

Nowoczesne terapie genowe i komórkowe są przyszłością medycyny



KOMENTARZ

prof. Marcina Czecha

prezesa Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego, kierownika Zakładu Farmakoekonomiki w Instytucie Matki i Dziecka w Warszawie, byłego wiceministra zdrowia

Polski i włoski system ochrony zdrowia różnią się strukturą (polski jest scentralizowany, włoski rozproszony i regionalny), jednak stoją przed podobnymi wyzwaniami i możemy wskazać wiele podobieństw, jeśli chodzi o podejmowanie decyzji refundacyjnych. Wyzwaniem jest coraz większa liczba kosztownych, nowoczesnych terapii – zarówno klasycznych, chemicznych i biologicznych, jak i komórkowych oraz genowych, nazywanych terapiami zaawansowanymi.

We Włoszech nie istnieje odrębna ścieżka refundacyjna dla terapii zaawansowanych. Ta sama agencja ocenia innowacyjność technologii klasycznych i zaawansowanych, a także prowadzi ustalenia z producentami co do ceny i podejmuje ostateczne decyzje refundacyjne. Przy ocenie innowacyjności pod uwagę brane są trzy kryteria: niezaspokojona potrzeba zdrowotna, dodana wartość terapeutyczna oraz siła dostępnych dowodów.

W Polsce oprócz dotychczasowego systemu refundacyjnego mamy działający od tego roku Fundusz Medyczny, którego celem jest m.in. finansowanie technologii lekowych o wysokim stopniu innowacyjności. 26 lutego upływa termin zaprezentowania przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) pierwszego wykazu takich technologii, które będą mogły zostać sfinansowane w ramach Funduszu Medycznego. Następnie minister zdrowia wystąpi o złożenie wniosków refundacyjnych do producentów leków, które znajdą się w wykazie. Inaczej niż we Włoszech, mamy więc rozdział kompetencji: AOTMiT dokonuje oceny innowacyjności terapii, a minister zdrowia odpowiada za negocjacje cenowe z firmami farmaceutycznymi i jest ostatecznym decydem w sprawie refundacji.

Opracowując wykaz technologii lekowych o wysokim stopniu innowacyjności, eksperci AOTMiT biorą pod uwagę pięć przesłanek: siłę interwencji terapeutycznej, jakość dostępnych danych naukowych, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, wielkość populacji docelowej oraz priorytety zdrowotne państwa. Przesłanki te w dużej mierze pokrywają się z kryteriami włoskimi. W Polsce nie ma wprost kryterium dodanej wartości terapeutycznej, która odnosi się do tzw. komparatora, czyli terapii, która już jest stosowana w danym wskazaniu czy danej chorobie, lub do braku takiej terapii. Kryterium to jest jednak niejako zawarte w pozostałych wymogach.

Co ważne, finansowanie terapii w ramach Funduszu Medycznego zakłada konieczność monitorowania jej skuteczności w warunkach realnej praktyki klinicznej. Dodatkowym zadaniem AOTMiT będzie więc publikowanie raportów dotyczących efektywności technologii lekowych finansowanych ze środków publicznych na podstawie istniejących rejestrów. Jest to o tyle istotne, że funkcjonowanie Funduszu Medycznego zakłada stosowanie na szeroką skalę instrumentów dzielenia ryzyka zarówno typu finansowego, jak i opartych na efektach zdrowotnych. Stosowanie instrumentów dzielenia ryzyka upodabnia nasz system do systemu włoskiego.

Reasumując – polski system ochrony zdrowia coraz bardziej przypomina dojrzałe systemy europejskie. Pojawiła się nowa ścieżka oceny terapii zaawansowanych i miejmy nadzieję, że również rosnące źródło ich finansowania. Cieszę się, że Polska wychodzi naprzeciw potrzebom pacjentów, i liczę na to, że ta nowa ścieżka będzie działała sprawnie i będzie dawała możliwość także przedrejestracyjnego dostępu do nowoczesnych terapii, podobnie jak we Włoszech.

Fundusz Medyczny to szansa na finansowanie terapii genowych, np. terapii genowej rdzeniowego zaniku mięśni (*spinal muscular atrophy* – SMA). Według Włochów spełnia ona kryteria technologii o wysokim stopniu innowacyjności, jeśli chodzi o siłę interwencji medycznej czy potrzebę zdrowotną. Populacja chorych, która może być nią objęta, jest niewielka – wszyscy chorzy na SMA w Polsce to 800–1000 osób, ale grupa docelowa dla terapii genowej jest mniejsza, bo jest to leczenie limitowane ze względu na masę ciała, a więc wyłącznie dla najmłodszych pacjentów z nowo rozpoznany SMA. Warto dodać, że niedawno w Polsce zatwierdzono program badań przesiewowych noworodków w kierunku SMA, który pozwala bardzo wcześnie zidentyfikować dzieci obciążone tą chorobą. Odpowiednią opcją terapeutyczną dla nich może być terapia genowa. Ponadto SMA jest chorobą rzadką, a choroby rzadkie znajdują się wśród priorytetów zdrowotnych państwa. Trzeba pamiętać, że SMA to nie jedyna choroba, którą będzie można leczyć za pomocą terapii zaawansowanej. Terapii genowych i komórkowych, czyli takich, które pozwalają naprawiać nasze genomy, na pewno będzie przybywać. Wydaje się, że są one przyszłością medycyny.