

Włoski sposób na dostęp do drogich terapii o najwyższej innowacyjności



Fot. iStockphoto.com

Zapewnienie dostępu do kosztownych, innowacyjnych terapii jest wyzwaniem również dla państw o wysokim PKB. Dotyczy to szczególnie chorób rzadkich, takich jak rdzeniowy zanik mięśni (*spinal muscular atrophy – SMA*). Jak z tym problemem radzą sobie Włosi? Wyjaśnia prof. Claudio Jommi, dyrektor Studiów Zarządzania Międzynarodowymi Systemami Ochrony Zdrowia i Farmakoekonomiki na Uniwersytecie Handlowym im. L. Bocconiego.

Rdzeniowy zanik mięśni to rzadka choroba uwarunkowana genetycznie. Jej objawy najczęściej pojawiają się już w pierwszym roku życia i prowadzą do poważnej niepełnosprawności. Niedawno pojawił się przełom w leczeniu SMA w postaci pierwszego leku modyfikującego przebieg choroby. Lek ten podaje się przewlekle, co cztery miesiące, w postaci wlewu do kanału kręgowego. W Polsce jest on dostępny dla wszystkich osób z SMA od stycznia 2019 r. W maju 2020 r. nastąpił kolejny przełom – w Unii Europejskiej została zarejestrowana terapia genowa, którą wystarczy podać raz w życiu. Leczenie polega na dostarczeniu do neuronów za pomocą wektora wirusowego informacji genetycznej, która pozwala na syntetyzowanie brakującego białka i rozwinięcie przez pacjenta zdrowego fenotypu. Terapia genowa jest przeznaczona dla najmłodszych chorych (w pierwszym lub drugim miesiącu życia), u których nie pojawiły się jeszcze objawy. Leczenie to daje szansę na normalne życie, jednak problemem

jest jego bardzo wysoka cena. Terapia genowa SMA jest dotychczas finansowana ze środków publicznych w 9 krajach w Europie na różnych zasadach. W Polsce istnieje szansa, że tego typu innowacyjne terapie stosowane w chorobach rzadkich będą dostępne dzięki Funduszowi Medycznemu. Jego zasadniczym celem jest bowiem wsparcie działań zmierzających do poprawy zdrowia i jakości życia pacjentów w Polsce przez zapewnienie dodatkowych źródeł finansowania, m.in. na leczenie chorób cywilizacyjnych, w tym nowotworowych i rzadkich.

Nadzieja w Funduszu

Ustawa o Funduszu Medycznym weszła w życie w listopadzie 2020 r. i wprowadziła nową ścieżkę dostępu do technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności i wysokiej wartości klinicznej. W ramach tej ustawy Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) jest zobowiązana do stałego

identyfikowania niezaspokojonych potrzeb medycznych oraz skutecznych leków w ich zakresie. Raz w roku sporządza wykazy technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej oraz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, które przekazuje ministrowi zdrowia. Następnie minister prowadzi negocjacje finansowe z producentami leków i podejmuje decyzje co do refundacji ze środków Funduszu Medycznego.

Przy tworzeniu przepisów ustawy o Funduszu Medycznym w Polsce wzorowano się na systemach istniejących w innych krajach europejskich, m.in. we Włoszech, gdzie terapie o najwyższym statusie innowacyjności są finansowane ze specjalnego funduszu publicznego. Dotyczy to również tzw. produktów leczniczych terapii zaawansowanej (*advanced therapy medicinal products* – ATMP), przygotowywanych najczęściej dla konkretnego pacjenta. O tym, jak funkcjonuje ten fundusz i na jakich zasadach terapie są kwalifikowane do refundacji, mówił prof. Claudio Jommi, ekonomista, dyrektor Studiów Zarządzania Międzynarodowymi Systemami Ochrony Zdrowia oraz Farmakoekonomiki Uniwersytetu Bocconiego we Włoszech, podczas warsztatów *Wdrażanie terapii genowej w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni (SMA) – doświadczenia międzynarodowe*, zorganizowanych 11 lutego 2021 r. w Warszawie.

Przykład z Włoch

– Kiedy produkt leczniczy, włączając w to produkty z kategorii ATMP, zostaje zatwierdzony do obrotu na poziomie europejskim, jego producent składa do Włoskiej Agencji Leków pełną dokumentację wraz z wnioskiem dotyczącym refundacji. Wniosek ten jest oceniany przez dwa komitety: naukowy, który zajmuje się naukową częścią dossier, oraz ds. ceny i refundacji, który prowadzi negocjacje finansowe z producentem. W dokumentacji składanej przez firmę do Włoskiej Agencji Leków znajduje się m.in. wniosek o ocenę statusu innowacyjności. Co ważne, wniosek taki składa się dla każdego pojedynczego wskazania, co oznacza, że produkt może być innowacyjny dla jednego wskazania i nie być innowacyjny dla innego. Po rozpatrzeniu wniosku Agencja przydziela produktowi w konkretnym wskazaniu jeden z trzech możliwych statusów: produkt o wysokim statusie innowacyjności (status ten trwa maksymalnie 3 lata), produkt potencjalnie innowacyjny (dowody na jego innowacyjność są obiecujące, ale niewystarczające, żeby produkt uznać za wysoce innowacyjny; status ten może trwać maksymalnie 1,5 roku) lub produkt nieinnowacyjny. Produkty, które uzyskują wysoki status innowacyjności, są natychmiast kierowane na rynki regionalne i finansowane ze specjalnego funduszu publicznego przeznaczonego na ten cel – relacjonował prof. Claudio Jommi.

Trzy kryteria innowacyjności

Ekspert omówił też wprowadzone w 2017 r. trzy kryteria stosowane przez Włochów w ocenie innowacyjności: istnienie w społeczeństwie niezaspokojonej potrzeby medycznej, terapeutyczną wartość dodaną produktu leczniczego oraz siłę dowodów naukowych.



Prof. Claudio Jommi:
Leki sieroce stosowane w chorobach rzadkich mogą uzyskać

wysoki status innowacyjności wyłącznie na podstawie istnienia niezaspokojonej potrzeby medycznej oraz dużej dodanej wartości terapeutycznej

– W ocenie potrzeb terapeutycznych bierzemy pod uwagę, czy na rynku istnieją dostępne alternatywne terapie. W ocenie terapeutycznej wartości dodanej najważniejsze są argumenty kliniczne, natomiast jakość dowodów jest ustalana na podstawie systemu stopniowania, uwzględniającego m.in. to, której fazy badanie kliniczne zostało przeprowadzone, z jakim produktem była porównywana nowa terapia i jakie były punkty końcowe badania. W przypadku leków sierocych stosowanych w chorobach rzadkich, które mogą być zatwierdzone do obrotu już po zakończonych badaniach II fazy, Włoska Agencja Leków wykazuje dużą tolerancję co do tego ostatniego kryterium. Leki te mogą uzyskać wysoki status innowacyjności wyłącznie na podstawie dwóch pierwszych kryteriów, czyli istnienia niezaspokojonej potrzeby medycznej oraz dużej dodanej wartości terapeutycznej – wyjaśniał prof. Jommi.

Od początku istnienia we Włoszech omawianego systemu do lutego 2021 r. złożono 109 wniosków o ocenę innowacyjności produktów leczniczych. Wysoki status innowacyjności uzyskała jedna trzecia z tych terapii, jedna trzecia została uznana za potencjalnie innowacyjne i jedna trzecia – za nieinnowacyjne.

Ekspert zwrócił uwagę, że we Włoszech przy negocjacjach cenowych i refundacyjnych między płatnikiem a producentem innowacyjnego leku zwykle zawierane są umowy o zastosowaniu różnego rodzaju mechanizmów dzielenia ryzyka finansowego. Takie negocjacje toczą się obecnie dla terapii genowej SMA, która już uzyskała wysoki status innowacyjności, dzięki czemu jest finansowana z funduszu publicznego. Najważniejszym czynnikiem, który zadecydował o przyznaniu terapii genowej SMA przez Włoską Agencję Leków statusu innowacyjności, była wysoka dodana wartość terapeutyczna.

– Nasi pacjenci mają już dostęp do tego leczenia, choć wciąż toczą się negocjacje w sprawie ceny. Spodziewamy się podpisania umów dotyczących dzielenia ryzyka podobnych do tych, jakie zostały zawarte pomiędzy firmami farmaceutycznymi a Włoską Agencją Leków w przypadku innych terapii genowych – podsumował prof. Claudio Jommi.

Marta Koton-Czarnecka