

A kuratív ellátással kapcsolatos szempontok hazai viszonylatban

KASZA KATALIN

EGÉSZSÉGÜGYI KÖZGAZDÁSZ

2023. OKTÓBER 9.

Agenda

- A kuratív ellátás/terápia definíciója a daganatos betegségekben
- Kontextus
- A kuratív célzatú, innovatív terápiákkal kapcsolatosan felmerülő kérdések, problémák
- Lehetséges válaszok
- Tovább lépési, fejlesztési lehetőségek

Kuratív ellátás - Definíció

- Olyan egészségi állapotok esetén nyújtott egészségügyi ellátás, ahol a **gyógyulás elérhetőnek**, sőt lehetségesnek tekinthető, és kifejezetten **erre a célra irányul**
- Rákos sejtek teljes eliminációja, ami potenciálisan gyógyulást eredményez
- Hosszútávú, tartós betegségmentes állapot elérése
- Betegség kiújulásának megelőzése

Forrás: Heaver, 1995



Lokális kezelés: műtét, sugárterápia
Szisztémás kezelés: kemoterápia,
hormonterápia, célzott terápia, immunterápia

Kontextus

- Gyógyszerfejlesztés fókusza az inoperábilis vagy metasztatikus daganatos betegségek modern célzott/ immunterápiái → túlélés javulása (hosszú távú kezelés)

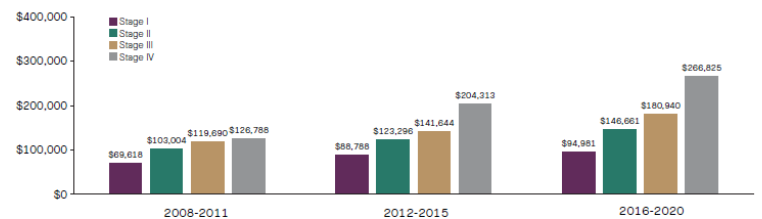
Hogyan értelmezhető az innováció a kuratív szettingben?

Kontextus

Betegség stádiumával növekvő kiadások

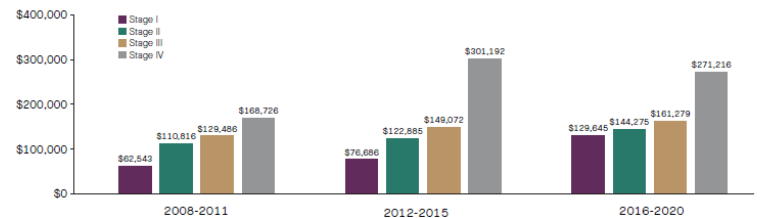
- Szignifikánsan drágább a metasztatikus betegek ellátása a korai stádiumban diagnosztizált betegekéhez képest

Figure 1a. Breast Cancer Mean Standard Cost by Diagnosis Time Period, Cancer Type, and Stage, 2008-2020*



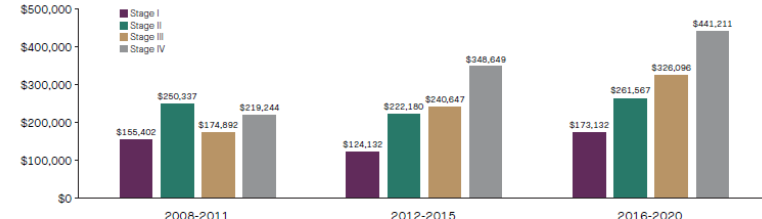
*Standard deviation (SD). In order stage I-IV SD, 2008-2011: \$58,125, \$70,760, \$76,969, \$74,020; 2012-2015: \$73,701, \$80,236, \$89,763, \$140,634; 2016-2020: \$70,184, \$101,856, \$106,129, \$150,294.

Figure 1b. Colorectal Cancer Mean Standard Cost by Diagnosis Time Period, Cancer Type, and Stage, 2008-2020*



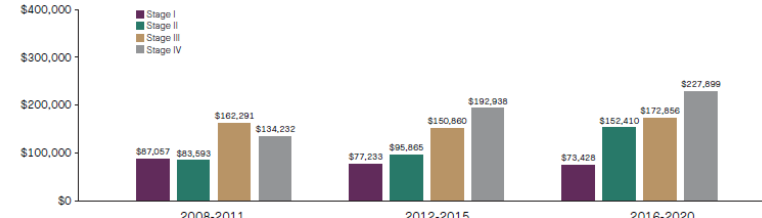
*Standard deviation (SD). In order stage I-IV SD, 2008-2011: \$78,318, \$120,148, \$62,035, \$93,646; 2012-2015: \$62,035, \$93,646, \$108,179, \$186,537; 2016-2020: \$113,327, \$107,510, \$118,925, \$131,885.

Figure 1c. Lung Cancer Mean Standard Cost by Diagnosis Time Period, Cancer Type, and Stage, 2008-2020*



*Standard deviation (SD). In order stage I-IV SD, 2008-2011: \$189,701, \$135,677, \$107,863, \$104,092; 2012-2015: \$124,480, \$167,120, \$137,726, \$181,291; 2016-2020: \$149,691, \$166,417, \$263,404, \$195,764.

Figure 1d. Ovarian Cancer Mean Standard Cost by Diagnosis Time Period, Cancer Type, and Stage, 2008-2020*



*Standard deviation (SD). In order stage I-IV SD, 2008-2011: \$125,966, \$51,423, \$161,119, \$83,419; 2012-2015: \$58,230, \$66,001, \$93,696, \$123,542; 2016-2020: \$73,244, \$110,488, \$106,888, \$133,766.

Forrás: McGarvey et al., 2021

I vs. IV St., 2015 → OC (3,1x), BC (2,8x), LC (2,5x), CRC (2,1x)
 2010 vs. 2020, St. IV → BC (2,1x), LC (2,0x), OC (1,7x), CRC (1,6x)

Kontextus

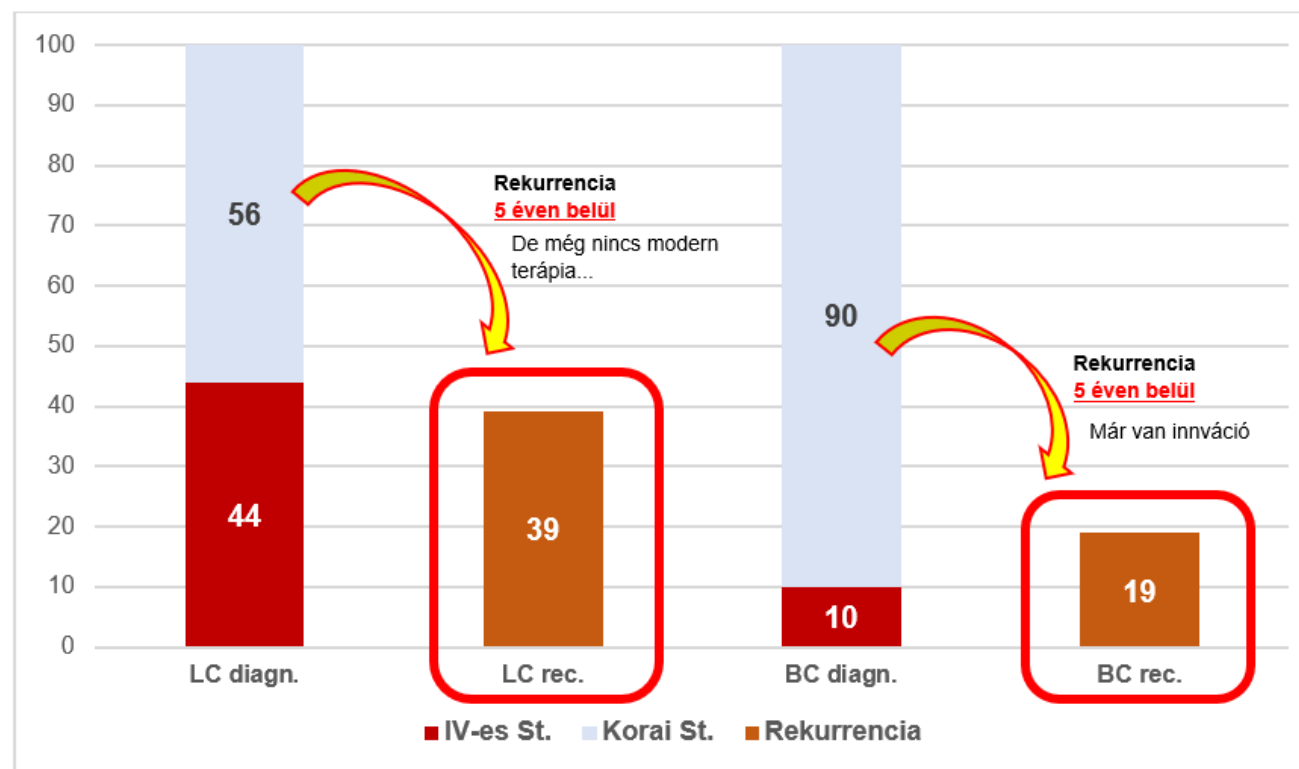
Informális ellátás, termelékenység-csökkenés

- Direkt költségek (gyógyszer) metasztatikus stádiumban kiemelkedően magasak (64%) *Forrás: Roine et al., 2021*
- Termelékenységcsökkenés jellemzőbb korai stádiumban (St. I dolgozik 59%, nyugdíjas 33%; St. IV 21% - 74% → 39% vs. 30%) *Forrás: Roine et al., 2021*
- Informális ellátás hasonló a korai és metasztatikus állapotban (10-12%; Igénybevétel St. I vs. St. IV 33% vs. 58%) *Forrás: Roine et al., 2021*
- Sok beteg még munkaképes korú → korai stádiumban alkalmazott terápiák megtérülése?

Kontextus

Rekurrencia elkerülésének jelentősége

- Szuboptimális korai kezelés → rekurrencia
- Beteg ismételten megjelenik az ellátórendszerben
- Metasztatikus betegség rossz prognózisú és drágábban kezelhető



Forrás: McGarvey et al., 2021; Pignon et al., 2008; Korányi Bulletin, 2023; Slamon et al., 2016; Cameron et al., 2017; Saját szerkesztés

Egészségpolitika és gyógyszerfinanszírozás szintjén egy lehetséges beavatkozási pont a kuratív ellátás

Ha képesek vagyunk a kuratív terápiák hatásosságát növelni, melynek következtében javulnak a betegek gyógyulási esélyei, azaz a betegség kiújulásának előfordulása minimalizálható, vagy a korai halálozás elkerülhető, akkor ennek következtében nem csak direkt/indirekt egészségügyi kiadásokat takaríthatunk meg a korai kezeléssel és a betegség későbbi stádiumában, hanem össztársadalmi szinten járulhatunk hozzá az allokatív hatékonyság növeléséhez és a fenntartható finanszírozás megőrzéséhez, kialakításához.

Prioritások?

Felmerülő kérdések, problémák

(1) Klinikai szempontok

- Követési idő túl rövid a klinikai vizsgálatokban

- Gold standard: OS Forrás: Feigin et al., 2004
- Megnőtt a hosszú távú, megerősítő adatok előállításához szükséges idő Forrás: EMA, 2014

- Köztes/helyettesítő végpontok elterjedése

- Kevesebb beteg, rövidebb követési idő szükségeltetik
- De nem feltétlenül van összefüggés a köztes/helyettesítő végpont (pCR, EFS, DFS, PFS) és az OS között Forrás: Delgado et al., 2021
- Kihívás: validáció szükségessége

„klinikai többlet-előny nem bizonyított, nem kellően alátámasztott, bizonytalanságokkal terhelt”

Felmerülő kérdések, problémák

(2) Egészség-gazdaságtani szempontok

- Egészség-gazdaságtani modellezés szükségessége
 - Hosszú távú extrapoláció éretlen adatok, köztes/helyettesítő végpontok alapján
 - Komplex modellezési megközelítés, inputigényes, feltételezések → további limitációt jelent

- Finanszírozói nézőpont és/vagy társadalmi nézőpont?
 - Direkt vs. indirekt költségek
 - Költséghatékonyság bizonyított, ha csak társadalmi nézőpontból igazolható? → nem elégséges

„elemzés bizonytalanságokkal terhelt, döntéselőkészítési célú felhasználhatósága korlátozott”

Felmerülő kérdések, problémák

(3)Finanszírozói szempontok

- Heterogén célpopuláció
 - Karakterisztikus tulajdonságok/biomarkerek jelentősége
 - Ki profitál igazán a kezelésből?
- Mikor alkalmazzuk az innovatív terápiákat?
 - Neoadjuváns vs. adjuváns vs. neo + adjuváns alkalmazás
 - Ugyanazon hatóanyag esetén számíthatunk hasonló egészségjavulásra ha műtét előtt/után alkalmazzuk?
 - Kuratív vs. metasztatikus szettingben alkalmazzuk?
 - Ez orvosi vagy inkább finanszírozói kérdés?
- Klinikai vizsgálatból eltérő alkalmazás
 - Mesterségesen lerövidített kezelési idő esetén szavatolható-e a hosszútávú hatás?

Lehetséges válaszok

(1)Klinikai szempontok

- Nemzetközi szervezetek ajánlásai a köztes/helyettesítő végpontok alkalmazhatóságára vonatkozóan
 - Beteg számára releváns / Biológiai plauzibilitás / RCT (EUnetHTA)
 - Részletesebb kritériumok: RCT-k meta-analízise, erős összefüggés bizonyítása ($R \geq 0,85$, $R^2 \geq 0,72$), meta-regressziós elemzési technika alkalmazása (NICE, IQWiG, G-BA, CADTH, PBAC)
- Pragmatikus megközelítés (FDA, EMA)
 - Engedélyezési folyamatra vonatkozó javaslatok → új terápiák mielőbb elérhetővé váljanak
 - Agresszív, magas kockázatú betegség terápiái esetén
 - Jól tervezett, superioritás, add-on jelleg, megalapozott hatásmechanizmus, jól karakterizált biztonságosság, folyamatban levő megerősítő vizsgálat
- FDA nyilvántartás a köztes/helyettesítő végpontokról

Lehetséges válaszok

(2) Egészség-gazdaságtani szempontok

- Komplex modellezési megközelítés
 - Több input adat → elemzés végeredményét befolyásolja
 - Felértékelődik a PSA jelentősége

- Nemzetközi HTA szervezetek ajánlásai
 - Túlélés-modellezés módszertana
 - Konzervatív megközelítés a bizonytalanságok eliminálása céljából
 - TÉF alternatív alapeset javaslat

Lehetséges válaszok

(3)Finanszírozói szempontok

- Klinikai többlet-előny objektív jellemzése
 - ESMO MCBS Scorecards kuratív szettingben (A – B – C)
 - NCCN Guideline – Evidence Blocks
 - „Preferált” , „category 1” → terápia helye kijelölt
- Szűkös források → optimális döntés
 - Betegcsoport szűkítés (ahol vélhetően a kezelés a legeredményesebb)
 - Egyedi méltányossági kérelmezés rendszere → hozzáférés lehetőségének megteremtése
 - Valós életbeli eredményesség monitorozhatóvá válik
 - Eredményességi alapú megállapodások
- Korai stádiumban alkalmazott innovatív terápia ismételt alkalmazása metasztatikus szettingben

Továbblépési, fejlesztési lehetőségek

- Adat-vezérelt döntéshozatal a terápia hatásosságának mérésére
 - Meglévő finanszírozói adatállomány minőségének javítása
 - Adatkör kibővítése, finanszírozói adatbázisba integrálása (pl. stádium, diagnosztikus eredmények)
 - Humán erőforrás- és kapacitásfejlesztés a költséghatékony finanszírozói döntések támogatására (adatelemzés, prediktív markerek azonosítása a terápia hatásosságának előrejelzése érdekében)
- Nemzetközi jó gyakorlatok a modern terápiák hozzáférhetőségének elősegítésére
 - UK / Németország → befogadás nem végleges
- A „revízió” lehetősége
 - Hivatalból indított eljárás kezdeményezése

Az elszálló onkológiai kiadások miatt az onkológiai ellátás fokozatos transzformációjára lenne szükség.

Paradigmaváltás helyett szolgáltatási portfólió bővítés!

Az innovatív terápiák kuratív szettingben történő racionális hozzáférhetővé tétele egy lehetséges beavatkozási pont, mellyel a korai stádiumban felfedezett és megkezelt betegek számára gyógyulást biztosíthatunk költséghatékony módon, az allokatív hatékonyság növelése és a fenntartható finanszírozás megőrzése mellett.



Köszönöm a figyelmet!

KATALIN.KASZA@MEDICONCEPT.HU