Farmaceutické inovace

Tomáš Doležal
Institut pro zdravotní ekonomiku
a technology assessment
Farmakologický ústav 2. LF UK

iHETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

OSNOVA

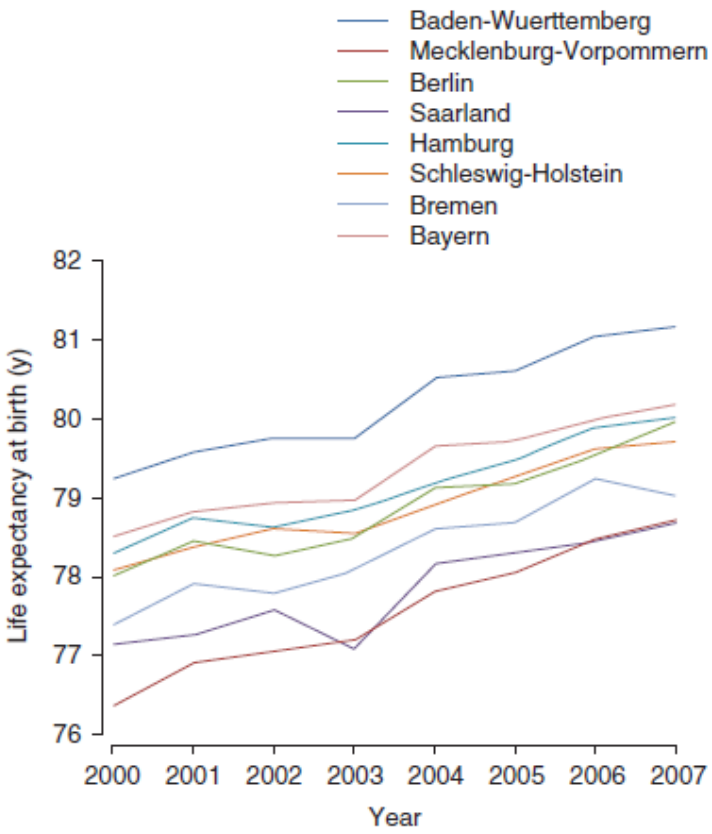
- Inovace a jak je definovat
- Co od inovací očekáváme?
- Farmaceutické inovace v ČR – jak se k nim chováme?
- Příklady přínosů inovativní léčby
  - prodloužení života (onkologie – maligní melanom, karcinom ledviny)
  - zvýšení kvality života a zařazení do společnosti (dětský hemangiom, lupénka)
  - znovunalezení práceschopnosti a produktivity (roztroušená skleróza, revmatoidní artritida)

CO PŘINÁŠÍ INOVACE?

- Záleží na perspektivě pohledu
  - **pacientům:** snížení mortality (předčasné úmrtí), snížení morbidity/nemocnosti (=hlavně kvalita života, komplikace, hospitalizace) a zabránění invalidity/ztráta produktivity, schopnosti pracovat
  - **zdravotnímu systému:** snížení výskytu komplikací/hospitalizací, vyšší efektivita
  - **sociální systému:** úspora nákladů (invalidita, pracovní neschopnost, dávky v nemoci, aj…)
  - **celé společnosti:** zvýšení práceschopnosti/produktivity = přímý ekonomický přínos pro společnost – prodloužení let života ve zdraví (HYE)

PODÍL LÉČIV NA PRODLOUŽENÍ DÉLKY ŽIVOTA (NĚMECKO)

- Mezi lety 2001/2007 vzrostla očekávaná délka života z 78,5 na 79,9 roku (+1,4 roku)
- Z 1/3 má na tom podíl přístup k novým léčivům (cca 0,5 roku)
- Státy s vyšší spotřebou léčiv měli větší prodloužení délky života a snížení mortality
- I při poklesu počtu nem. lůžek z 902 na 823/100 000 obyvatel

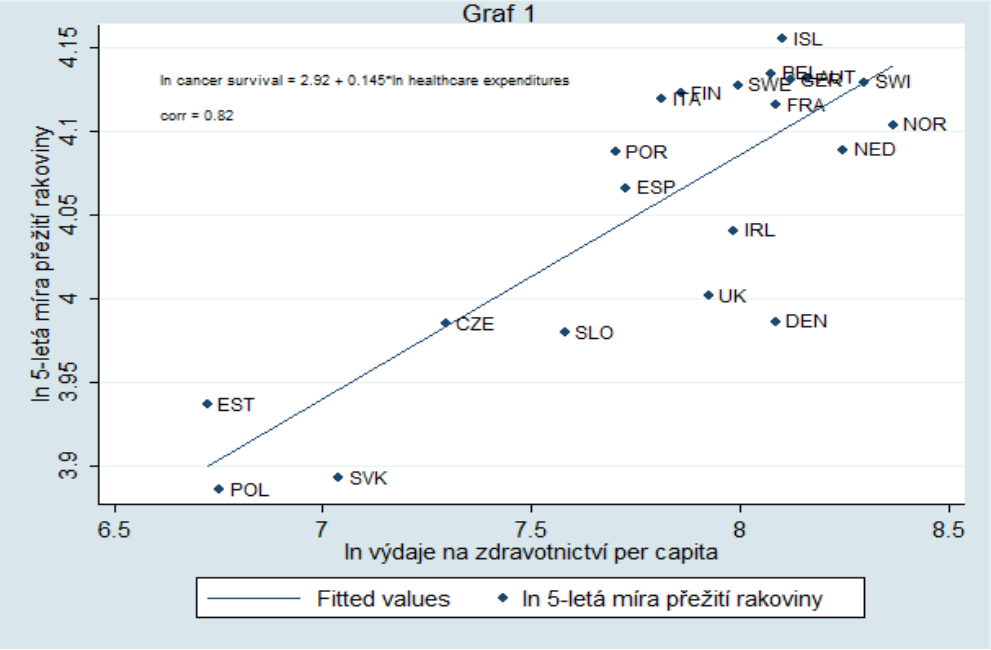


Lichtenberg 2012

HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

VZTAH MEZI NÁKLADY NA PÉČI A VÝSLEDKY

- Státy, které investují do zdravotnictví větší finanční prostředky, dosahují lepších výsledků zdravotní péče
- Existuje přímý vztah mezi indikátory výkonu zdravotního systému a výdaji
- GRAF: Vztah mezi výdaji na zdravotnictví a 5-letým přežitím na zhoubné nádory



Zdroj: iHETA 2013

iHETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

FARMACEUTICKÉ INOVACE V ČR

CO MUSÍ NOVÉ LÉKY V ČR SPLNIT

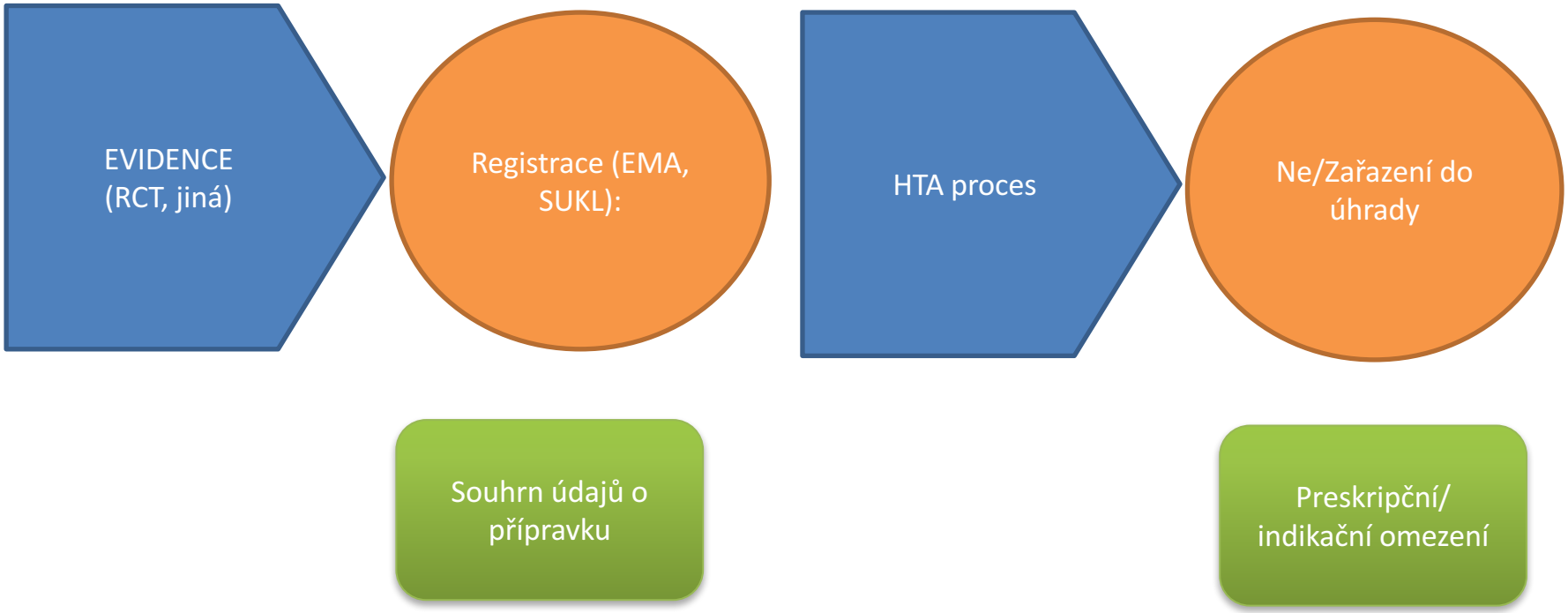
- Jsou regulované maximální cenou výrobce (průměr tří nejnižších zemí v koši 19 EU států) a maximální úhradou ze zdravotního pojištění (založené na úplně nejnižší ceně v EU)
- Mohou být zařazeny do skupiny s generickými léky a dostat úhradu na úrovni nejnižšího generika
- Je přísně posuzována účinnost a bezpečnost
- Ve většině případů je jejich úhrada/použití omezena na úzké skupiny pacientů ve srovnání s registrací EMA
- Musí předložit farmakoekonomické analýzy a dostat se pod hranici ochoty platit (náklady na získaný QALY)
- Zdravotní pojišťovny požadují omezení počtu léčených pacientů/finanční stropy, při jejich překročení hradí léčbu výrobce

VSTUP TECHNOLOGIÍ/INTERVENCÍ DO SYSTÉMU V ČR

- Jen léky přichází do systému úhrady ze zdravotního pojištění transparentně a je hodnocena jejich účinnost, bezpečnost, náklady a nákladová efektivita
- U léků se také aplikuje hranice ochoty platit

	léky	zdrav. prostředky	přístroje	intervence /výkony	vakcíny /prevence
transparentní systém	částečně	NE	NE	NE	NE
pravidla	ANO	minimálně	NE	minimálně	NE
důvody k (ne)zařazení	ANO	NE	NE	NE	NE
poměr náklady /přínosy	ANO	NE	NE	NE	NE
HTA	částečně	NE	NE	NE	NE

JAK SE DOSTANE LÉK K PACIENTŮM



iHETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

NOVÉ LÉKY SE K ČESKÝM PACIENTŮM DOSTÁVAJÍ S VELKÝMI OMEZENÍMI

- Prakticky všechny léky jsou pro účely úhrady omezeny oproti svým registrovaným indikacím
- SUKL/zdravotní pojišťovny zužují indikace pacientů a tím snižují náklady
- Ne vždy se jedná o klinicky racionální kroky

A detailed list of drugs and their availability or restricted access in individual countrie
in table 1.

Table 1. Availability of drugs through reimbursement systems, status as of January 201

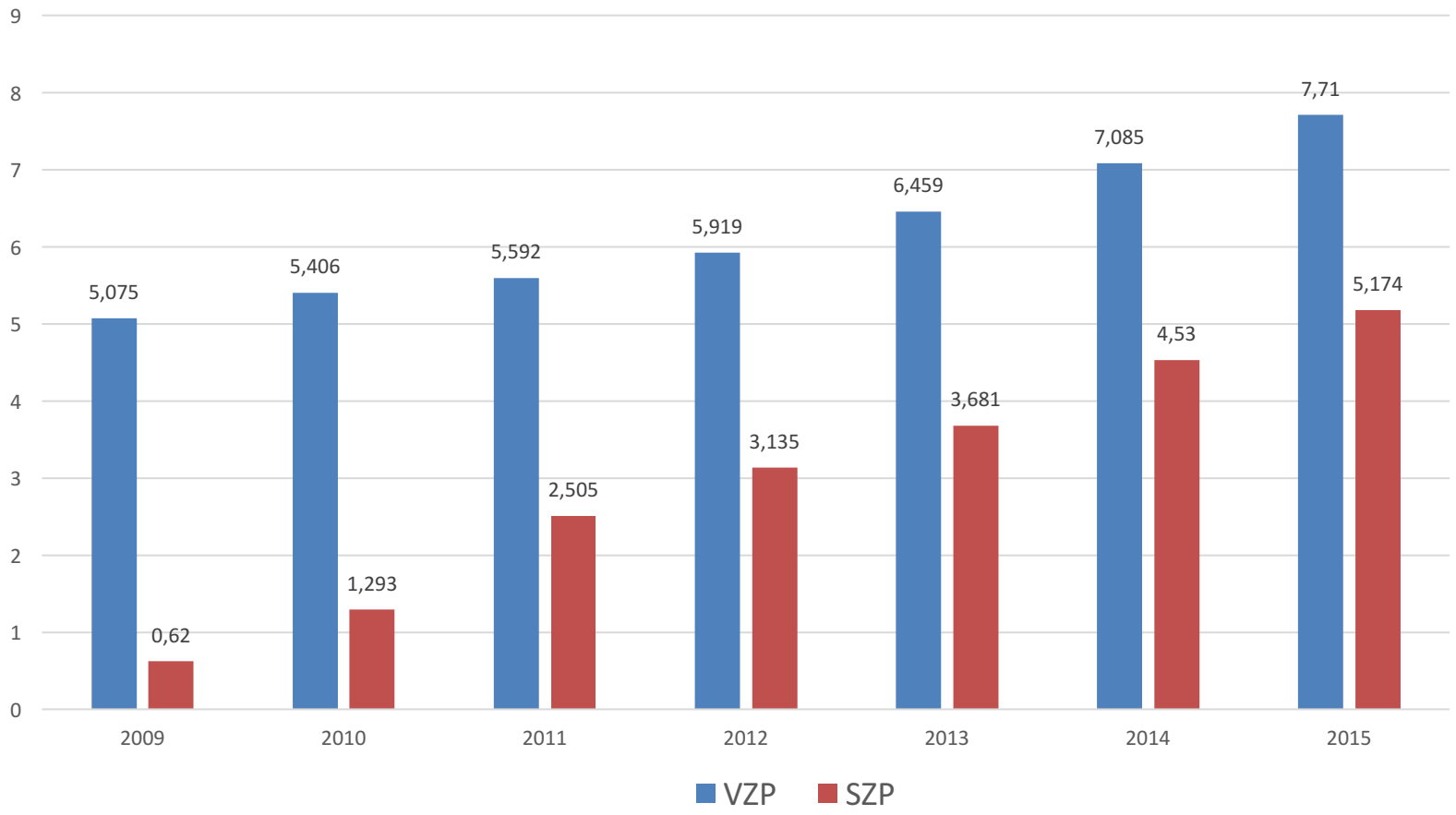
Drug	Poland	Netherlands	Germany	Austria	Italy	Switzerland	Spain	France	Czech Republic	United Kingdom	Slovakia	Hungary	Romania
ABRAXANE													
ADCETRIS													
AFINITOR													
ALIMTA													
AVASTIN													
DACOGEN													
ERBITUX													
HALAVEN													
INLYTA													
IRESSA													
JAKAVI													
JEVTANA													
KADCYLA													
NEXAVAR													
PERJETA													
SPRYCEL													
STIVARGA													
SUTENT													
TAFINLAR													
TARCEVA													
TASIGNA													
TYVERB													
VECTIBIX													
VIDAZA													
VOTRIENT													
XALKORI													
YERVOY													
YONDELIS													
ZALTRAP													
ZELBORAF													
No. of drugs available	2	30	13	5	28	25	24	21	2	15	15	14	11
No. of drugs available with restrictions	16	0	17	25	0	3	3	4	21	5	2	0	0
Total	18	30	30	30	28	28	27	25	23	20	17	14	11

– available (reimbursed)
– available (reimbursed) with restrictions
– unavailable (not reimbursed)

zdroj:
Access to innovative cancer drugs in Poland in comparison with selected European Union countries
and Switzerland; EY April 2015

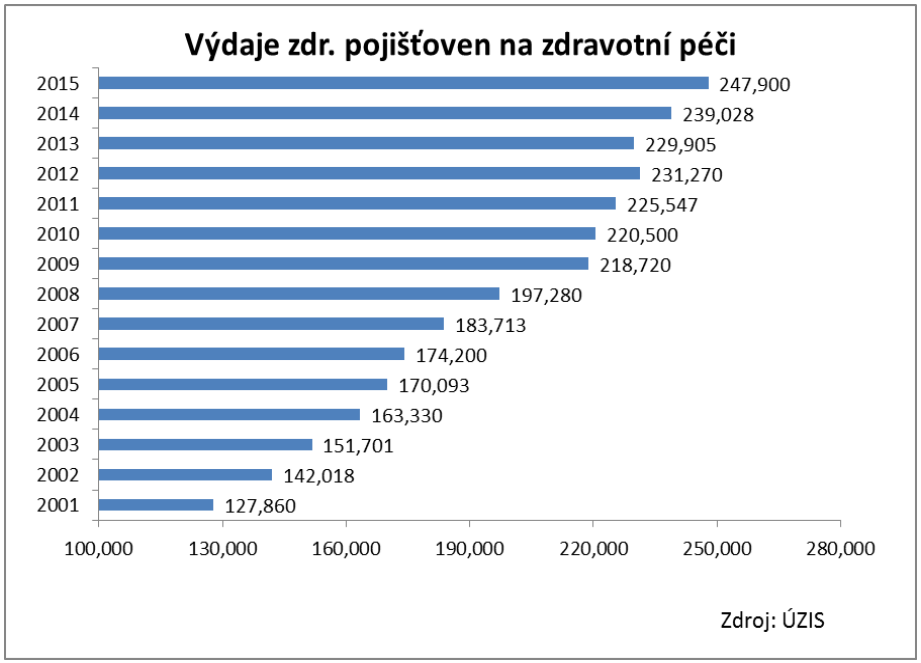
HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

NÁKLADY NA S/CENTROVÉ LÉKY (2009-2015)

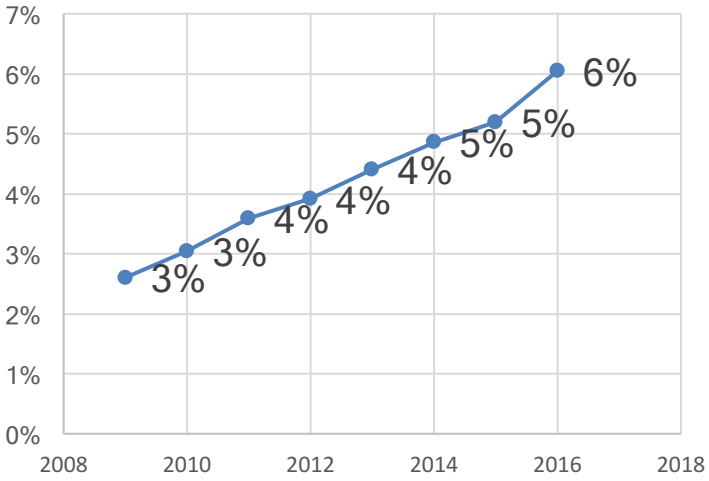


HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

FINANCOVÁNÍ ZDRAVOTNICTVÍ 2001-2015



Podíl S-léčiv na výdajích zdravotních pojišťoven

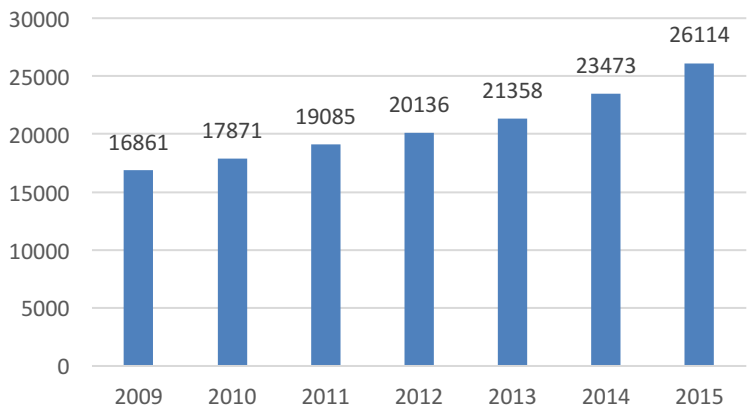


Rok 2016 - 258 mld. Kč

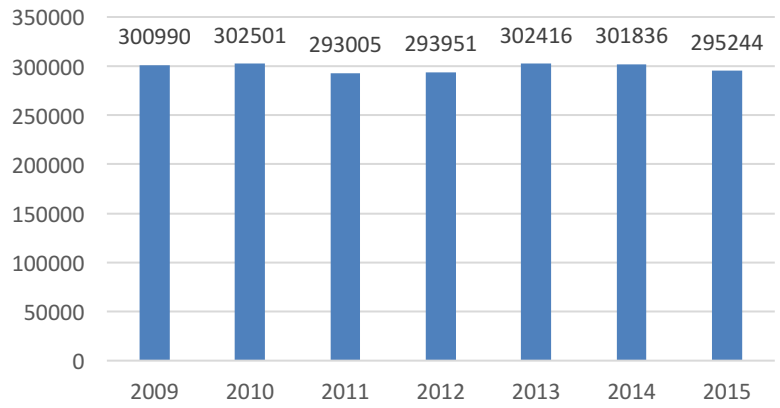
HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

VZESTUP NÁKLADŮ NA CENTROVÉ LÉKY JE ZPŮSOBEM RŮSTEM POČTU PACIENTŮ (VZP)

Mezi lety 2009/2015 se zvýšil počet léčených pacientů v centrech o 50%, náklady zůstávají konstantní, přestože jsou nové léky nákladnější



Počet léčených pacientů centrovou léčbou (VZP)



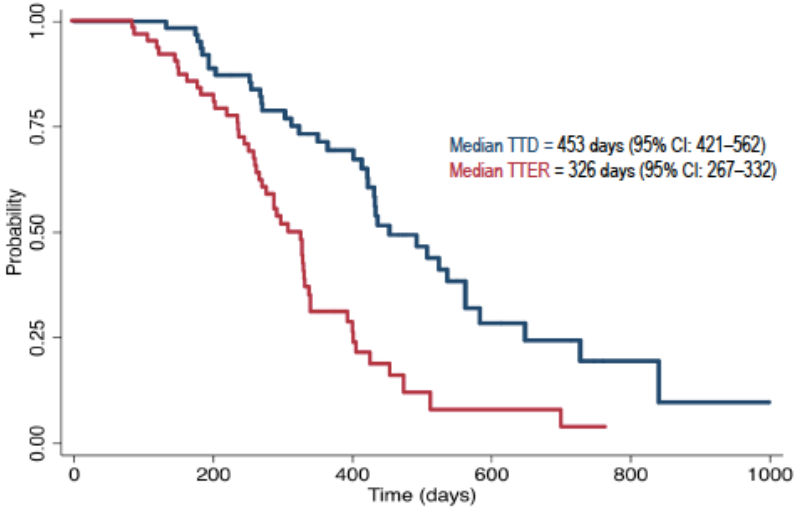
Průměrné náklady na jednoho pacienta (CZK) v centrech nákladné léčby

HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

POMALÝ PROCES PŘÍSTUPU PACIENTŮ K NOVÝM LÉKŮM

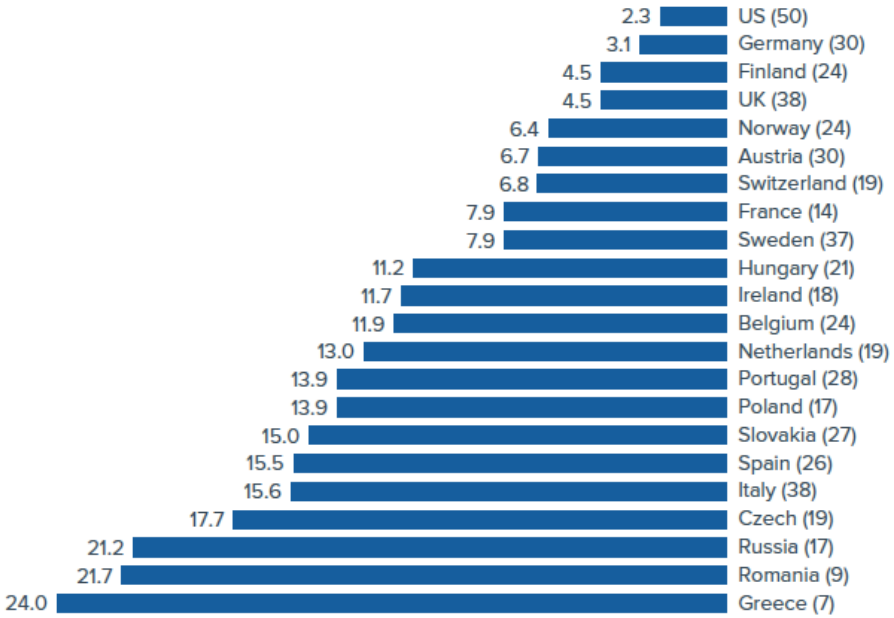
- ČR má jeden z nejdelších časů od registrace nového léku k jeho zpřístupnění pacientům

Figure 1. Kaplan-Meier curves for time to evaluation report (TTER) and time to decision (TTD)



ISPOR 2016

Figure 4. Average time (months) from regulatory approval to first sales 2015

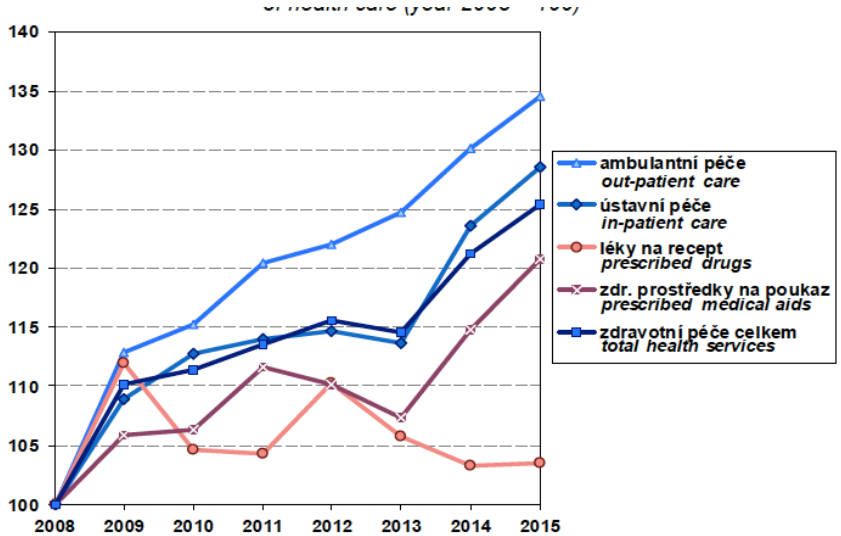


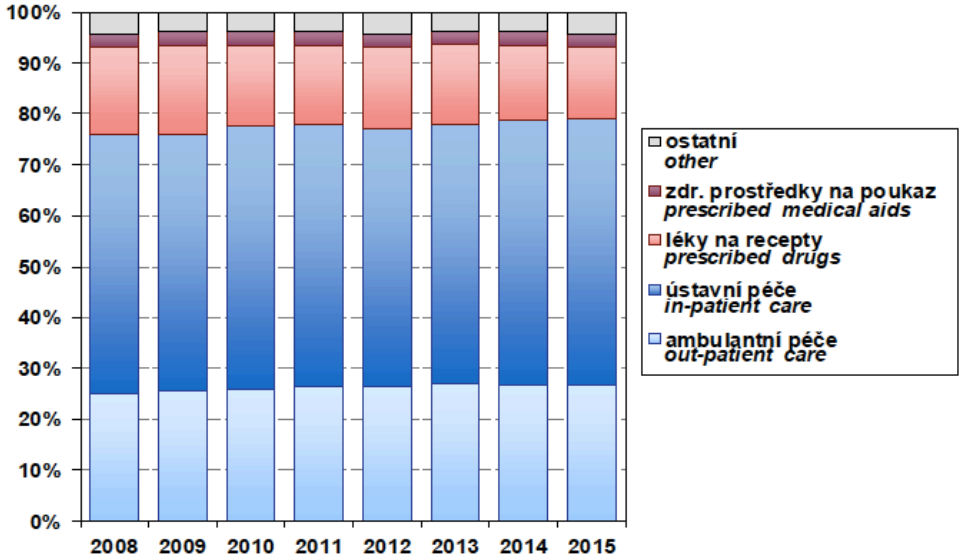
Source: QuintilesIMS Consulting Services analysis

QuintilesIMS 2017

HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

LÉKY NEJSOU EKONOMICKÝM PROBLÉMEM ČESKÉHO ZDRAVOTNICTVÍ





Podíl výdajů na léky soustavně klesá a zároveň se zvyšuje podíl nákladů na ústavní/nemocniční a ambulantní péči

ÚZIS Zdravotnická ročenka 2015

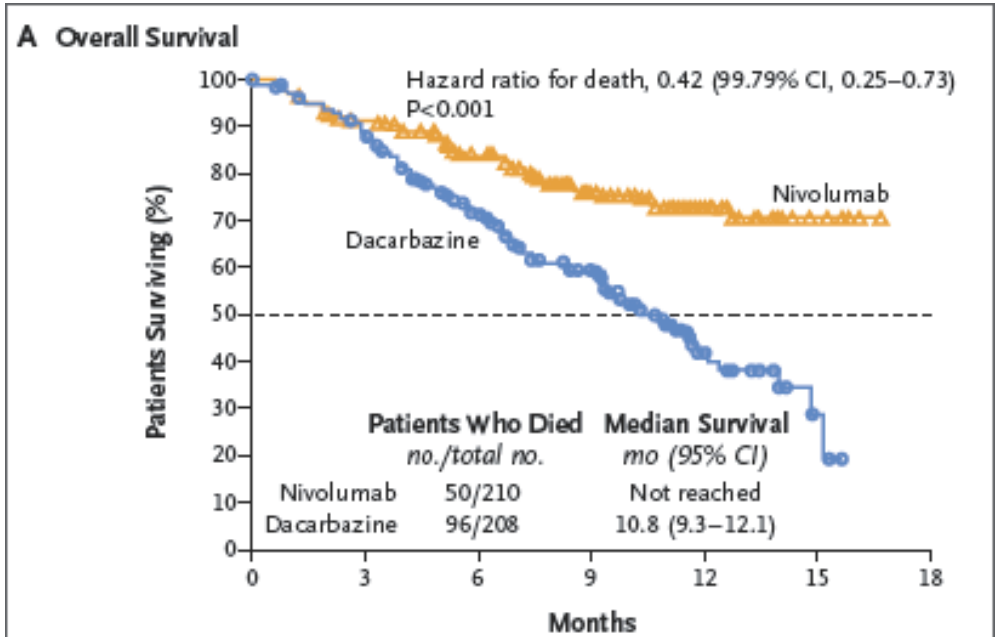
HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

PŘÍKLADY

PRODLOUŽENÍ ŽIVOTA (PŘÍKLAD I.)

- **<u>Maligní melanom</u>** = jeden z nejzhoubnějších nádorů s velmi špatnou prognózou
- V ČR každoročně diagnostikováno 1 500 osob
- Nová cílená biologická terapie, která ovlivňuje imunitní systém („imunoterapie“)
- Nivolumab, panitumumab
- **Snížení pravděpodobnosti úmrtí téměř o 60%**

Robert C, et al. Nivolumab in Previously Untreated Melanoma without BRAF Mutation. N Engl J Med 2014; 17th November

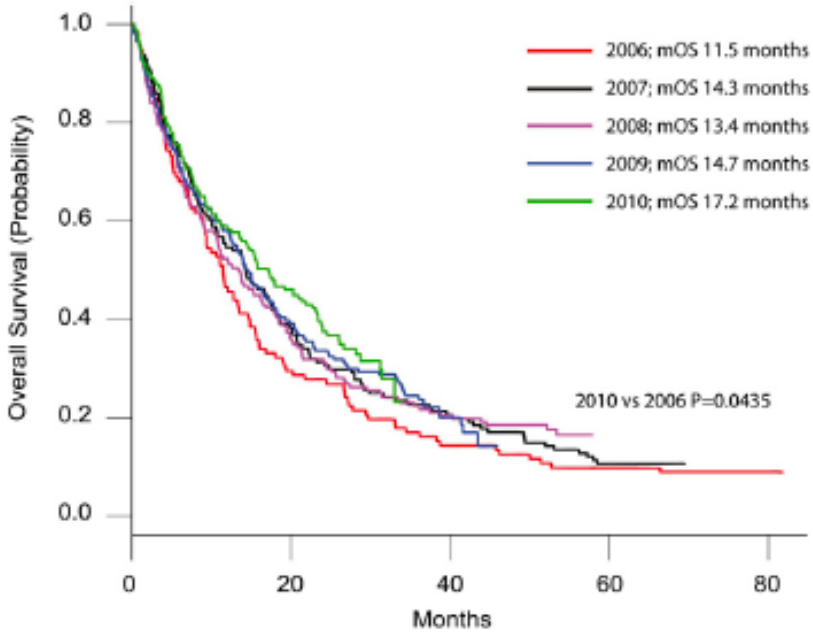


HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

PRODLOUŽENÍ ŽIVOTA (PŘÍKLAD II.)

- Cílená terapie **metastazujícího zhoubného nádoru ledviny** (ročně v ČR postihne 3 000 osob) – v posledních letech několik inovativních léků – dnes možnost léčit až třemi liniemi
- Dánský registr DARENCA: mezi lety 2006/2010 **prodloužení střední doby přežití téměř o půl roku** (5,7 měsíce; z 11,5 na 17,2 měsíce)

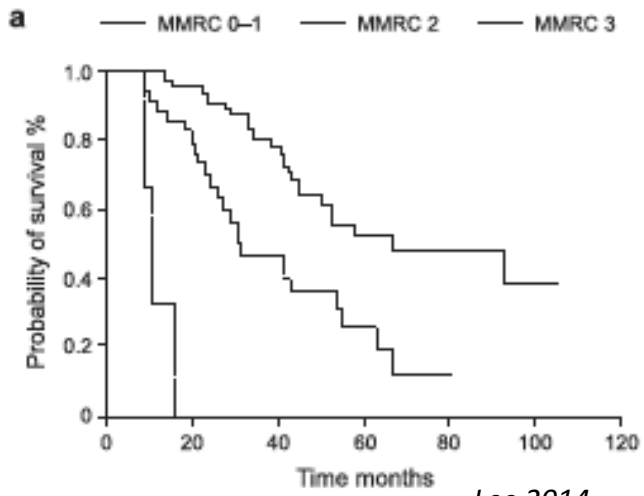
Soerensen AV, et al. Improved overall survival after implementation of targeted therapy for patients with metastatic renal cellcarcinoma: Results from the Danish Renal Cancer Group (DARENCA) study-2. European Journal of Cancer (2014) 50, 553– 562



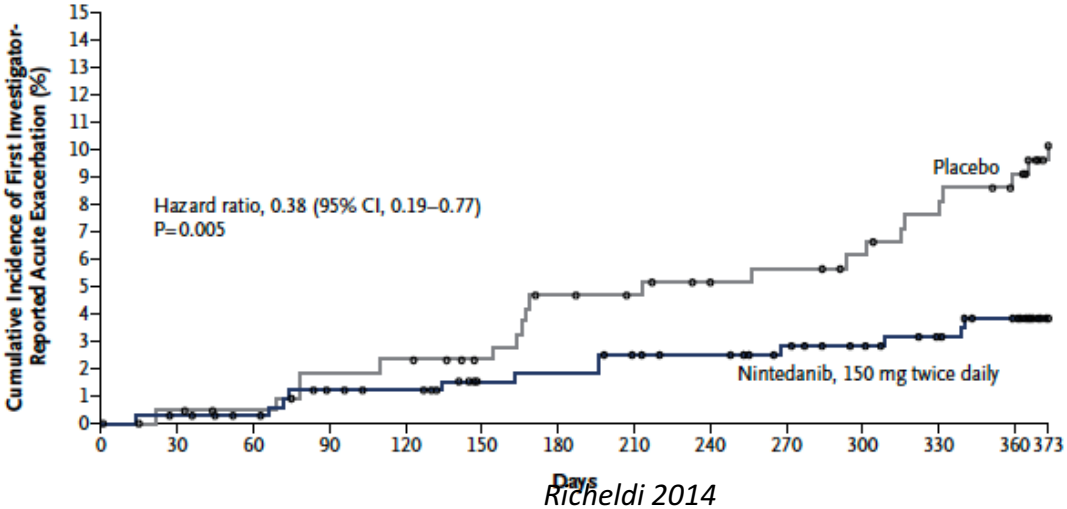
HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

(IDIOPATICKÁ) PLICNÍ FIBRÓZA – DÉLKA I KVALITA ŽIVOTA

- Pacient, který není dobře léčen a nemoc pokračuje, umírá velmi brzy (měsíce) – obr. 1
- Touto nemocí trpí v ČR cca 2 000 pacientů
- Při akutním vzplanutí dušnosti mu kvalita života klesne o 20% ve srovnání se stavem, kdy je již chronicky zhoršena o cca 20%
- Nové léky jsou schopny snížit počet vzplanutí o více než 60% - obr. 2
- Tím prodlužují život a zvyšují jeho kvalitu – léčba je schopna přidat až půl roku kvalitního života navíc (tj. + 0,5 QALY)



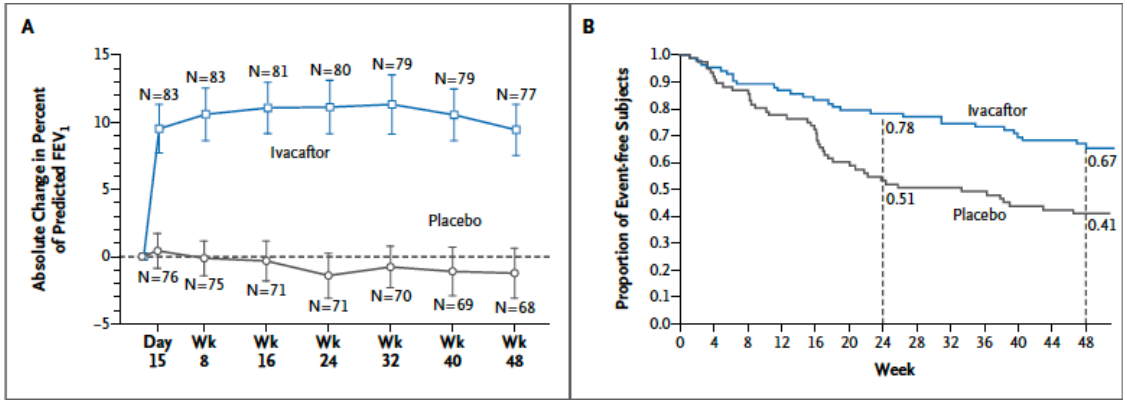
Lee 2014



Richeldi 2014

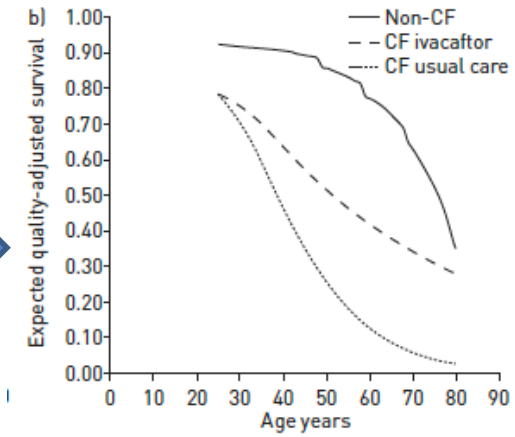
CYSTICKÁ FIBRÓZA - DÉLKA I KVALITA ŽIVOTA

- Smrtelné nevyléčitelné genetické onemocnění – délka života cca 35 let
- Mutace v genu pro CFTR protein; 1/3 000 novorozenců
- Chronický zánět dýchacích cest s exacerbacemi, infekcemi až postupně plicní selhání, poruchy slinivky, apod.
- Nová léčba pro omezený počet pacientů, zlepšující funkci CFTR bílkoviny



Ramsey 2011

+ 15,8 QALY



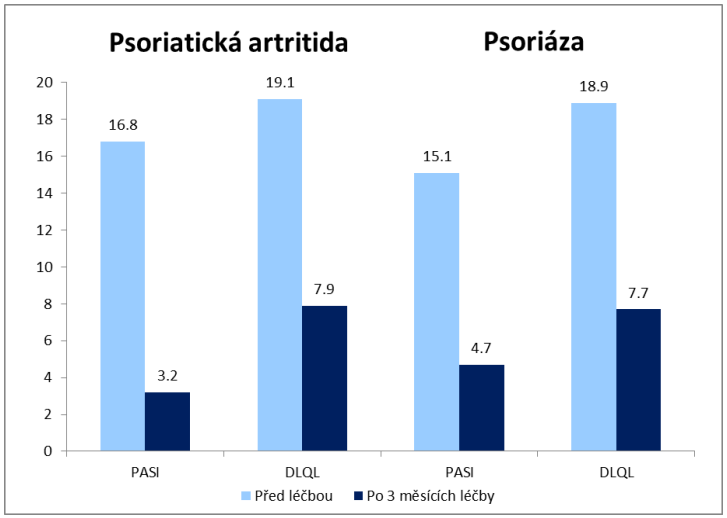
Dilokthornsakul 2016

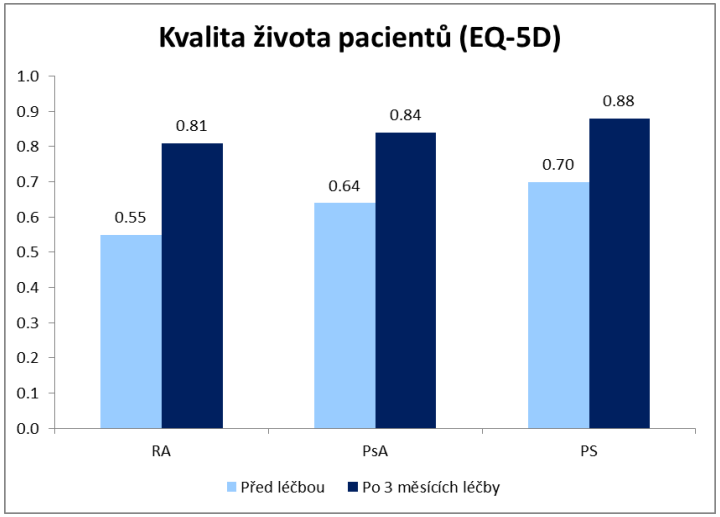
HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

CHRONICKÉ ZÁNĚTLIVÉ NEMOCI - KVALITA ŽIVOTA

- Revmatická (např. revmatoidní artritida) a kožní onemocnění (např. lupénka) snižuje kvalitu života o desítky procent na škále 0-100%
- Biologické cílené léky (monoklonální protilátky) jsou schopny velmi rychle navrátit kvalitu života, pokud není léčba zahájena příliš pozdě

VALUE OUTCOMES: Projekt účinnosti, kvality života a pracovní produktivity anti-TNF léčby revmatoidní artritidy, psoriatické artritidy a psoriázy. 2016





iHETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

PRACOVNÍ AKTIVITA/PRODUKTIVITA – ROZTROUŠENÁ SKLERÓZA

Zdroj: Nadační fond IMPULS

- Podíl ekonomicky aktivních osob je v populaci pacientů léčených biologickými léky srovnatelný s běžnou populací
- Pacienti ve vyšší míře využívají částečné úvazky

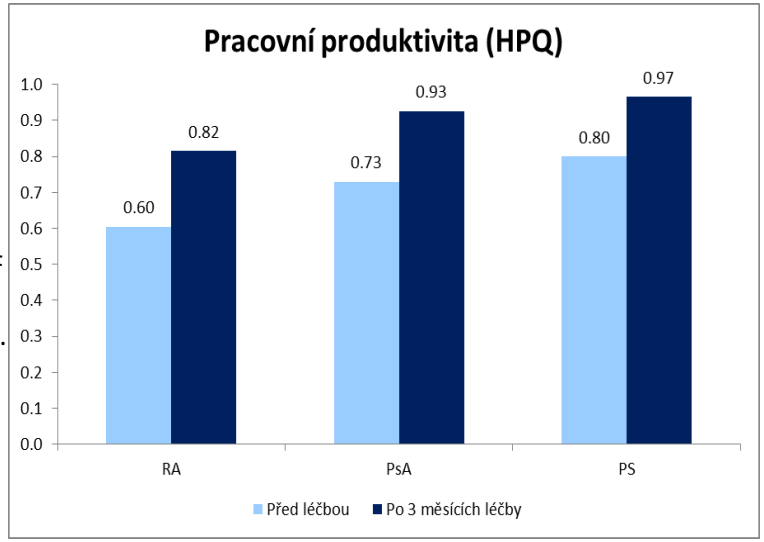
Zdroj: Nadační fond IMPULS

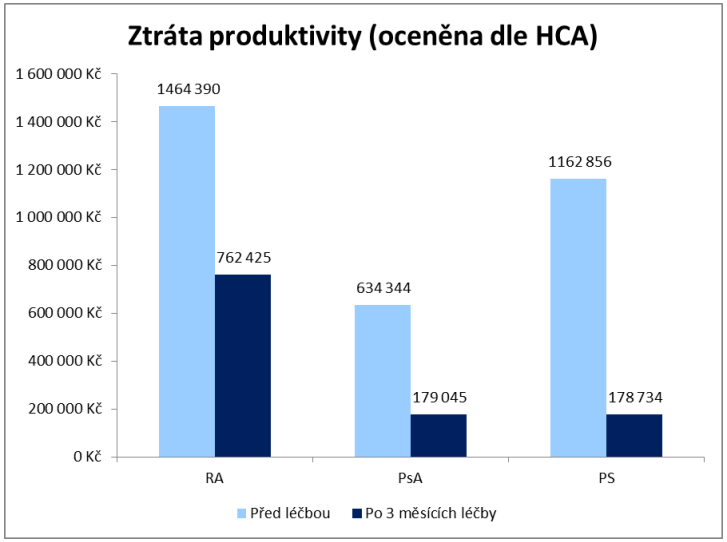
HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

ZMĚNA PRACOVNÍ PRODUKTIVITY PO 3 MĚSÍCÍCH BIOLOGICKÉ LÉČBY

- Po zahájení biologické léčby roste pracovní produktivita ve všech sledovaných indikacích (RA, PsA, PS)
- Zásluhou biologické léčby významně klesají náklady na ztrátu produktivity (částky jsou ve statisících Kč na jednoho pacienta)

VALUE OUTCOMES: Projekt účinnosti, kvality života a pracovní produktivity anti-TNF léčby revmatoidní artritidy, psoriatické artritidy a psoriázy. 2016





HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment

DEFINICE INOVACE VE 3 KROCÍCH

- A. **Prostá inovace** = nový postup je lepší (účinnější, bezpečnější) než ten stávající
- B. **Žádaná inovace** = Ad. A + existuje vysoká nenaplněná potřeba (např. předčasné úmrtí, mnoho komplikací, hospitalizace, snížení kvality života)
- C. **Žádaná nákladově efektivní inovace** = Ad. A + B + nový postup je zároveň ekonomicky akceptovatelný za jednotku produkce zdraví (QALY, rok života)

ZÁVĚRY

- Náklady na inovativní léčbu mírně rostou…a ještě porostou (= realita, stárnutí populace, nezdravé chování)
- Jejich vstup do úhrady je přísně limitován
  - nejnižší cena/úhrada v EU
  - přísně hodnocené přínosy
  - hranice ochoty platit
  - opožděný vstup (SŘ = cca 16 měsíců)
- Pokud budeme limitovat vstup/objem, budeme snižovat kvalitu péče
- Je třeba změnit naše zdravotnictví z orientace na objem na orientaci na výkon/výsledky
  - volume-based →→→ value/based
- Principy "úhrada za výsledek/výkon" (HTA) je nutné aplikovat i na jiné oblasti (přístroje, zdravotní prostředky, výkony, preventivní postupy, apod.)

Děkuji za pozornost

HETA
Institute of Health Economics and Technology Assessment