



**Halina Pilonis**, 2018-08-20 07:00

## Refundację leków sierocych mógłby zapewnić osobny budżet



Fot. Wojciech Górski

- W przypadku chorób rzadkich proponuję rozważenie odstępstwa od ogólnie przyjętej procedury oceny leków z zachowaniem ich kosztowej efektywności i wpływu na budżet - mówi wiceminister zdrowia Marcin Czech.

**Odstępstwo od ogólnie przyjętej procedury oceny leków na choroby rzadkie i ultraradkie z zachowaniem ich kosztowej efektywności i wpływu na budżet, ale z wprowadzeniem dodatkowych kryteriów równoważących przekroczenie progu opłacalności - to propozycja zapisana w projekcie „Polityki Lekowej Państwa na 2018- 2022”. O tym, jak poprawić dostęp do terapii chorób rzadkich w Polsce - mówi wiceminister zdrowia Marcin Czech współtwórca projektu Polityki Lekowej.**

**Halina Pilonis: Polska wciąż nie ma Narodowego Planu Chorób Rzadkich, choć Unia Europejska zobowiązała wszystkie członkowskie państwa, aby przygotowały je do końca 2013 r. W Ministerstwie Zdrowia pracowały nad tym kolejno powoływane Zespoły, ale Planu wciąż nie**

## przyjęto?

**Marcin Czech:** To prawda. Ostatnio zajmował się tym były wiceminister zdrowia Marek Tombariewicz. Projekt, który przygotował proponował sporo dobrych rozwiązań. Znalazły się tam również takie, które wymagałyby jeszcze przedyskutowania. Dokument ten został przekazany wiceminister zdrowia Józefie Szczurek-Żelazko, która zdecyduje, co dalej z nim będzie. Dotyka on wszystkich aspektów chorób rzadkich w wielu segmentach ochrony zdrowia – poczynając od diagnostyki – zarówno metabolicznej, jak i genetycznej, poprzez podstawową opiekę zdrowotną, ambulatoryjną opiekę specjalistyczną, usługi innych specjalistów medycyny – fizjoterapeutów, psychologów, logopedów, a także hospitalizację z odpowiednio przygotowaną kadrą, również pielęgniarską, a skończywszy na opiece hospicyjnej, także domowej. Moim zdaniem, leczenie chorób rzadkich miałyby być opieką koordynowaną w jednym wyspecjalizowanym ośrodku. Chory miałby swojego koordynatora, którym mógłby być specjalista zdrowia publicznego lub np. pielęgniarka. Taki dobrze przeszkolony koordynator zajmowałby się wieloma pacjentami cierpiącymi na choroby rzadkie. Usytuowany przy wyspecjalizowanym ośrodku np. Centrum Zdrowia Dziecka stanowiłby dla rodziców i opiekunów chorych jeden punkt kontaktowy. Nie musieliby sami szukać specjalistów, rehabilitantów, czy przekazywać swojemu lekarzowi rodzinnemu informacji o potrzebach zdrowotnych swojego dziecka. Mógłby też regulować kolejkę do specjalistów kwalifikując najpierw pilniejszych pacjentów. Gdyby udało się to wprowadzić, pacjentom byłoby z pewnością łatwiej, ale także ułatwiłoby to pracę lekarzom i innym profesjonalistom medycznym.

## H.P.: A co z finansowaniem drogich terapii lekowych?

**M.C.:** Większość leków chorzy mają zapewnionych. Np. w mukowiscydozie zagwarantowany jest dostęp do wszystkich antybiotyków, sterydów i leków przeciwbólowych. W chorobach rzadkich tylko dla 3% z nich istnieje skuteczna farmakoterapia. Niestety, jest bardzo droga. I kwestia finansowania takich terapii rodzi pytania natury filozoficznej – czy system opieki zdrowotnej powinien być utylitarny czy egalitarny. Z jednej strony bowiem, powinniśmy w ramach środków, którymi dysponujemy kupować tyle samo zdrowia dla poszczególnych pacjentów, ale kupując jednemu choremu na SMA lek pozbawimy terapii kilkudziesięciu chorych na mukowiscydozę. Z drugiej strony, kiedy spotykam się z rodzicami chorych dzieci, słyszę często zarzut, że ministerstwo decyduje się na refundację drogiego leku na raka płuca, który jest nikotynozależny. – My dbaliśmy o swoje zdrowie, nie paliliśmy, unikaliśmy ryzykownych zachowań, ale doświadczyliśmy nieszczęścia niezawinionej choroby dziecka. I nam odmawia się refundacji – mówią. I trudno tych argumentów nie brać pod uwagę.

## H.P.: Więc, jak rozstrzygać takie dylematy?

**M.C.:** Ustawa refundacyjna zawiera 13 kryteriów oceny leków sierocych. Jest to stanowisko Komisji Ekonomicznej, rekomendacja Prezesa AOTMiT, istotność stanu klinicznego, skuteczność kliniczna i praktyczna, bezpieczeństwo stosowania, relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, konkurencyjność cenowa, wpływ na wydatki NFZ, istnienie alternatywnej technologii medycznej oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo, wiarygodność i precyzja oszacowań kryteriów, priorytety zdrowotne określone w przepisach oraz wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności PKB Brutto na jednego mieszkańca, a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu – koszt uzyskania dodatkowego roku życia. Negocjując cenę stosuje się też instrumenty podziału ryzyka. Prawo pozwala jednak podjąć decyzję o refundacji nawet, jeśli nie wszystkie kryteria są spełnione. Wiąże się z to zawsze z pewnym ryzykiem narażenia się na krytykę grup chorych, którzy refundacji się nie doczekali, a więc i ataki medialne. Jest to też ryzyko polityczne, bo taka decyzja oznacza dla budżetu rezygnację z innych wydatków. A także ryzyko lekarskie, bo jest to również decyzja medyczna, a nie tylko finansowa. Więc myślę, że ułatwieniem mogłoby być powstanie dodatkowych bardziej wąskich kryteriów pomagających te trudne decyzje podejmować.

**H.P.: I to proponuje projekt „Polityki Lekowej Państwa na lata 2018-2022”?**

**M.C.:** W przypadku terapii stosowanych w chorobach rzadkich i ultrarzadkich proponuję rozważenie odstępstwa od ogólnie przyjętej procedury oceny leków z zachowaniem ich kosztowej efektywności i wpływu na budżet. Rozwiązaniem mogłoby być wprowadzenie dodatkowych narzędzi oceny technologii lekowych. Przykładem mogą być instrumenty oparte o metodę Wielokryterialnej Analizy Decyzyjnej (MCDA), która jest wykorzystywana w próbach opracowania wytycznych dla oceny leków sierocych, ich walidacji w Katalonii czy tworzenia programów pilotażowych w Kanadzie. Chodzi o system oceny punktowej, w którym – nawet przy słabym wyniku za przekroczenie progu efektywności kosztowej leku – można by nadrobić punkty za np. wysokie bezpieczeństwo, mocne dowody skuteczności czy niedramatycznie duży wpływ na budżet przez małą liczbę chorych. Jeśli maksymalna ilość punktów do zdobycia wynosiłaby 30, osiągnięcie oceny powyżej 25 punktów oznaczałoby decyzję refundacyjną. Wynik powyżej 20 punktów oznaczałby, że refundacja zostanie rozważona, powyżej 15, że raczej mało prawdopodobną, a poniżej 15 – niemożliwą. Można też rozważyć w przypadku chorób rzadkich zmianę progu efektywności kosztowej, np. do dziewięciokrotności PKB brutto na jednego mieszkańca.

**H.P.: Jednak od tego pieniędzy nie przybędzie, a to przecież one leżą u źródła problemu?**

**M.C.:** Dlatego refundacja leków sierocych mogłaby odbywać się z osobnego budżetu, tak jak np. leki dla seniorów 75+. Jednak w oparciu o analizy AOTMiT, ustawę refundacyjną i negocjacje Komisji Ekonomicznej. Kryteria MCDA można by też połączyć z Ratunkowym Dostępem do Technologii Lekowych RDTL. Obecnie z braku dostatecznych środków NFZ przerzuca ciężar finansowania tych terapii na szpitale, bo przepisy o sieci szpitali wprowadzające finansowanie ryczałtowe dla placówek dopuszczają dodatkowe płatności ze strony NFZ jedynie w ściśle określonych przypadkach, a RDTL na tej liście nie figuruje.

**H.P.: Skoro zatem resort wie to wszystko, dlaczego wciąż nie ma odpowiednich regulacji?**

**M.C.:** Młyny ministerialne miał powoli. Poza tym oczekiwania wszystkich pacjentów są ogromne. Rośnie lista bezpłatnych leków dla seniorów, powstaje lista bezpłatnych leków dla ciężarnych, potrzeby onkologii nie maleją.

**H.P.: Cierpiący na choroby rzadkie czekają jednak bardzo długo. Producent jedynego skutecznego leku dla dzieci z SMA złożył wniosek w sierpniu 2017 roku. AOTMiT wydał pozytywną rekomendację, a terapia wciąż jest niedostępna.**

**M.C.:** Lek jest bardzo drogi. Komisja Ekonomiczna próbuje negocjować z firmą cenę. Być może uda się wykorzystać instrument dzielenia i producent opuści cenę, która oficjalnie się nie zmienia. Dzięki temu na innych bardziej zamożnych rynkach wytwórca utrzyma nadal tę wyższą cenę.

**H.P.: Jakie argumenty są pomocne w negocjacjach?**

**M.C.:** Na pewno, kiedy negocjuje się większy zakup. Dlatego w ramach Grupy Wyszehradzkiej V4 rozważa się wspólne negocjacje cen leków sierocych. Próbuje to tego dołączyć nawet kraje ościenne. Ale jest to niezmiernie trudne, bo we wszystkich tych krajach są różne systemy zakupu leków. Po półtorarocznej pracy grupa V4 wypracowała metodykę takich negocjacji. Spróbuje ją wykorzystać najpierw dla trzech leków nowotworowych. Pomysł zbiorowych negocjacji realizują też państwa Beneluksu czy kraje nordyckie. To dobry pomysł, ale trudny do zrealizowania, bo sprzeciwia się mu bardzo silna i jedna z najbogatszych branż. Holendrzy stosują jeszcze inną formę nacisku. Jeśli nie dogadają się z firmą farmaceutyczną, ujawniają w swoim parlamencie ostatnią zaproponowaną przez rząd cenę. To czasem powoduje, że producent z obawy przed oburzeniem chorych godzi się na proponowane warunki.

**H.P.: W przypadku leków sierocych wysoka cena ma jednak też stanowić zachętę dla**

### **poszukiwań terapii dla tak niewielkiej liczby chorych?**

**M.C.:** Być może warto rozważyć negocjowanie cen leków dla całej UE. Mogłoby to być atrakcyjne zarówno dla płatnika, jak i producenta. Dobrym, choć rewolucyjnym pomysłem byłoby stworzenie wspólnego europejskiego funduszu na leki sieroce. Składałyby się na niego wszystkie kraje UE, a wysokość partycypacji zależałaby od liczby mieszkańców i wartości PKB. W ramach takiego budżetu unijne ciało negocjowałoby ceny leków dla wszystkich chorych w UE.

### **H.P.: Jaki interes mieliby producenci, aby się na to zgodzić?**

**M.C.:** Pewnie musieliby trochę zejść z ceny, ale sprzedawaliby znacznie więcej leków. Dziś te najdroższe refundowane są tylko w najbogatszych krajach Unii. Przy takim rozwiązaniu wszyscy wytwórcy leków sierocych dostają dostęp do ogromnego rynku całej UE sprzedając leki po cenach zależnych od PKB na mieszkańca, czyli od zamożności kraju członkowskiego, innymi słowy od siły nabywczej jego obywateli obliczanym po paryecie siły nabywczej.

### **H.P.: Dlaczego Niemcy czy Francuzi mieliby składać się na leczenie obywateli innych krajów?**

**M.C.:** Zyskają pewność, że lek jest bezpieczny, bo ewentualne działania niepożądane będą obserwowane na znacznie większej grupie chorych. Poza tym wobec nasilających się separatystycznych nastrojów taki solidaryzm umacniałby Wspólnotę. Kanclerz Niemiec czy prezydent Francji ratując życie chorych europejskich dzieci mógłby zdobyć większe poparcie polityczne w swoim kraju.