - w przypadku której zastosowanie danego produktu leczniczego będzie stanowiło znaczącą korzyść terapeutyczną dla osób dotkniętych chorobą.

Z drobnych uwag muszę nadmienić, że o ile prawdą jest stwierdzenie zawarte w raporcie, iż „Do tej pory nie została wprowadzona do polskiego ustawodawstwa procedura *compassionate use*”, to jednak w rzeczywistości istnieje ona nieformalnie dzięki instytucji zgody lokalnych komisji etycznych wyrażanej każdorazowo na leczenie eksperymentalne lub pozastandardowe. Ponadto, w grupie przesłanek uprawniających do renegotjacji warunków umowy przez Ministra Zdrowia po pierwszym roku dokonywana byłaby ewaluacja technologii lekowej uprawniających do renegotjowania warunków umowy zawartej z producentem należałoby uwzględnić także brak zapewnienia rzeczywistej dostępności leku przez jego producenta. Warto też zauważyć, że planowana wielkość budżetu Fundusz Medycznego uległa w procesie legislacyjnym zwiększeniu do 4 miliardów zł rocznie.

Prof. dr hab. med. Ewa Lech-Marańda

**Konsultant Krajowy
w dziedzinie hematologii**

Raport „Propozycja nowego mechanizmu wczesnego i warunkowego dostępu do przeciwnowotworowych oraz innowacyjnych technologii lekowych (wdtl+)” przygotowany przez ekspertów Instytutu Zarządzania w Ochronie Zdrowia (IZWOZ) Uczelni Łazarzskiego pod redakcją naukową dr n. ekon. Małgorzaty Gałązki-Sobotka dotyka największej potrzeby polskiej hematologii i onkologii, tj. poprawy dostępu do nowoczesnych technologii lekowych. W raporcie zaprezentowano gotowe do wdrożenia narzędzie systemowe – WDTL+, czyli wczesny i warunkowy dostęp do technologii lekowych, który miałby być uzupełnieniem funkcjonującego obecnie, ale obciążonego wieloma niedoskonałościami – ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL). Koncepcja WDTL+ doskonale wpisuje się w założenia Narodowej Strategii Onkologicznej, której jednym z celów jest poprawa dotychczasowych wyników leczenia chorych na nowotwory łagłe i nowotwory krwi m.in. poprzez zwiększenie dostępności do nowoczesnych technologii lekowych.

Zaletą proponowanego rozwiązania jest umożliwienie dostępu do nowo zarejestrowanych terapii lub leków we wczesnej fazie ich rejestracji, o których wiadomo, że będą lekami przełomowymi, bez konieczności oczekiwania na ich proces refundacyjny w Polsce. Tym samym byłoby możliwe wyrównanie szans polskich pacjentów onkologicznych i hematoonkologicznych w dostępie do nowoczesnego leczenia w porównaniu z pacjentami z innych krajów europejskich, w których funkcjonują systemowe mechanizmy warunkujące wczesny dostęp do innowacyjnych technologii. Jak wiadomo w latach 2017-2018 nowe substancje czynne były refundowane w Polsce średnio po około 3,5 roku od ich rejestracji przez Europejską Agencję Leków (EMA). Chociaż dostęp do nowoczesnych terapii istotnie poprawił się w ciągu ostatniego roku i w 2019 roku czas od rejestracji EMA do refundacji w Polsce skrócił się o ponad rok, to jednak cały czas pozostaje ponad 2 lata opóźnienia w porównaniu do rejestracji i dostępności w innych krajach europejskich. Autorzy Raportu proponują bardzo nowoczesny i obiektywny sposób wyboru leków, które mogłyby być dostępne w ramach WDTL+, tj. w oparciu o metodologię horizon scanning (HS) i wyłonienie technologii lekowych o najwyższej wartości dodanej spośród terapii rejestrowanych lub oczekujących na rejestrację w Unii Europejskiej. Analiza ta byłaby prowadzona przez przygotowaną do tego zadania Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) we współpracy z zespołem ekspertów klinicznych. Leki wyłonione w tej ocenie otrzymywałyby warunkową, dwuletnią refundację, która mogłaby poprzedzać właściwą refundację. Zaproponowany w raporcie model refundacyjny prowadzi do czterech zasadniczych korzyści, tj.

- szansa dla polskich pacjentów na szybki dostęp do innowacyjnych technologii w podobnym czasie, jak ma to miejsce w innych krajach europejskich;
- po raz pierwszy daje możliwość decydowania o wczesnym dostępie do leków ekspertom klinicznym i systemowym, bez konieczności oczekiwania na złożenie wniosku refundacyjnego przez firmę farmaceutyczną oraz z pominięciem długo trwającego procesu refundacyjnego;
- możliwość oceny efektywności klinicznej i bezpieczeństwa nowych leków w codziennej praktyce klinicznej oraz formułowania wniosków i analiz pomocnych przy ewentualnych dalszych procesach refundacyjnych;
- sposób wnioskowania o nowoczesną terapię jest prosty i szybki, bez konieczności każdorazowego występowania o opinię do AOTMiT i zgodę do Ministerstwa Zdrowia.

Jednak, aby WDTL+ był realnie dostępny niezwykle istotne jest, żeby był wyodrębniony osobny budżet na jego funkcjonowanie, tak aby kosztami innowacyjnych terapii nie były obciążane ryczałty szpitalne.

Niniejszy Raport doskonale wpisuje się więc w proces systemowego planowania dostępu do innowacyjnych terapii lekowych w obszarze onkologii i hematologii. WDTL+ jest nowoczesnym narzędziem refundacyjnym, które nie tylko umożliwiłoby polskim chorym onkologicznym i hematoonkologicznym szybki dostęp do najnowszych leków, ale również utworzyłoby płaszczyznę ścisłej współpracy pomiędzy ekspertami klinicznymi i systemowymi, która przy wsparciu i współpracy Ministra Zdrowia i Ministra Finansów, może przynieść szybkie i wymierne korzyści w postaci poprawy wyników leczenia chorych na nowotwory.

prof. dr hab. n. med Iwona Hus

Prezes PTHiT

Opinia dotycząca projektu pt. Propozycja nowego mechanizmu wczesnego i warunkowego dostępu do przeciwnowotworowych oraz innowacyjnych technologii lekowych (WDTL+) przygotowanego przez zespół ekspertów z Instytutu Zarządzania w Ochronie Zdrowia w składzie: Dr Małgorzata Gałązka-Sobotka, Dr Iwona Skrzekowska-Baran, Lek. Rafał Zyśk MBA, Mec. Monika Duszyńska

Postęp, jaki dokonał się w ostatnich latach w leczeniu nowotworów przyczynił się do istotnej poprawy rokowania wielu chorych, w tym również chorych na nowotwory hematologiczne. Wiele z tych terapii staje się dostępnych również w dla Polskich chorych, wiele jednak nadal nie jest refundowanych, a czas od rejestracji przez Europejską Agencję Leków do uzyskania refundacji w Polsce jest dość długi i pomimo, że uległ skróceniu to nadal wynosi około 3 lat. Z tego powodu podejmowanie inicjatyw, które mogłyby przyczynić się do dalszej poprawy tej sytuacji ma bardzo istotne znaczenie.

W chwili obecnej dostęp do nowych terapii w Polsce jest możliwy w ramach programu lekowego oraz złożenia wniosku o ratunkowy dostęp do terapii lekowej (RDTL). Utrudnieniem w pierwszym przypadku jest często objęcie refundacją znacznie węższej populacji niż wskazanie rejestracyjne z tego względu wielu chorych nie może otrzymać skutecznego leczenia. Należy również zaznaczyć, że w programach lekowych stosowane są również leki, które zostały zarejestrowane wiele lat temu i nie są terapiami innowacyjnymi, lecz uznanym od lat standardem postępowania. Chory może otrzymać leczenie w ramach programu, jeśli spełnia kryteria kwalifikacji. W drugim przypadku, problemem jest czas oczekiwania na indywidualną zgodę na refundację leczenia w ramach RDTL. Czas ten może wynosić nawet 2 miesiące. Zdecydowanie potrzebne są zatem nowe rozwiązania i dlatego inicjatywa autorów projektu jest bardzo wartościowa. Na wstępie opracowania autorzy przedstawiają rozwiązania wczesnego dostępu do innowacyjnych terapii lekowych stosowane na świecie i w Polsce, podkreślając, że w Polsce nie ma żadnego specjalnego mechanizmu zapewniającego taki dostęp. Poprawa sytuacji chorych na nowotwory w Polsce w kontekście dostępu do nowych terapii jest jednym z celów Narodowej Strategii Onkologicznej, zatem projekt wpisuje się bardzo dobrze w ten nurt. Propozycją prezentowaną w opiniowanym raporcie jest wprowadzenie warunkowego wczesnego dostępu do przeciwnowotworowych innowacyjnych technologii lekowych (WDTL+), którego zadaniem nie jest zastąpienie, lecz uzupełnienie już istniejących rozwiązań. Tym samym w polskim systemie ochrony zdrowia mogłaby pojawić się dodatkowa, nowa ścieżka dostępu do innowacyjnych, nierefundowanych terapii. Projekt zakłada kilka etapów: selekcję najbardziej wartościowych technologii przy znaczącym wsparciu ekspertów klinicznych, negocjowanie z producentami leków warunków dostawy na potrzeby WDTL+ i ustalenie listy technologii, które byłyby objęte dostępem przez okres 2 lat. Zebra-
ne, podczas tego 2 letniego procesu dane kliniczne byłyby bardzo przydatne przy podejmowaniu decyzji o dołączeniu ewentualnych programów lekowych. Raport przygotowany jest w sposób bardzo rzetelny, zwięzły, ale równocześnie wyczerpujący. W mojej opinii jest to bardzo wartościowy projekt, a wykorzystanie zawartych w nim sugestii mogłoby przyczynić się do poprawy wyników leczenia chorych na nowotwory w Polsce. Bardzo istotne znaczenie ma wybór najskuteczniejszych i najbardziej obiecujących terapii przy pomocy zespołu ekspertów klinicznych tak, aby refundowane były te które mogą przynieść chorym największą korzyść.

Krystyna Wechmann

prezes Zarządu
Federacja Stowarzyszeń
„Amazonki”

Aleksandra Rudnick

rzecznik
Polska Koalicja Pacjentów
Onkologicznych

Katarzyna Lisowska

członek Zarządu
Stowarzyszenie Hematoonkologiczni

W Polsce refundacja skutecznych leków onkologicznych opiera się przede wszystkim na programach lekowych, które są naszym specyficznym rozwiązaniem zapewnienia dostępności pacjentów do terapii onkologicznych. Niestety, nie jest to rozwiązanie doskonałe. Programom lekowym daleko do europejskich standardów, wyjątkiem są tu programy leczenia pacjentów z rakiem piersi, chłoniakiem Hodgkina czy przewlekłą białaczką szpikową. W przypadku guzów litych w programach lekowych znajduje się ok 79% leków o uznanej wartości klinicznej, niemniej leki te nie są ujęte we wszystkich wskazaniach. To, co przemawia na korzyść programów lekowych, to fakt, że są w nich terapie bezpieczne, o sprawdzonej wartości klinicznej w refundowanym wskazaniu.

Nasza polityka refundacyjna jest więc, zachowawcza, w niewielkim stopniu otwarta na to, co w farmakoterapii innowacyjne, czyli na leki o nie do końca jeszcze potwierdzonej wartości klinicznej i bezpieczeństwie. Niewiele też, w porównaniu z innymi krajami, mamy mechanizmów dostępu do leków poza zasadniczą refundacją w programach lekowych i chemioterapii. Dysponujemy w zasadzie tylko importem docelowym i RDTL. Nie mamy nawet bezkosztowej dla płatnika procedury *compassionate use*, ponieważ jak to uzasadniają niektórzy eksperci, koszty leczenia nieznanymi działaniami niepożądanymi terapii zastosowanych w tej procedurze, mogą znacznie przewyższać odniesione przez pacjenta korzyści.

Jednak od niedawna wraz z Narodową Strategią Onkologiczną i pojawiającymi się możliwościami pozyskania większej ilości środków na innowacyjne terapie, rozpoczęła się dyskusja z udziałem ekspertów, decydentów, parlamentarzystów i pacjentów o wprowadzeniu nowych mechanizmów refundacji leków. Jej wynikiem są konkretne rozwiązania prawne w postaci prezydenckiego projektu ustawy o Funduszu Medycznym, które wnoszą istotne zmiany w funkcjonowaniu RDTL i ustawy refundacyjnej. Ważnym głosem w tej debacie jest przygotowana przez Instytut Zarządzania w Ochronie Zdrowia Uczelni Łazarskiego propozycja rozwiązania systemowego nazwanego w skrócie WDTL+, czyli mechanizmu wczesnego i warunkowego dostępu do najnowocześniejszych technologii w onkologii i hematoonkologii. Proponowane w ramach WDTL+ rozwiązania mogą być wykorzystane w rozporządzeniach do części ustawy o Funduszu Medycznym, dotyczącej innowacyjnych technologii lekowych.

Celem mechanizmu WDTL+ jest umożliwienie polskim pacjentom chorym na nowotwory szybkiego dostępu do innowacyjnych terapii wyselekcjonowanych przez specjalistów z AOTMiT na podstawie analizy HS oraz wiedzy konsultantów krajowych i ekspertów. Terapie te mają być weryfikowane przy pomocy międzynarodowych (ASMO, ESMO) i polskich (AOTMiT, PTOK i PTO) algorytmów wartości dodanej. To, na co szczególnie zwracają uwagę autorzy WDTL+, to skrócenie czasu na udostępnienie leku konkretnemu pacjentowi, uproszczenie procedury i – co z kolei podkreślają producenci leków – jej przejrzystość. W ramach WDTL+ terapie mają być dopuszczane warunkowo. Po roku ich skuteczność i bezpieczeństwo, ma być weryfikowana m.in. przez na bieżąco gromadzone dane w rejestrach medycznych, a po dwóch latach po uzyskaniu pozytywnej oceny leki te mogą wejść do programów lekowych.

To, co budzi niepokój, to sposób finansowania WDTL+, jak zwykle niepewny w przypadku nowych rozwiązań. W opracowaniu jest wskazane kilka źródeł: NFZ, środki przeznaczone na NSO, Fundusz Medyczny, akcyza z papierosów i alkoholu. Nie są też sprecyzowane czasowo, etapy działań w WDTL+, co utrudnia orientację o ile skróci się czas dostępu do leku dla pacjenta w tej procedurze w porównaniu z oczekiwaniem na program lekowy, czy dostęp do leku w procedurze RDTL po projektowanych zmianach.

Wśród interesariuszy mechanizmu WDTL+ na żadnym etapie jego działania nie przewiduje się udziału przedstawicieli organizacji pacjentów, których doświadczenie z pewnością pozwoliłoby zespołowi ekspertów spojrzeć z perspektywy potrzeb chorych na listę technologii objętych wczesnym dostępem.

Najważniejszą sprawą są korzyści dla pacjenta, które ma dać wprowadzenie WDTL+. Autorzy podkreślają, że zasadniczą zaletą tego rozwiązania, jest fakt, że to lekarz będzie mógł – po uzyskaniu zgody konsultanta wojewódzkiego lub krajowego – decydować o zaordynowaniu pacjentowi leku z listy technologii wczesnego dostępu, niepotrzebne jest więc, aby chory miał w tym procesie odrębny status prawny. Z doświadczeń funkcjonowania RDTL wiemy, że błędnym jest założenie, że skoro będzie to prosta procedura, lekarze będą chętnie po nią sięgali. Niestety w procedurze RDTL, to właśnie lekarze są, niejednokrotnie jej słabym ogniwem i to nie tylko z powodu trudności w wypełnianiu dokumentów czy braku zgody dyrekcji placówki, ale też z obawy przed stosowaniem

nowych nieznanymi technologiami. **Pacjent powinien mieć więc prawo do bycia rzeczywistym, także prawnym podmiotem procesu WDTL+.** Powinien mieć prawo domagać się, aby być leczonym innowacyjnym lekiem i być informowanym, jak przebiega ta procedura w jego przypadku. Wtedy WDTL+ spełni oczekiwania pacjentów.

Anna Kupiecka

**Przewodnicząca Prezydium Grupy Sterującej All.Can Polska,
Prezes Fundacji Onkocafe – Razem lepiej**

Od kilku lat w Polsce toczy się rozległa debata publiczna nad metodami zapewnienia pacjentom onkologicznym skutecznych metod leczenia. Budowanie społecznej świadomości znaczenia tej dziedziny oraz zmiana postrzegania chorób nowotworowych sprawiły, że w ostatnim czasie stało się to jednym z kluczowych zagadnień, angażujących kluczowych interesariuszy systemu ochrony zdrowia. W szczególności jednak wskazanie tego obszaru jako priorytetowego wynika z zainteresowania społeczeństwa oraz oczekiwania zapewnienia leczenia odpowiadającego aktualnej wiedzy medycznej. Od ponad dekady polscy pacjenci mają nawet prawne zabezpieczenie swoich interesów w tym zakresie, jednak w odniesieniu do dostępności leczenia przeciwnowotworowego należy uznać je za stosowane w ograniczonym zakresie.

Głównymi czynnikami wpływającymi na sytuację pacjentów oraz możliwość uzyskania skutecznego i bezpiecznego leczenia jest publiczne finansowanie ochrony zdrowia oraz otoczenie legislacyjne, wpływające na możliwość zapewnienia leczenia chorym w rozmaitych sytuacjach klinicznych. W przypadku publicznego finansowania ochrony zdrowia, pomimo przyjęcia ustawy „6 proc. PKB na zdrowie”, do dzisiaj nakłady na ten cel w Polsce w porównaniu do innych państw Unii Europejskiej pozostają na niskim poziomie. Liczba niezaspokojonych potrzeb pacjentów, oczekiwania płacowe grup zawodowych pracujących w ochronie zdrowia oraz rosnący popyt na ochronę zdrowia związany ze starzejącym się społeczeństwem sprawia, że pacjenci mogą nie odczuć poprawy w związku z inicjatywą zapewnienia stabilnego otoczenia finansowego publicznego systemu ochrony zdrowia. W odniesieniu do dostępności terapii przeciwnowotworowych to właśnie niskie nakłady są jednym z istotnych wyzwań. Z jednej strony, do dzisiaj nie osiągnięto poziomu nakładów na refundację, określonych w dokumencie strategicznym „Polityka lekowa państwa na lata 2018-2022”. Z drugiej - obecnie procedowane są zmiany prawne, które poprzez zmiany w gospodarce finansowej NFZ w zasadniczy sposób ograniczą możliwości zapewnienia leczenia polskim pacjentom.

Podniesienie nakładów na refundację jest koniecznym, lecz nie wystarczającym warunkiem poprawy obecnej sytuacji. Istotne jest stworzenie wydolnym mechanizmów udostępniania pacjentom nowych terapii. Niestety obecnie system jest z perspektywy chorego zer-jedynkowy, nie pozwalający na swobodę w ordynacji terapii przez specjalistów. Sytuację nieco poprawiło wprowadzenie ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL), dzięki czemu wielu chorych mogło skorzystać z dodatkowej ścieżki. Niestety, pomimo wielu braków programu, istnieje potrzeba nowelizacji przepisów, co w części udaje się uczynić poprzez prezydenckie przedłożenie projektu ustawy o Funduszu Medycznym. W tym samym projekcie wprowadza się mechanizm zapewnienia dostępu polskich pacjentów do noworejestrowanych terapii w chorobach onkologicznych, hematoonkologicznych oraz rzadkich. Autorzy niniejszego raportu w sposób niezwykle ciekawie uzupełniają dyskusję, którą obserwujemy obecnie w przestrzeni parlamentarnej. Chociaż doszło do udostępnienia polskim pacjentom wielu nowych terapii, wciąż wielu chorych ma problem w dostępie do skutecznych opcji terapeutycznych, a liczba niezaspokojonych potrzeb medycznych pozostaje znaczna. Mam nadzieję, że tworząc mechanizm wczesnego dostępu do technologii lekowych, ustawodawca weźmie pod uwagę argumenty z niniejszego opracowania.

1. Cuhls KE 2020. Horizon Scanning in Foresight – Why Horizon Scanning is only a part of the game. Future and foresights science 2020;2:e23
2. Na podstawie Rozporządzenia (WE) nr 726/2004 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 31 marca 2004 r. ustanawiające unijne procedury wydawania pozwoleń dla produktów leczniczych stosowanych u ludzi i do celów weterynaryjnych i nadzoru nad nimi oraz ustanawiające Europejską Agencję Leków, art. 14a.
3. <https://izwoz.lazarski.pl/projekty-badawcze/raport-mechanizmy-wczesnego-dostepu-do-lekow-innowacyjnych-na-swiecie/>
4. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/adaptive-pathways>
5. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>
6. <https://www.gov.uk/government/publications/early-access-to-medicines-scheme-eams-how-the-scheme-works>
7. <https://sp-bpr-en-prod-cdnep.azureedge.net/published/2020/1/16/Medicines-in-Scotland-1/SB%2020-08.pdf>
8. <https://www.mhlw.go.jp/english/policy/health-medical/pharmaceuticals/140729-01.html>
9. <https://www.aifa.gov.it/farmaci-a-uso-compassionevole>
10. <https://www.aifa.gov.it/web/guest/fondo-nazionale-aifa>
11. https://www.sahealth.sa.gov.au/wps/wcm/connect/83147d004ac200148921ad1be4847105/directive_Medicines_Access_Programs_v3.0_04.03.2020.pdf?mod=ajperes&
12. <https://www.highpointsolutions.com/use-of-eaps-in-the-global-pharmaceutical-environment/>
13. <https://www.aemps.gob.es/medicamentos-de-uso-humano/acceso-a-medicamentos-en-situaciones-especiales/>
14. https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/files/committee/stamp/stamp_stamp_agenda_point_4_es_aemps_en.pdf
15. <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2212109918302279>
16. <http://zakony.centrum.cz/zakon-o-verejnem-zdravotnim-pojisteni/cast-6-paragraf-39d>
17. https://www.hila.fi/content/uploads/2020/01/Information-on-conditional-reimbursement_170220.pdf
18. <https://ec.europa.eu/jrc/en/research/crosscutting-activities>
19. <https://ec.europa.eu/jrc/en/research/crosscutting-activities>
20. <https://www.oecd.org/site/schoolingfortomorrowknowledgebase/futuresthinking/overviewofmethodologies.htm>
21. <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/full/10.1002/ffo2.23>
22. <https://eunethta.eu/horizon-scanning-tisp/>
23. http://www.aotm.gov.pl/www/wp-content/uploads/struktura_statut/Regulamin-28-04-2017.pdf
24. <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,7658.html>

Tabela 1.	Nowe substancje chemiczne w leczeniu guzów litych – refundacja w 2019 r.	21
Tabela 2.	Nowe substancje chemiczne w leczeniu chorób hematoonkologicznych– refundacja w 2019 r	22
Tabela 3.	Porównanie wskaźników rejestracyjnych oraz refundacyjnych w Polsce/ guzy lite	22
Tabela 4.	Porównanie wskaźników rejestracyjnych oraz refundacyjnych w Polsce/ hematoonkologia	24
Tabela 5.	Zestawienie liczebności populacji objętej refundacją w 2019 w PL – guzy lite	25
Tabela 6.	Zestawienie liczebności populacji objętej refundacją w 2019 w PL – hematoonkologia	25
Tabela 7.	Estymacja kosztów refundacji /pacjenta w 2019 r.	26
Tabela 8.	Porównanie liczebności populacji pacjentów	27
Tabela 9.	Porównanie kosztów terapii/pacjenta/rok	28
Rysunek 1.	Elementy kompleksowej analizy wykorzystującej horizon scanning.	18

This image shows a single sheet of white paper with horizontal ruling lines. The lines are evenly spaced and run across the width of the page. There are no margins, text, or other markings on the paper.

This image shows a single sheet of white paper with horizontal ruling lines. The lines are evenly spaced and run across the width of the page. There are no margins, text, or other markings on the paper.



Wydawnictwo Uczelni Łazarskiego
ul. Świeradowska 43, 02-662 Warszawa Polska
+ 48 /22/ 54-35-450, + 48 /22/ 54-35-410
wydawnictwo@lazarski.edu.pl
www.lazarski.pl