



Fot. Archiwum własne

Rafał Janiszewski

Artur Fałek

O nowych technologiach w medycynie i refundacji

Rozmowa z Rafałem Janiszewskim i Arturem Fałkiem z Kancelarii Doradczej Rafał Piotr Janiszewski.

Mówi się od dawna, że przyszłością onkologii jest genetyka.

RAFAŁ JANISZEWSKI: Przyszłością medycyny są terapie genowe. Chociażby ta, która się pojawiła w SMA, naprawiająca gen – odwracająca jego mutację. Zauważmy, że w USA została ona dopuszczona warunkowo. Dlaczego? Ponieważ z jednej strony efekty jej działania i kwestie bezpieczeństwa stosowania nie zostały przebadane w dłuższym okresie, ale z drugiej strony te badania, które przeprowadzono, pokazują niebywałą korzyść dla dzieci. Wążąc zatem tę korzyść i ryzyko, podjęto decyzję o zarejestrowaniu Zolgensmy. Po rejestracji amerykańskiej ta metoda leczenia została dopuszczona w Unii Europejskiej. Zwróćmy uwagę na kluczową sprawę – w przypadku niektórych terapii nie mówimy o produkowanej w fabryce tabletki i zastrzyku! Mówimy o leku przygotowywanym indywidualnie dla pacjenta.

ARTUR FAŁEK: Albo spójrzmy na technologię CAR-T, która polega na pobraniu limfocytów od pacjenta i modyfikowaniu ich poza organizmem. Używa się wirusa wektorowego do zainfekowania limfocytów zmodyfikowanym materiałem genetycznym powodującym, że one zaczynają rozpoznawać komórki nowotworu, jaki występuje u pacjenta. Koncepcja jest szalenie intrygująca! To terapia tworzona na miarę, ponieważ zmodyfikowanych w ten sposób limfocytów nie poda się żadnemu innemu choremu. CAR-T wykorzystuje się w białaczce i w chłoniakach. Tą technologią dysponują dwie firmy farmaceutyczne i na razie w Polsce zastosowano ją kilka razy dzięki donacji firm farmaceutycznych. Polskie ośrodki hematologiczne w ten sposób przygotowują się do prowadzenia tych terapii i kilka z nich już w tej chwili jest do tego gotowych. Na razie musimy tę technologię kupować, bo w kraju nie mamy możliwości technologicznych takiej modyfikacji limfocytów pacjenta.

CAR-T to również terapia genowa?

A.F.: Tak bym to nazwał.

R.J.: Zgoda, tyle że CAR-T nazywamy roboczo terapią genową, bo jak już Artur wyjaśnił, wiemy, że jej istotą jest modyfikacja genetyczna. Natomiast wciąż mamy potężny problem definicyjny. Na przykład czy terapią genową jest taka terapia, w której się modyfikuje geny na zewnątrz czy na poziomie organizmu pacjenta? Tego nie określiliśmy. W przypadku terapii genowych, jak już wspominałem, jesteśmy na pograniczu pomiędzy lekiem, świadczeniem a terapią, która w przypadku CAR-T składa się z pobrania materiału, przetworzenia go, a następnie wprowadzenia ponownie do organizmu pacjenta w celu uzyskania efektu terapeutycznego. Jak to zdefiniować? Artur wspominał o medycynie spersonalizowanej i zgadzam się z nim, że ona powinna dotyczyć konkretnego człowieka, a nie grupy ludzi spełniających określone kryteria, by można

„ Nauka zrobiła wielkie boom w genetyce. Dorobek naukowy, wiedza są coraz większe, więc prawdopodobieństwo pojawiania się nowych narzędzi technologicznych jest również coraz większe „

było wobec nich daną technologię zastosować. Kiedy mówimy „medycyna spersonalizowana”, to powinno oznaczać, że dotyczy za każdym razem konkretnego pacjenta. Czyli jest to produkt, materiał, wyrób, ciąg technologiczny od początku do końca przygotowany dla danego człowieka. W medycynie mnóstwo jest prób zmierzających właśnie do tego, by znaleźć coś idealnego dla konkretnej osoby.

A idea pobierania i magazynowania krwi pępowinowej? Kilka lat temu budziło to duże zainteresowanie.

R.J.: Komórki macierzyste są omnipotencjalne, więc liczymy, że uzupełnią to, czego organizmowi brakuje. Natomiast najnowocześniejsze technologie to już jest zmiana genomu, jego naprawa, uzupełnienie czy wręcz dodanie jakiejś funkcji – jak właśnie produkcji białka w przypadku terapii SMA. Wracając do kwestii definicyjnej i refundacyjnej, bo przecież ona jest ściśle związana z tym, co definiujemy jako leki – brakuje nam właściwej definicji. Głównie jeśli chodzi o genetykę, technologie przestają pasować do definicji leków, które chcemy refundować. One nie pasują nie tylko z tego powodu, czym nie są – jak mówiliśmy, nie są ani tabletką, ani zastrzykiem, lecz także z tego powodu, czym są. Jest to np. pobrany materiał, który zostaje przetworzony, zmieniony i wprowadzony z powrotem do organizmu pacjenta, jak w CAR-T. Technologie te nie pasują do definicji leku również ze względu na sposób stosowania, rezultaty medyczne, kwalifikacje do określonych grup. W ich przypadku nie możemy *a priori* przyjąć, że tworzymy wspólną grupę limitową. Dzisiaj w systemie mamy wspólne grupy limitowe refundacji dla określonych problemów zdrowotnych – jednostek, z uwzględnieniem substancji czynnych. Ale jak, Arturze, zgrupować na liście refundacyjnej to wszystko, o czym teraz rozmawiamy?

A.F.: Kiedy pracowaliśmy nad ustawą refundacyjną, pojawiały się w koszyku świadczeń gwarantowanych różne rzeczy. Podczas spotkania kierownictwa resortu podniesiony został problem polegający na tym,

„Powinniśmy albo ustalić perspektywę rozwoju systemu ochrony zdrowia, albo ograniczenia dostępności świadczeń”

że mamy ustawę refundacyjną dotyczącą leków, ale potrzebne jest określenie sposobu kwalifikowania do świadczeń gwarantowanych i technologii nielekowych. Wtedy minister postanowił wprowadzić tryb wnioskowy z zapytaniem kierowanym do AOTMiT dla pozostałych świadczeń. Tak „dorobiliśmy się” jednorodnych grup pacjentów. Na pewnym etapie to co mamy – JGP, katalogi świadczeń, produkty rozliczeniowe, lista refundacyjna, wystarczyło do opisanego rzeczywistości, jej skatalogowania i rozliczania. Jednak medycyna, innowacja, wynalazczość mocno poszły do przodu i już takie technologie jak CAR-T nie mieszczą się w grupach JGP. To nie są rzeczy jednorodne. One nie przystają do niczego, czym dysponujemy. To są rzeczy wystające ponad przeciętność w różnych aspektach.

Dla porządku – nowinki, o których rozmawiamy, nie mieszczą się w definicji terapii eksperymentalnych?

R.J.: Nie, bo terapią eksperymentalną jest coś, czego jeszcze nie zbadaliśmy i nie wiemy, jaki będzie efekt. A na przykład w wypadku terapii genowej dla dzieci z SMA wiemy, że przynosi efekt, tylko kłopotem jest pomieszczenie definicyjne świadczenia, technologii i substancji. A trzeba sobie powiedzieć, że medycyna idzie mocno w tę stronę! Oczywiście nadal badamy wpływ różnych substancji na ludzki organizm, odkrywamy nowe zastosowanie istniejących leków, sprawdzamy korelacje różnych substancji, ich skuteczność na różnych etapach schorzenia. Ale medycyna – nauka poszukująca też nowych obszarów. Mam wrażenie, że możliwość leczenia substancjami chemicznymi się wysyca. Poszukujemy sposobów nie tyle wpływania substancją czynną na organizm człowieka, ale w ogóle wpływania na konstrukcję genetyczną człowieka. Próbuje się zmienić najbardziej elementarne składowe organizmu.

Zakodowane w genie.

R.J.: Zakodowane lub nawet takie, które kiedyś były zakodowane prawidłowo, a wskutek działania czynników środowiskowych lub innych się zmieniły – próbujemy to odwrócić. Mówimy o ogromnej gałęzi medycyny poszukującej i pracującej w zakresie genetyki.

Przecież u podstaw poszukiwania leku lub szczepionki na koronawirusa jest genetyka. Bo najpierw badamy DNA albo RNA wirusa, a następnie – na poziomie molekularnym – zastanawiamy się, co jesteśmy w stanie zrobić, aby stworzyć dobry test, który będzie rozpoznawał to białko, szukamy możliwości, by przeciwciała je identyfikowały, żeby mogły z nim walczyć. Medycyna porusza się w obszarze molekularnym, genetycznym i jak widać – te najnowsze technologie to nie jest zwykła tabletkę. Moje pytanie jest otwarte: jakie mamy wobec tego instrumenty i narzędzia? Nauka zrobiła wielkie boom w genetyce, pracuje się nad nią od lat. Dorobek naukowy, wiedza są coraz większe, więc prawdopodobieństwo pojawiania się nowych narzędzi technologicznych jest również coraz większe. Mówię o narzędziach niemieszczących się w ramach refundacji albo takich, które trochę się jeszcze w nich mieszczą, jak Zolgensma na SMA. Ona w definicji lekowej, powiedzmy, że jeszcze warunkowo by się mieściła, ale już jeśli spojrzeć na aspekty cenowe, na kryteria refundacyjne, na instrumenty podziału ryzyka – te instrumenty refundacyjne przestają nam pasować.

A.F.: Ustawa *Prawo farmaceutyczne* mówi tak: „Produktem leczniczym jest substancja lub mieszanina substancji, przedstawiana jako posiadająca właściwości zapobiegania lub leczenia chorób występujących u ludzi i zwierząt lub podawana w celu postawienia diagnozy lub w celu przywrócenia, poprawienia lub modyfikacji fizjologicznych funkcji organizmu poprzez działanie farmakologiczne, immunologiczne lub metaboliczne”. Czy Zolgensma działa farmakologicznie? Nie. Metabolicznie? Efektem modyfikacji genomu jest zmiana metabolizmu. Zgoda. Ale samo działanie jest działaniem na genom, modyfikacją genomu, która wywołuje skutek metaboliczny. Rafał ma rację, że jesteśmy na granicy pojemności definicji produktu leczniczego. I oczywiście mamy system refundacyjny, ale pojawia się pytanie, czy obecny system refundacyjny został stworzony i pasuje do technologii z pogranicza definicji produktu leczniczego. Możemy powiedzieć, że jeżeli coś uzyskało rejestrację lekową, jak właśnie Zolgensma, to formalnie rzecz biorąc, jest lekiem. Jednak uwzględniając unikatowość tej terapii, czyli liczbę pacjentów w naszym kraju – mówimy przecież o chorobach rzadkich – oraz koszty leczenia, to one z pewnością wystają ponad system refundacyjny.

R.J.: Brakuje nam definicji i myślę, że trzeba spojrzeć na sprawę dwutorowo. Z jednej strony na odkrycia, technologie mieszczące się w definicji produktu leczniczego. Może to jest dobry moment, by rozmawiać o sposobie refundowania i oceny zasadności, wartości refundacji nowoczesnych technologii. Trzeba by też stworzyć oddzielne kategorie, definicje. Z drugiej strony mamy technologie niemieszczące się w definicji produktu leczniczego i należy odpowiedzieć na pyta-

nie, czym one są. Czy są świadczeniem zdrowotnym? Trudno powiedzieć, jak zakwalifikować CAR-T. Bliższy jestem uznania tej terapii za świadczenie zdrowotne niż za lek, ale zaangażowanie technologii jest tak specyficzne, że nie wiem, jak to dookreślić.

A.F.: Mamy kilka problemów. Pierwszy to nazewnictwo, ale można na upartego machnąć na nie ręką. Jak zwał, tak zwał, nieważne. Zasadnicze pytanie brzmi, czy ta nowa technologia może być częścią systemu publicznego, czy może być finansowana z publicznych pieniędzy! I tu zaczynają się schody. Leki są obszarem obwarowanym wieloma przepisami...

Przed wszystkim dotyczącymi bezpieczeństwa.

A.F.: Tak jest. Mamy ponad 50 lat doświadczeń w kontrolowaniu leków i staramy się, by na rynek trafiały tylko przebadane, o dowiedzionych w dłuższej perspektywie bezpieczeństwie i skuteczności. To jest dorobek i europejski, i światowy. W przypadku najnowocześniejszych technologii nielekowych nie mamy takiego dorobku, materiału, doświadczeń. One nie są w taki sposób i z taką dokładnością badane. I to jest kwestia zasadnicza, ponieważ bezpieczeństwo to obszar, który był dobrze kontrolowany – w kwestii kwalifikowania leków, ich dopuszczania, oceniania i finansowania ze środków publicznych. Technologie lekowe, o których rozmawiamy, nie są w ten sposób oceniane, w związku z czym regulator nie ma takiej pewności bezpieczeństwa ich stosowania i powtarzalności efektu jak w wypadku klasycznych leków. Wiemy oczywiście, że nie wszystkie leki działają na wszystkich pacjentów.

Mamy przecież lekooporne postaci różnych chorób.

R.J.: Ale to jest zbadane i to wiemy!

A.F.: Mamy parametr NNT (*number needed to treat*), a więc znamy liczbę pacjentów, którym musimy podać dany lek, żeby uzyskać określony efekt terapeutyczny u jednego. Nawet w przypadku banalnych leków przeciwbólowych ten parametr wcale nie wynosi 1. Wiemy, że tylko u jednego z trzech czy czterech pacjentów lek całkowicie znieśie ból i jeszcze trzeba odpowiednio dobrać dawkę. Mimo to w przypadku leków teren jest opanowany: mamy narzędzia pomiarowe, wiemy, jak to robić.

R.J.: Przepraszam, Arturze, ale w przypadku klasycznych leków również postęp diagnostyczny oraz wprowadzenie i upowszechnianie badań genetycznych często zmieniają sytuację. Jeśli mamy możliwość i określamy np. genotyp nowotworu, możemy również sprawdzić, czy zasadne jest dotychczasowe leczenie. Bo docieramy do źródła mechanizmu działania danej substancji. Rozpracowujemy komórkę, gen i możemy zweryfikować, czy dana substancja w tym konkretnym przypadku działa tak, jak do tej pory sądziliśmy. Powstają nowe narzędzia do oceny technologii. Ale

„Jeśli Fundusz Medyczny miałby finansować najnowsze technologie, musimy wiedzieć, co ma finansować. Dziś widać kierunki innowacji i należy powołać panel ekspercki”

oczywiście wciąż mówimy o technologiach lekowych. Mimo to wymienione przez Artura bezpieczeństwo długoterminowe, elementy jednolitości, homogeniczności danej substancji, koszt, który może być zmienny nawet w tej samej technologii u różnych pacjentów – to elementy, którymi posługiwaliśmy się do tej pory przy decyzjach refundacyjnych. A jeśli mamy coraz więcej możliwości diagnostyki genetycznej, molekularnej i jesteśmy w stanie zweryfikować optymalność wskazania dla istniejących substancji i na tej podstawie tworzyć nowe technologie dla konkretnego pacjenta, to czy wciąż mówimy o leku?

A.F.: Powstaje konglomerat leku i diagnostyki potrzebnej do tego, żeby lek był bardziej efektywny. Jedno rodzi drugie – pojawia się nowa potrzeba. Mamy leki skuteczne u osób z określonym genotypem, więc naturalnym krokiem jest ocena tego genotypu. Nie chcemy wydawać środków publicznych, których nigdy przecież nie jest za dużo, w sposób niecelowy, nieefektywny. Czyli powinniśmy już typować pacjentów do terapii. Podawać leki tym, u których mają prawo zadziałać. W ten sposób dochodzimy do terapii celowanej. Mapujemy genom pod kątem wykrycia układów mutacji najbardziej pasujących do danego leku i dobieramy lek do tego profilu.

R.J.: To są dostępne technologie, niektóre już nawet częściowo finansowane przez NFZ. A włączenie technologii precyzyjniejszego kwalifikowania, podejmowania decyzji o zastosowaniu dotychczasowych leków zmieni nasz pogląd na refundację. To tylko przykład wpływu nowoczesnych technologii na poglądy dotyczące refundacji. Mówimy zarówno o wpływie nauki na istniejące technologie, które nazywamy lekami i produktami leczniczymi, jak i o zupełnie nowych technologiach. Powstaje coś, co działa, daje efekt, ale wymyka się definicji. Trzeba stworzyć kryteria, od którego momentu mówimy, że to nie jest lek. A jeżeli to jest lek, jakie kryteria się zmieniają, jeśli chodzi o decyzję refundacyjną. Weźmy kryteria bezpieczeństwa. Niewiele o tym wiemy. Wiemy, że w krótkiej perspektywie to działa, że to strzał w dziesiątkę, rewelacyjna technologia, że chcemy ją jak najszybciej wprowadzić.

„Pamiętajmy, że finansowanie wyłącznie leków to już jest spore wyzwanie. A nadchodzą nowe technologie, w wypadku których decyzje o finansowaniu będą trudniejsze”



Fot. Archiwum własne

„Nie chcemy wydawać środków publicznych, których nigdy przecież nie jest za dużo, w sposób niecelowy, nieefektywny. Czyli powinniśmy już typować pacjentów do terapii. Podawać leki tym, u których mają prawo zadziałać”

Mówiąc o Zolgensmie – rodzice dzieci chorych na SMA nie będą czekać latami na wyniki badań i obserwacji. Chcą – co jest absolutnie zrozumiałe, aby terapia była dostępna natychmiast. Oczekują pomocy.

R.J.: Oczywiście. A okres obserwacji mamy krótki. Kolejna sprawa to kryteria cenowe, kosztowe. Jak je

przeliczać? To jest totalne przededefiniowanie podejścia do refundacji.

A.F.: Jesteśmy poza granicą kategorii leków. Bywa to naciągane, naginane, ale oczywiste jest, że te nowinki nie przystają do reguł masowej, systemowej refundacji. Albo trzeba dla nich wymyślać nowe reguły refundacyjne, albo pomyśleć o nich nie jak o technologiach lekowych. Stworzyć oddzielną kategorię. Tyle że wtedy też się okaże, że nie mamy jasnej i klarownej ścieżki, jak je oceniać i włączać do systemu refundacyjnego. W którym miejscu i z czego finansować?

Czy na świecie ktoś sobie już z tym poradził? Mamy jakieś wzorce?

R.J.: Wszyscy mają z tym kłopot. Zostańmy przy cenowym kryterium refundacji – cenie. Co zrobić, jeśli jest zmienna i nie zależy od stężenia substancji? Bo do tej pory sprawa była jasna: tabletkę 5 mg kosztuje 5 zł, a 10 mg kosztuje 8 zł – i to jest nadal cena. A w przypadku nowoczesnych technologii często mówimy o koszcie. Wspominana Zolgensma ma cenę, bo ją wbito w kategorię lek, jednak producent wyraźnie stwierdza, że ta cena, koszt, zawsze pojawia się dopiero w momencie, kiedy rusza produkcja dla konkretnego dziecka. A CAR-T? Jak mówić o cenie? Druga sprawa to porównywanie nowoczesnych technologii z innymi lekami. Kolejna arcyważna sprawa – próg kosztowy. Generalnie progowa wartość wydatków na lek to trzy razy PKB *per capita* za QALY. Ale jak możemy to ocenić, jeśli mówimy o potrzebującym dziecku, któremu naprawiamy gen?

A.F.: Jest wiele problemów, bo o ile w tej chwili pod względem formalnym potrafię sobie wyobrazić wniosek do ministra zdrowia o zakwalifikowanie terapii genowej Zolgensmą jako świadczenia gwarantowanego i objęcie go refundacją, o tyle problemem jest źródło finansowania.

W Faktach TVN rzecznik resortu zdrowia Wojciech Andrusiewicz stwierdził, że ministerstwo nie wyklucza procesu refundacji.

A.F.: Zolgensma ma rejestrację, dlatego powinna wejść na ścieżkę decyzji refundacyjnej, ale to wymaga rozstrzygnięcia systemowego. Jeśli technologie zarejestrowane jako lekowe kierujemy na ścieżkę ustawy refundacyjnej, to mamy do czynienia z progiem opłacalności kosztowej, który oczywiście nie jest dla ministra wiążącym ograniczeniem zamykającym temat. Jeśli coś będzie kosztowało więcej za QALY niż 150 tys. zł, to może być refundowane – no, ale jeśli ta technologia kosztuje 9 mln zł, jak minister ma się do tego odnieść, skoro dla całego systemu przyjmujemy próg opłacalności kosztowej mniej więcej 150 tys. zł? CAR-T kosztuje 1,5 mln zł. Wiemy, że to nie są technologie, które będą teraz powszechnie stosowane, ale jeśli

wskazania dla CAR-T z chłoniaków i białaczek zostaną rozszerzone? Powstaje pytanie, ile system jest w stanie udźwignąć. Policzmy tylko Zolgensmę: 50 dzieci pomnożone przez 9 mln zł kosztu terapii każdego daje nam już 450 mln zł!

R.J.: To jest problem ogólnoswiatowy. Zadajemy otwarte pytanie: czy obecne definicje, skutkujące zasadami refundacji, rejestracji, dopuszczania do użycia, są wystarczające, by państwa mogły się nie tylko racjonalnie, ale i bezpiecznie dla pacjentów mierzyć z decyzjami o refundacji najnowocześniejszych technologii? Pamiętajmy, że finansowanie z funduszy publicznych wyłącznie leków to już jest spore wyzwanie. A nadchodzą nowe technologie, w których wypadku decyzje o finansowaniu ze środków publicznych będą jeszcze trudniejsze. Chodzi również o sprawę dopuszczania ich stosowania, pojawiają się kwestie etyczne. Zdefiniowanie nowych technologii i przededefiniowanie kryteriów finansowania ich ze środków publicznych to dziś ogromne wyzwanie dla całego świata.

Zostańmy chwilę przy kwestiach etycznych.

R.J.: Kroczymy w stronę modyfikowania genów i pojawiają się opinie etyków, że to jest wyręczenie Pana Boga. Nie wiemy, jak to się skończy.

A.F.: Jeden z rodziców ma mutację, która może powodować wystąpienie choroby u dziecka...

R.J.: To dlaczego nie modyfikować tej mutacji u rodzica? I czy finansować ją ze środków publicznych? A jeśli tak, to u którego rodzica? Czy u tego, u którego prawdopodobieństwo przeniesienia choroby wynosi 50, 70 czy 100 proc.? Mówimy wciąż głównie o onkologii, dlatego że zbiera największe żniwo, ale jak zaznaczyłem na początku tej rozmowy, genetyka to jest przyszłość medycyny. Wiem o dziecku w Polsce, które ma bardzo rzadką chorobę genetyczną – błąd mitochondrialny. Badania w tym zakresie są zaawansowane, ale nie mamy jeszcze technologii, żeby te dzieci ratować. One po 4, 5 miesiącach życia umierają. Przy dzisiejszym pędzie nauki w kierunku genetyki już niedługo nie będą musiały być skazane na śmierć. Tyle że powinniśmy już dziś szukać możliwości zdefiniowania nowych odkryć nauki, by jutro wiedzieć, jak je umiejscowić, jak ocenić, jak sfinansować.

A.F.: Temat jest bardzo szeroki i nie dotyczy tylko genetyki. Weźmy wyroby medyczne, np. bioniczną protezę, która młodemu człowiekowi możliwie najlepiej zastępuje funkcję ręki. Od lat mamy w polskim systemie problem z jej finansowaniem. Smutna prawda jest taka, że tylko najprostszą, drewnianą protezę dostanie w Polsce każdy człowiek po amputacji, bo na jej sfinansowanie wystarcza pieniądze. Ale proteza za 150 tys. zł to już wyzwanie dla systemu.

R.J.: Komu należałoby refundować protezę za 150 tys. zł? Czy rewelacyjnemu chirurgowi, który przed amputacją

„Smutna prawda jest taka, że tylko najprostszą, drewnianą protezę dostanie w Polsce każdy człowiek po amputacji, bo na jej sfinansowanie wystarcza pieniądze. Ale proteza za 150 tys. zł to już wyzwanie dla systemu”

uratował tysiące ludzkich istnień przy stole operacyjnym? Zakładając, że ta technologia jest na tyle zaawansowana, że idealnie zastąpi amputowaną rękę i pozwoli mu z sukcesami kontynuować pracę. Oczywiście troszkę sobie dworuję, ale zobaczymy, że dla tego typu osiągnięć nauki nie mamy definicji, a ona jest potrzebna, by ustalić kryteria finansowania. Weźmy Da Vinci. Ktoś konstruuje robota wykonującego zabiegi mikrochirurgiczne. Człowiek jest tylko przy komputerze – robot wykonuje lepiej to, co mógłby zrobić specjalista. Jak to zmieścić we wspomnianych grupach JGP? Musimy mieć na to nazwę, formułę. Mówimy o szeroko pojętej innowacji w medycynie. Pamiętajmy, jak próbowano szufladkować kolejną innowację. Mówiono: to jest to samo co radioterapia, ale dziesięć razy droższa.

Protonoterapia!

R.J.: Tak jest. Albo kiedy pojawił się PET. Zachwył, entuzjazm. W wielu miejscach wykonywano to badanie, wydano dużo pieniędzy, a po czasie się okazało, że to jest dobra technologia, ale tylko w określonych przypadkach. Znowu – nie potrafiliśmy tego odpowiednio zdefiniować, określić sposobu finansowania i obserwowania oraz modyfikowania umiejscowienia w systemie. To dotyczy i PET, i wszystkich innych nowinek.

Sednem tej rozmowy są oczywiście pieniądze. Czy skoro mówimy o nowych technologiach, ich finansowanie nie mogłoby wziąć na siebie – chociaż w części – Ministerstwo Nauki i Szkolnictwa Wyższego?

R.J.: Nie, bo to jest leczenie!

A.F.: To nie wynalazczość, tylko działania terapeutyczne. Nie zagłębiając się w kwestie definicji leku, potrafię sobie wyobrazić wniosek o uznanie każdej nowości za świadczenie gwarantowane, ale nawet jeśli produkt trafiłby do koszyka świadczeń gwarantowanych, to na finansowanie na takim poziomie nie jesteśmy przygo-

„ Mówi się, że zwiększenie finansowania ochrony zdrowia to trudna decyzja dla polityków, bo ludzie tego nie poprą. Na pewno? Zobaczmy, jak ogromne pieniądze co roku Polacy wpłacają na wszelkiego rodzaju internetowe zbiórki na drogie leczenie ”

towani. Kluczowe pytanie dotyczy sposobu i źródła finansowania. Z jakich pieniędzy za to płacić? Czy to powinno się mieścić w budżecie ogólnym na leki? Zostając przy dzieciach z SMA. Załóżmy, że na sfinansowanie terapii 50 dzieci system stać. Każde leczenie po 9 mln zł daje 450 mln zł. Ale gdy technologia tego typu się upowszechni i będzie nagle tysiąc potrzebujących osób, to już się zrobi 9 mld zł! Takiego obciążenia finansowego bez modyfikacji system nie wytrzyma. Oczywiście dokonujemy dużych uproszczeń, bo jeżeli technologii będą częściej stosowane, pewnie też będą tańsze, ale faktem jest, że możemy się spodziewać wzrostu liczby pacjentów. To są dylematy, od których nie uciekniemy. Widmo takiego problemu pojawiło się w 2014 r., kiedy wprowadzono technologię leczenia WZW-C. Koszt terapii dla jednej osoby wynosił 600 tys. zł. Terapia krótka, prowadząca do wyleczenia. Wspaniała sprawa. Ale jeśli mieliśmy ponad 100 tys. chorych, to oznaczało koszt 60 mld zł. W naszym systemie po prostu takich pieniędzy nie ma.

Jak to się skończyło?

A.F.: Nie kupiliśmy tej technologii, co wzbudziło zdziwienie w Europie. Zrobiliśmy to pół roku później, gdy kosztowała nie 600, ale 60 tys. zł. Ten pierwotny efekt finansowy był po prostu porażający. My tego nie zrefundowaliśmy, ale Niemcy, Duńczycy i Francuzi – tak. Parlament francuski specjalnie uchwalił wówczas zwiększenie wydatków na leki, mimo że kilka miesięcy wcześniej chciano oszczędzać w systemie refundacyjnym.

Już mówiliśmy, że z wyzwaniem mierzą się teraz systemy refundacyjne na całym świecie.

A.F.: To są drogie technologie, które mogą być stosowane na coraz większą skalę i będzie oczekiwanie społeczne, że tak właśnie się stanie. W przypadku terapii

WZW-C obrazują tylko efekt finansowy tego zjawiska. Przecież nasz system w tamtych latach to było ok. 80 mld zł na wszystko! Gdybyśmy od razu chcieli kupić nową technologię, prawie wszystkie pieniądze musielibyśmy wydać na leczenie WZW-C. Wszystkie systemy mają ograniczenia finansowe, a rozwój technologii lekowych to dla nich nowe wyzwania. Jeśli nie będziemy nic robili, nie przygotujemy się na zmiany, pacjenci po prostu nie będą mieli do nich dostępu. Taka jest stawka tej gry. Trzeba sobie już teraz uczciwie odpowiedzieć na pytania, co zamierzamy z naszym systemem zrobić, w którą stronę pójdziemy, czy zwiększamy obciążenie składkowe – czego politycy nie lubią.

Zwłaszcza w kryzysie...

A.F.: A to jest głupotą wielką! Utrzymywanie tak niskiego zasilania systemu jak u nas jest po prostu głupotą!

R.J.: Nad udziałem obywateli w budżecie ochrony zdrowia trzeba się poważnie zastanowić – wszystko jedno, czy zdecydujemy się na zasilanie składkowe czy podatkowe. Nie ma znaczenia, czy nasz system byłby finansowany z budżetu państwa – to przecież są pieniądze z podatków.

Jałowa dyskusja o zwiększeniu finansowania systemu toczy się od lat.

A.F.: I co z niej wynika? Nic.

Panowie przyznają jednak, że ze względu na pandemię i groźne wieści dotyczące kryzysu politycy mogą się teraz szczególnie bać tego tematu.

R.J.: Politycy zawsze są w sytuacji niezbyt dogodnej do podejmowania takich decyzji. Dziś trzeba też rozważyć kwestię zwiększania świadomości społecznej dotyczącej ubezpieczeń dodatkowych. Jeżeli decyduje się nie rzucić palenia, muszą się liczyć z tym, że mogą zachorować na choroby płuc z nowotworem włącznie, prawda? A zatem może powinienem na tę okoliczność dodatkowo się asekurować? A ta dodatkowa asekuracja powinna być nadzorowana przez państwo, żeby nie wyzyskiwała pacjenta, ale równocześnie zabezpieczyła dodatkowy koszt jego leczenia. Trzeba też myśleć o tym – i tu wracam do zdefiniowania nowych technologii, czy intencją systemu będzie kupowanie szczepionki na koronawirusa za 65 mld zł, czy finansowanie leczenia jakiejś populacji. Może trzeba poszukać rozwiązań, w których państwo będzie finansowało lub współfinansowało to leczenie i zwrot nakładów, które ponosi producent, będzie wprost proporcjonalny do oszczędności, jakie poczyni płatnik? Bo dając 100 tys. zł na technologię dla pacjenta, spodziewamy się, że w perspektywie iluś lat ten pacjent nie wygeneruje dodatkowych kosztów, prawda? Jeśli tak, to

rozumiem, że pieniądze na tę technologię mogą być rozłożone na kilka lat. Może to jest kierunek rozwoju dla nowoczesnych technologii? Patrzyłbym na naszą dyskusję nie w kategorii tego, czy mówimy o bardziej socjalnym czy liberalnym ustroju, ale ponadustrojowo. Nieleczenie, niefinansowanie niektórych chorób wpływa na stan zdrowia populacji. Zobaczcie, jak w Kenii sobie radzą z HIV – państwo nie tylko w 100 proc. finansuje leki na HIV, ale opłaca również wyżywienie i środki czystości dla chorych. A przecież nie są to świadczenia zdrowotne jako takie, prawda? Kenijczyk, który ma HIV, co tydzień przychodzi po pieniądze na leczenie i na życie.

Bo to jest kalkulacja biorąca pod uwagę bezpieczeństwo społeczeństwa.

R.J.: Dokładnie tak. I może definiując nowe technologie, należałoby myśleć właśnie o opłacalności zdrowotności w perspektywie wielu lat. Może część tych technologii można „przerzucić” do systemu równoległego, do systemu ubezpieczeń dodatkowych? Nie wiem, nie rozstrzygam, ale o tym trzeba rozmawiać. Dyskutujemy o zwiększeniu pieniędzy w systemie, o podniesieniu współodpowiedzialności pacjentów za leczenie i profilaktykę.

A jeśli mówimy o zwiększeniu pieniędzy w systemie, to jaki wzrost mają panowie na myśli?

R.J.: Nie ma takich pieniędzy, których system by nie wchłonął.

A.F.: Prawda! Dziś funkcjonujemy na 9 proc. składki zdrowotnej, przeciętna w Europie to 15 proc. Moglibyśmy podwoić pieniądze w systemie i wcale nie byłoby gwarancji, że bylibyśmy w stanie sfinansować wszystko. Nasz system ma opóźnienia i zaległości. Chociażby w sprawie pensji personelu. Policzyliśmy z Rafałem, że jeżeli chcielibyśmy wyrównać zaległości i zrobić porządne regulacje płacowe w systemie ochrony zdrowia, kosztowałyby to 40 mld zł. Pamiętajmy, że ten system ma długi szpitali wynoszące 14 mld zł. Czyli już mamy razem 54 mld zł. W związku z tym nawet gdybyśmy zwiększyli składkę do średniej europejskiej, na zwiększenie dostępności świadczeń zostałoby 40 mld zł. Jest co liczyć i o czym dyskutować. Powinniśmy wymagać od polityków, by tę dyskusję podjęli, bo inaczej nie będzie nas stać na najnowsze technologie. Powinniśmy albo ustalić perspektywę rozwoju systemu, albo ograniczenia dostępności świadczeń dla pacjentów. Trzeciej drogi nie ma.

Stanowczo!

A.F.: Z pustego i Salomon nie naleje, a prócz miłości rodzicielskiej nic nie ma na tym świecie za darmo. Proszę wybaczyć ironię, ale to oczywiście, że za te tech-

nologie trzeba będzie zapłacić. To jest kwestia odpowiedzialności i politycznej decyzji. Zastanówmy się, jak płacić. Czy możemy wziąć leczenie białaczki w leasing? Mówię absolutnie serio. Skoro można mieć leasing na samochód, to dlaczego nie można na leczenie białaczki? Biorąc trzy razy PKB *per capita* za QALY na poziomie 150 tys. zł, to jest próg mniej więcej kosztu leasingowanego samochodu.

Państwo opłacałoby terapię w ratach?

A.F.: Tak. Jest przedłużenie życia – płacimy ratę leasingu, jeżeli pacjent umiera – przestajemy płacić, a jeśli zostanie wyleczony – wpłacamy ostatnią ratę. W ten sposób można finansować najnowocześniejsze technologie. Pilnie potrzebujemy dyskusji na ten temat. Musimy zwiększyć finansowanie systemu i wprowadzić takie mechanizmy, które być może pozwolą rozłożyć koszty terapii w czasie i powiązać je z efektem terapeutycznym.

R.J.: Zwrócę uwagę na jeszcze jedną rzecz. Mówi się, że zwiększenie finansowania ochrony zdrowia to trudna decyzja dla polityków, bo ludzie tego nie poprą. Na pewno? Zobaczmy, jak ogromne pieniądze co roku Polacy wpłacają na wszelkiego rodzaju internetowe zbiórki na drogie leczenie. Nie mówimy teraz o szamańskich ziołach, ale m.in. o zbiorcach na terapię dzieci z SMA. To są dziesiątki, jeśli nie setki milionów złotych. Czy pacjenci lub ich rodzice zapłaciliby wyższą składkę, żeby nie trzeba było robić tych zbiórek? Czy setki tysięcy ludzi wpłaciłyby ubezpieczycielowi te same pieniądze, żeby były do dyspozycji i żeby choroby nie musieli liczyć na zbiórki? Oczywiście u podstaw tego leży jedna najważniejsza sprawa – zaufanie obywateli do ubezpieczyciela, które wynika z historii, racjonalności jego działania, ale o tym nie mówimy. Popatrzcie – 50 dzieci razy koszt w wysokości 9 mln zł to 450 mln zł zebranych przez ludzi. Naród zapłacił o 450 mln zł większą składkę! A takich zbiórek na różne leki mamy mnóstwo. To oznacza, że możliwości są. A dlaczego nie są wykorzystywane? Dlaczego nikt nie ma odwagi powiedzieć, że trzeba wyłożyć więcej? Dlatego, że nie ma zaufania do publicznego płatnika. I dlatego, że często ludzie zadają sobie pytanie o celowość. Co ja kupuję? Za co ja płacę? I celowość określa zdefiniowanie tego, co będzie finansowane z pieniędzy publicznych, oraz tego, co nie może być z nich finansowane, gdyż system tego nie udźwignie, ale może zostać opłacone na przykład z dodatkowego ubezpieczenia. Oczywiście system dodatkowych ubezpieczeń powinien być pod względem prawnym i organizacyjnym nadzorowany przez państwo.

A.F.: Przypomnijmy sobie, jak to było z programami lekowymi. Wprowadzono je po to, by w systemie można było sfinansować nowe, jednostkowo kosztowne leki. Z założenia te leki później miały trafiać do zwykłej

” W przypadku najnowocześniejszych technologii nielekowych nie mamy takiego dorobku, materiału, doświadczeń. One nie są w taki sposób i z taką dokładnością badane. I to jest kwestia zasadnicza, ponieważ bezpieczeństwo to obszar, który był dobrze kontrolowany – w kwestii kwalifikowania leków, ich dopuszczania, oceniania i finansowania ze środków publicznych ”

refundacji. I teraz znowu mamy nowe technologie medyczne wymagające wprowadzenia do systemu, objęcia finansowaniem i monitoringiem.

Jakie są panów przewidywania – mówicie, że coraz więcej tych nowości będzie się pojawiało w medycynie. W jakim tempie będzie ich przybywać?

A.F.: Spodziewam się, że w logarytmicznym. Jeżeli zostaną przełamane pewne bariery – sama koncepcja terapii genowej przecież nie jest nowa, to są lata 70., ale teraz mamy narzędzia: poznaliśmy genom, nauczyliśmy się używać wirusów wektorowych do jego modyfikowania, potrafimy sztucznie składać kawałki genomu w pożądaną sekwencję, potrafimy to przetransmitować. Biorąc pod uwagę liczbę możliwych zastosowań, myślę, że nowych technologii będzie po prostu wysyp.

R.J.: Też tak myślę. Skok, przełomowość będzie tak duża, a obszary, których to będzie dotyczyło, tak wrażliwe, że pojawi się ogromna presja społeczna, by nowe technologie jak najszybciej wdrażać. Konieczne jest stworzenie odrębnego nurtu finansowania innowacji oraz współudziału w obserwowaniu ich efektów. To będzie prelude, przedpokój dla tych technologii, które się będą pojawiały i następnie wejdą na stałe do systemu.

Dobrze byłoby przygotować się na to teraz, a nie za kilka lat udawać zaskoczonych.

R.J.: Zamiast tego nasz kraj, którego nie stać na wszystko, zamyka oczy na te innowacje.

A.F.: W 2018 r. podczas Forum Ekonomicznego w Krynicy był panel poświęcony technologii CAR-T. Dwa lata temu. A ta technologia do dziś nie ma systemowego finansowania. Dlaczego, skoro już wtedy było wiadomo, że należy ten sposób wymyślić? Mówiłem o tym. Dwa lata stracone. Dziś wiemy, że obszarem, w którym pojawi się najwięcej nowych technologii, będą prawdopodobnie choroby rzadkie i onkologia. Wynalazczość siłą rzeczy jest ukierunkowana na nie-

zaspokojone potrzeby zdrowotne, a tam potrzeby są największe. Największe nadzieje i największy zysk.

I najwięcej do stracenia wizerunkowo, jeśli jest się ministrem zdrowia i nie gwarantuje chorym leczenia.

R.J.: Jestem przekonany, że każda ekipa w Ministerstwie Zdrowia ma z tym kłopot. I robi, co może. Tyle że gdyby przyjęto nasze postulaty co do zdefiniowania innowacji, można by zrobić więcej. W ostatnich latach, pracując jako doradca, zauważyłem, że ministrowie używają różnych narzędzi, jednak przy dzisiejszych kryteriach finansowania stają zawsze przed koniecznością wyboru. I jeśli nie ma oddzielnych kryteriów zdefiniowanych dla innowacji, trudniej ministrowi będzie je finansować. Na świecie funkcjonują zbiórki na drogie leki i kredyty na leczenie. Nigdzie pacjent nie dostaje wszystkiego, a postęp i ceny najnowocześniejszych technologii powinny skłaniać nas, by to definiować. Tylko tak będziemy mogli sobie z tym poradzić. Inaczej za chwilę one po prostu dla polskich pacjentów staną się niedostępne.

A może Fundusz Medyczny jest odpowiedzią na to wyzwanie? On został przecież skrojony pod onkologię i choroby rzadkie.

R.J.: Dobrze, ale jeśli Fundusz Medyczny miałby finansować najnowsze technologie, musimy wiedzieć, co ma finansować. Dziś widać kierunki innowacji i jest potrzeba powołania panelu eksperckiego, autoritetów z różnych dziedzin medycyny, w których te innowacje postępują. To dałoby możliwość opracowania siatki obszarów, określenia, jak należy nazwać nowości i co finansować, a co nie. I wówczas stworzenia również alternatywy współfinansowania.

A.F.: Postulujemy, by ktoś zaczął myśleć o rozwoju systemu. Pojawiają się nowe wyzwania i trzeba się zastanowić, jak możemy społeczeństwu udostępnić nowe opcje terapeutyczne. Można nic nie robić, ale wtedy ryzykujemy, że dostęp społeczeństwa do nowoczesnych świadczeń będzie iluzją.

Rozmawiał Krystian Lurka