



Méltányosság és hozzáférés

A ritka betegségek kezelésére szolgáló készítmények támogatásának kezdeti kérdései

DR. RÓZSA PÉTER - KASZA KATALIN - DR. GERENCSÉR ZSOLT - DR. TÓTH GERGELY






2017. 06. 22.

Agenda

1. Ritka betegségek új gyógyszerei – kezdeti nehézségek.
2. Jelenlegi gyakorlat és kihívások.
3. Alternatív javaslat.
4. Konklúzió.



Egy megalapozott befogadási döntéshez szükséges...

| Dimenzió | A gyógyszerek befogadásának és támogatásának alapelvei | A kérelem benyújtásakor jellemzően elegendő információ áll rendelkezésre? |
|---------------------------------|---|---|
| Klinikai | Szakmai megalapozottság. Tudományos bizonyítékokon alapuló döntéshozás. Biztonságos és hatásos gyógyszer. ¹ |  |
| Gazdasági | Költségvetési keretek figyelembevétele. Hosszú távon tervezhető, kiszámítható, finanszírozható. ¹ A kezelésbe vonható betegszám meghatározása és racionális költségvetési hatás. |  |
| Klinikai & Gazdasági | Költséghatékonyság ¹ . Eredményhez kötött finanszírozás. Indokolható árazás. |  |
| Méltányosság | Szükséglet alapú megközelítés ¹ . Hozzáférés. |  |
| Egyéb | Átláthatóság, ellenőrizhetőség, kiszámíthatóság. Az érdekviszonyok átláthatósága. ¹ |  |

Információhiány

Költségvetési keretek, tervezhetőség kiszámíthatóság:

Betegszám meghatározása:

- Szakirodalmi adatok, publikációk.
- Nemzeti adatbázisok/regiszterek.
- NEAK adatbázis elemzése.
- Egyedi kutatások, felmérések.

Kihívások:

- Ritka betegségek esetén nagyfokú bizonytalanság.
- Egyes kórképek (pl. hematológia) esetén NEAK adatbázis korlátjai.

Racionális költségvetési hatás:

- $\text{Betegszám} \times \text{Terápiás költség}$



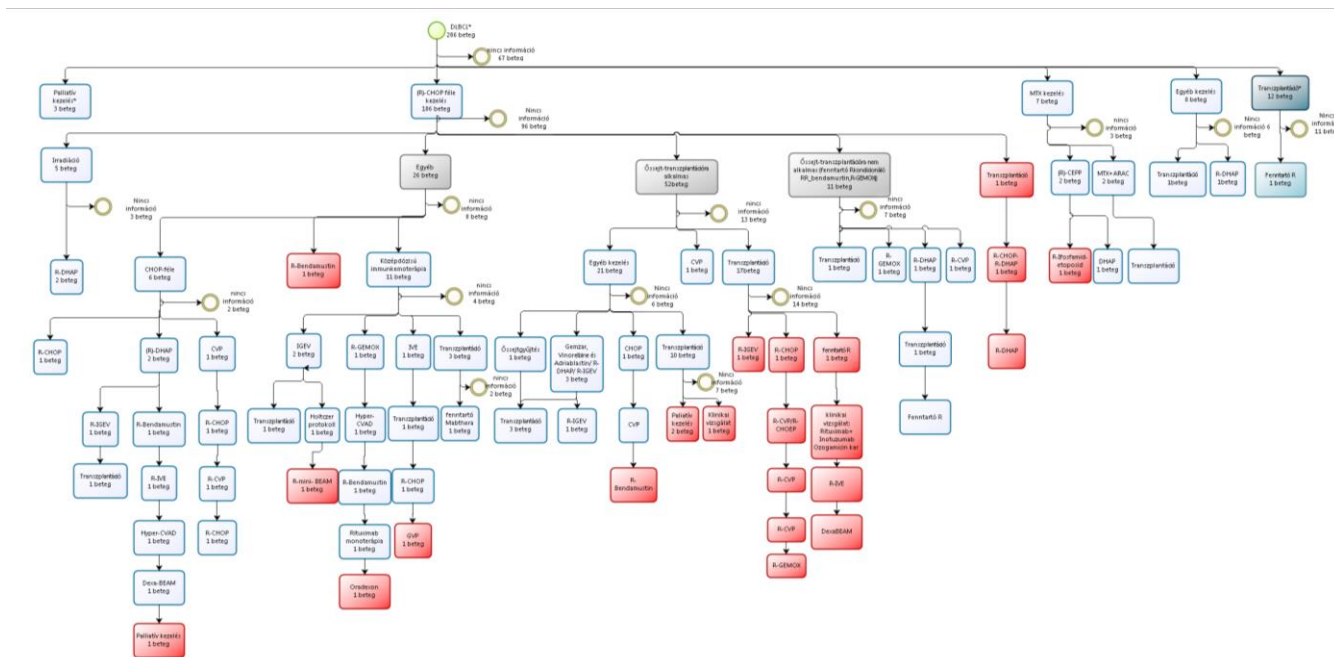
Esettanulmány

Kérelem: a **pixantron** monoterápia többszörösen relabált vagy refrakter agresszív non-Hodgkin B-sejtes limfómában szenvedő felnőtt betegek harmad-, negyedvonalú kezelésére.

- Az agresszív B-sejtes NHL hivatalosan a ritka betegségek közé tartozik², incidenciája Magyarországon 5/100 000 lakos/év, azaz évente kb. 500 új eset jelentkezik.^{3,4}



Az 500 betegből vajon hány beteg jut el a harmad, negyedvonalig?



„A hazai, harmad- vagy negyedvonalas pixantron terápiába potenciálisan bevonható betegpopuláció méretét epidemiológiai mutatószámok és szakirodalmi források segítségével éves szinten maximálisan 50 főre becsültük.”⁵

Információhiány

Költséghatékonyság, eredmény alapú támogatás

Lehet-e költséghatékony egy orphan készítmény?

Mi alapján mérjük az eredményességet?

Mi a társadalmilag is elfogadható ár?

Méltányosság & hozzáférés:

Hogyan biztosítható a hozzáférés a reguláris támogatás megszerzéséig?

→ egyedi méltányosság



NEAK kérdései:

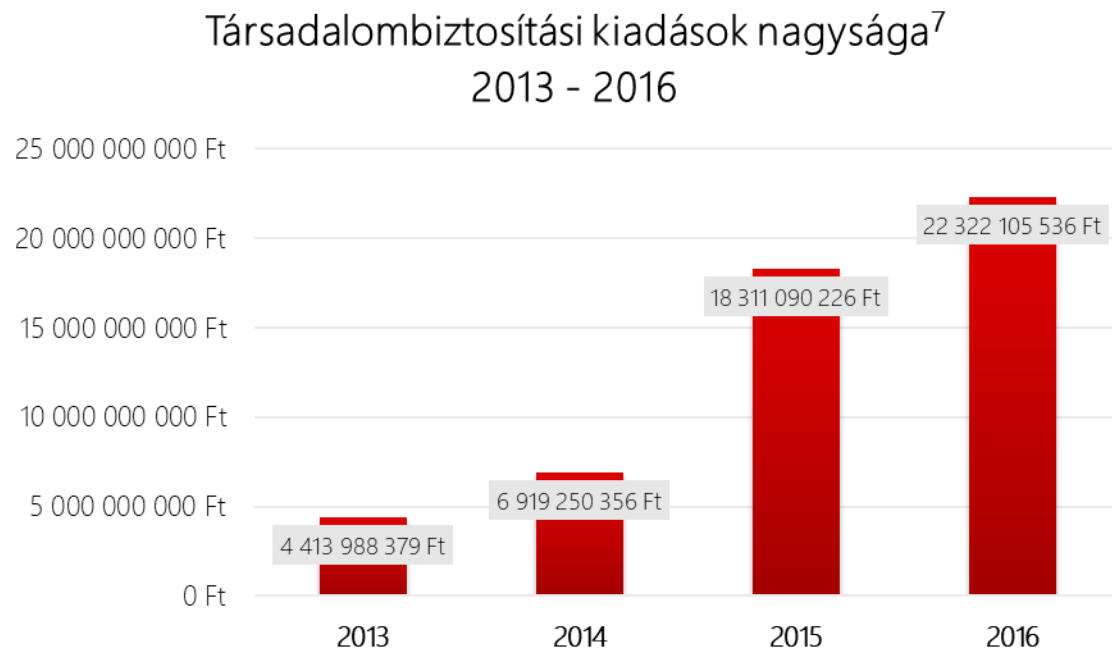
- Szakmailag hol a készítmény helye?
- Kasszahatás
(Hány beteget érint? Mennyi az egy betegre eső terápiás költség?)
- Milyen **kockázatmegosztási** megállapodást lehet kötni?

Az egyedi méltányossági támogatás helyzete

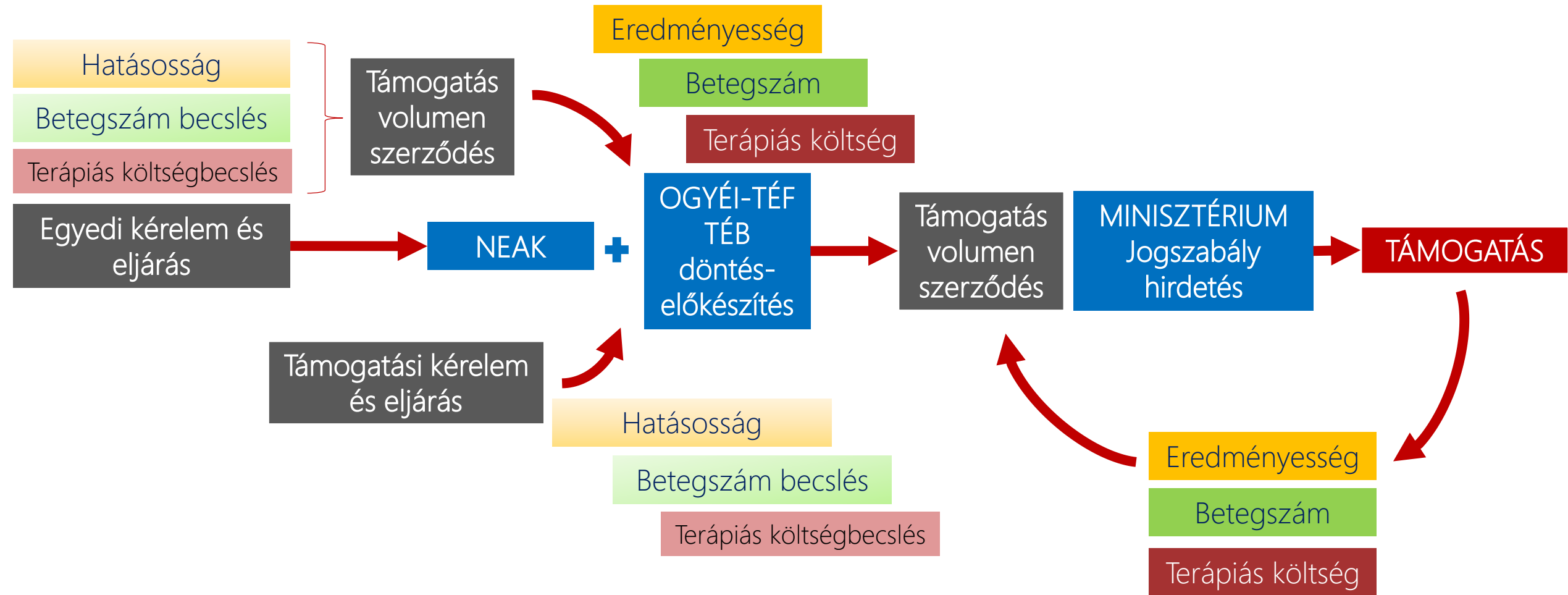
Éves szinten nagyságrendileg **10.000** egyedi méltányossági kérelem.

A NEAK adatai alapján a **közel 40%-ban** a forgalmazó nem ad be **társadalombiztosítási kérelmet**.⁶

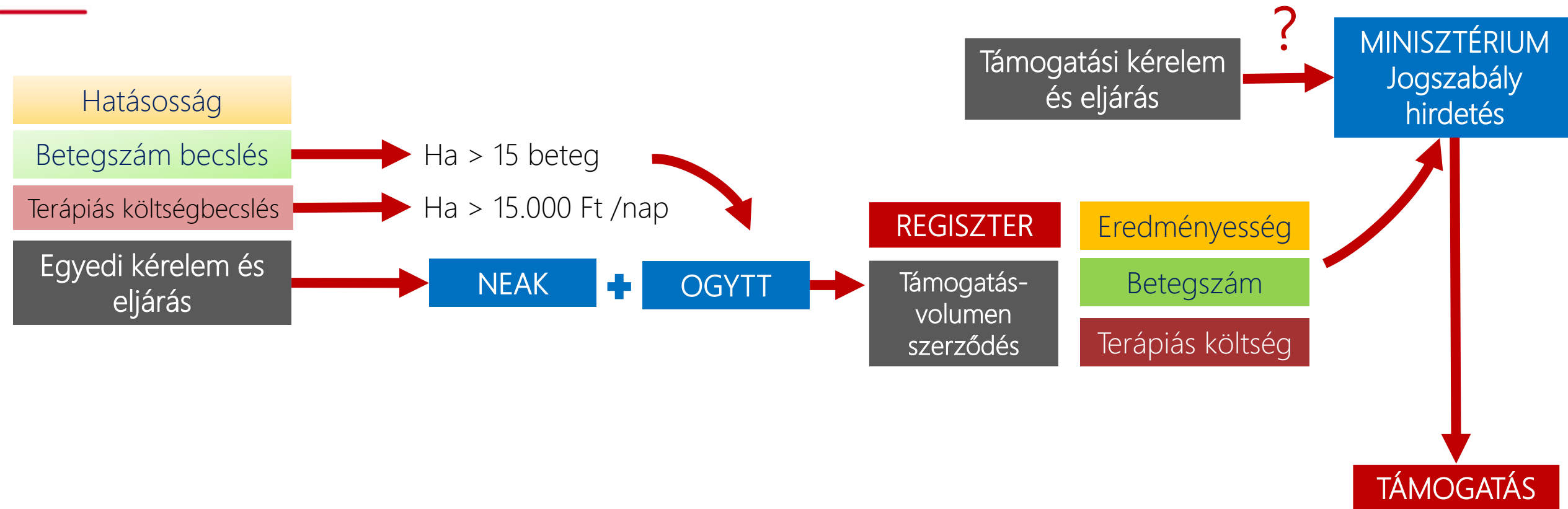
2013-2016 között **a teljes támogatáskiáramlás 51,97 milliárd Ft** volt.⁷



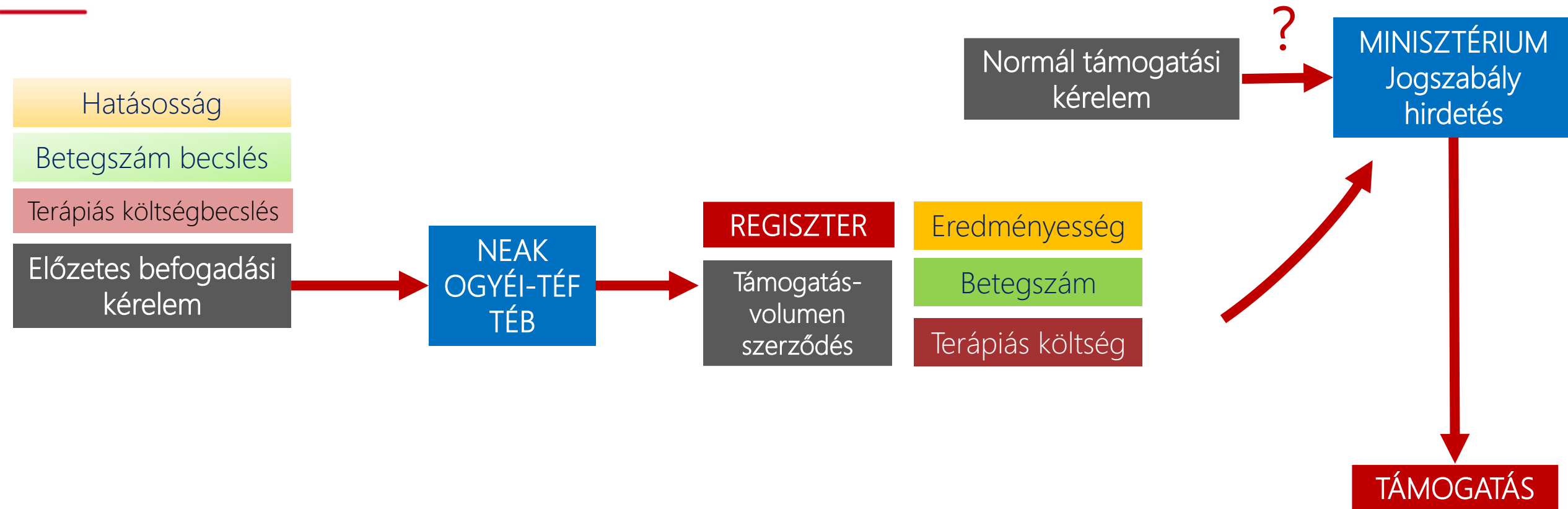
Jelenlegi gyakorlat



Hatályos szabályozás (Ebtv. alapján)



Előzetes befogadási eljárás



Nemzetközi példák

| Ország | RWE szerepe a kezdeti támogatási tárgyalások során | Feltételes befogadás | Feltételes befogadás célja |
|---------------------------|--|----------------------|---|
| Svédország (TVL) | Mindegyik elfogadja , de eltérő hangsúllyal. A ritka betegségek ill. korlátozott evidencia esetén több támogatja, egy nem mert hibás döntéshez vezethet. | Nincs* | |
| Egyesült Királyság (NICE) | | Nincs* | |
| Németország (IQWiG) | | Nincs* | |
| Franciaország (HAS) | | Igen | eredményesség + költséghatékonyság |
| Olaszország (AIFA) | | Igen | eredményesség + költséghatékonyság + árazás |
| Hollandia (ZIN) | | Igen | eredményesség |

„A feltételes befogadás kihívása: a támogatást megvonni sokkal nehezebb, mint egyáltalán el sem kezdeni!”⁹

Forrás: 8

* Az ezekben országokban alkalmazott feltételes befogadási módszerek nem olyan kiforrottak, mint a HAS, AIFA ill. a ZIN esetében

8: Makady A, Ham RT, de Boer A, Hillege H, Klungel O, Goettsch W; GetReal Workpackage.: Policies for Use of Real-World Data in Health Technology Assessment (HTA): A Comparative Study of Six HTA Agencies. Value Health. 2017 Apr;20(4):520-532. doi: 10.1016/j.jval.2016.12.003. Epub 2017 Jan 27.

9: E.J. van de Wetering, N.J.A. van Exel, W.B.F. Brouwer.; Challenge of Conditional Reimbursement: Stopping Reimbursement Can Be More Difficult Than Not Starting in the First Place! Value Health. 2017 Jan;20(1):118-125. doi: 10.1016/j.jval.2016.09.001. Epub 2016 Nov 3.

Előnyök és kihívások

NEAK:

- Csökkenő adminisztrációs teher.
- Gyorsabb hozzáférés.
- Nem jelent hosszú távú elköteleződést.

Klinikusok, betegek:

- Gyorsabb hozzáférés.

Forgalmazók:

- Gyorsabb piacra lépés.
- Olyan készítmények is támogatásba kerülhetnek, amelyek a normál eljárás szerint vélhetően elutasításra kerültek volna.

NEAK:

- Mennyi ideig tartson az előzetes fázis?
- Mi történik a regiszter felállításáig?
- Mi az eredményességi mutató?
- Mi történjen az eredménytelen eljárásokkal?
- Némi erőforrásigény növekmény.

Klinikusok, betegek:

- Korlátozott szakmai tapasztalat.

Forgalmazók:

- Komplexebb befogadási eljárás.
- Erőforrásigény.
- Árazási kérdések.

Konklúzió

1. A ritka betegségek kezelésére szolgáló készítmények kezdeti támogatása számos korlátba ütközik.
2. A legfontosabb kihívásnak az információ-hiányt jelöltük meg.
3. Megoldási javaslat: a jelenleg hatályos Ebtv. kiegészítése az ún. előzetes/feltételes befogadási eljárással.
4. A rendszer számos előnnyel járna (valid eredményességi adatok, csökkenő adminisztráció, gyorsuló hozzáférés).
5. Ugyanakkor kihívásokat is hordoz (módszertani kérdések, regiszter szakmaisága).



Köszönöm a megtisztelő figyelmet!

Strategy. Expertise. Success.