

Decydenci mają wszelkie narzędzia analityczne, by podejmować decyzje o udostępnieniu nowoczesnych terapii w sposób bezpieczny i dla pacjentów, i dla budżetu



fol. iStockphoto

Refundacyjne decyzje

Stosowane przez Agencję Oceny Technologii Medycznych analizy wpływu na budżet oraz efektywności kosztowej to bardzo skuteczne instrumenty. Mogą one znacznie ułatwić ministrowi zdrowia podjęcie trafnej decyzji w sprawie refundowania bądź nie określonych terapii. Szkoda, że nie są w pełni wykorzystywane.

Zapisy znowelizowanej ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej z 24 sierpnia 2007 r. zwiększyły rolę analiz farmakoeconomicznych przy podejmowaniu decyzji refundacyjnych. W 2006 r. powstała Agencja Oceny Technologii Medycznych, która jako jednostka Ministerstwa Zdrowia jest m.in. odpowiedzialna za udzielanie temu resortowi rekomendacji w sprawie refundowania nowych terapii lekowych. Każdy zainteresowany refundacją producent farmaceutyków zobowiązany jest przedłożyć wraz z wnioskiem trzy analizy farmakoeconomiczne: efektywności klinicznej

(*clinical-effectiveness analysis* – CEA), efektywności kosztów (*cost-effectiveness analysis* – CEA) i wpływu na budżet (*budget impact analysis* – BIA). Są one w Agencji oceniane pod względem technicznym i merytorycznym i na tej podstawie Rada Konsultacyjna AOTM rekomenduje (bądź nie) ministrowi zdrowia finansowanie danej terapii z pieniędzy publicznych.

Dlaczego agencja *Health Technology Assessment*?

Podobnie jak płatnicy świadczeń zdrowotnych w innych krajach, Narodowy Fundusz Zdrowia codziennie zmagają się z podstawowym dylematem. Z jednej strony, musi zapewnić leczenie najbardziej skutecznymi terapiami, z drugiej zaś, leczenie wszystkim potrzebującym z dostępnego ubezpieczenia zdrowotnego. Istnienie agencji HTA (*Health Technology Assessment*) ma sprawić, że osiąganie tych, nierzadko przeciwstawnych, celów będzie prostsze z punktu widzenia decydentów. Agencja nie tylko podpowiada – na podstawie szczegółowej analizy – czy warto finansować daną terapię. Narzędzia analityczne stosowane przez nią sprawiają, że korzystający z jej rekomendacji decydenci nie muszą się obawiać skutków podjętych przez siebie decyzji. Rolą Agencji jest zatem zapewnienie wiarygodności i bezpieczeństwa potrzebnego do podejmowania decyzji refundacyjnych.

Powołanie agencji HTA nie jest polskim pomysłem. W większości krajów prowadzona jest ocena technologii medycznych. Polega ona na wykorzystaniu EBM (*evidence based medicine*) – medycyny opartej na dowodach naukowych – do ustalenia narodowych priorytetów leczenia i podejmowania decyzji w sprawie refundacji nowych produktów leczniczych.

Rola Agencji to zapewnienie pacjentom najbardziej efektywnego leczenia w ramach dostępnych funduszy (*value based medicine*).

Ocena technologii medycznych polega na określeniu, czy dana terapia lekowa da oczekiwane efekty terapeutyczne, a także, czy rezultaty zdrowotne zrekompensują koszty. Agencja stara się odpowiedzieć na dwa podstawowe pytania, które stawiają decydenci przed podjęciem decyzji:

1. Czy warto refundować? To znaczy, czy za określoną cenę uzyskamy rzeczywiście lepszą niż dotychczas skuteczność?
Jeśli tak, to:
2. Czy nas na to stać? Czy w budżecie jest wystarczająco dużo pieniędzy na refundację leków, które na to zasługują?

Głównym narzędziem wykorzystywanym do udzielenia odpowiedzi na te pytania jest farmakoekonomika – nauka zajmująca się pomiarem i porównywaniem

” Wykorzystanie danych farmakoekonomicznych w przygotowaniu rekomendacji jest niewielkie ”

kosztów oraz efektów zdrowotnych alternatywnych programów leczniczych. Odbiorcą wyników analiz są przede wszystkim płatnicy świadczeń zdrowotnych (NFZ, MZ) i przemysł farmaceutyczny. Wyniki analiz farmakoekonomicznych są szczególnie przydatne decydentom odpowiedzialnym za takie gospodarowanie ograniczonymi funduszami, by każdy pacjent otrzymał bezpieczne i skuteczne leczenie, odpowiednie do jego określonych potrzeb zdrowotnych. Im bardziej ograniczone są zasoby ochrony zdrowia, tym większa jest potrzeba racjonalnych narzędzi do podejmowania decyzji.

Rodzaje analiz farmakoekonomicznych Agencji Oceny Technologii Medycznych

Wśród głównych analiz farmakoekonomicznych rekomendowanych przez AOTM jest analiza efektywności kosztowej (*cost-effectiveness analysis* – CEA) oraz wpływu na budżet (*budget impact analysis* – BIA). Analiza wpływu na budżet odpowiada na pytanie, czy nas na to stać, i pozwala określić, czy dany program zdrowotny jest możliwy do zrealizowania w ramach danego budżetu, natomiast CEA, czy terapię warto refundować, czy jest opłacalna w warunkach danego systemu ochrony zdrowia.

Analiza efektywności kosztowej informuje o wartości danego programu zdrowotnego w porównaniu z dostępną terapią alternatywną. Koncentruje się ona na badaniu inkrementalnej (dodanej) wartości nowej terapii poprzez porównanie jej kosztów i efektów zdrowotnych ze standardową metodą leczenia. Wyni-

” Powołanie agencji HTA nie jest polskim pomysłem. W większości krajów prowadzona jest ocena technologii medycznych ”

ki CEA mogą jednoznacznie wspierać decyzję o rekomendacji nowej terapii, gdy jest bardziej skuteczna oraz mniej kosztowna od dotychczasowej, lub sugerować nier refundowanie jej w przypadku mniejszej skuteczności i większych kosztów. Zwykle się jednak zdarza, że nowa terapia jest bardziej skuteczna i bardziej kosztowna od standardowej.

Do ułatwienia decydom podejmowania decyzji w takiej sytuacji służy wskaźnik ICER (*incremental cost-effectiveness ratio*). Określa on, ile kosztuje uzyskanie dodatkowej skuteczności przy zastąpieniu dotychczasowej metody terapeutycznej nową.

zdrowotny będzie prowadził do ograniczenia częstości wizyt lekarskich lub hospitalizacji, jednak równocześnie może oznaczać zwiększone wydatki na farmaceutyki.

Niezbędne jest określenie dotychczasowych kosztów standardowej terapii (w tym nieprzestrzegania zaleceń tej terapii – *non-compliance* – oraz jej działań niepożądanych) i sposobu wprowadzenia nowej, substytucyjnej czy komplementarnej metody.

Przyjęcie z kolei perspektywy społecznej przez CEA powoduje, iż pokazuje ona oszczędności, jakie często pojawiają się poza budżetem płatnika, np. mniejsze



Punktem wyjścia obu analiz powinien być zawsze dostępny standard leczenia danej choroby. Bardzo ważne jest także precyzyjne określenie badanej populacji pacjentów. W tym celu należy wykorzystać właściwe dane epidemiologiczne, najlepiej pochodzące bezpośrednio od płatnika.

Jak wskazują doświadczenia innych krajów, BIA wykonuje się z perspektywy płatnika dysponującego określonym budżetem, natomiast CEA z perspektywy całego społeczeństwa. Przyjęcie takiego założenia oznacza, że zarówno ramy czasowe analizy, jak i zakres badanych kosztów w BIA powinny być określone przez budżet płatnika.

Analiza wpływu na budżet informuje o wpływie wprowadzenia nowej terapii na wydatki systemu ochrony zdrowia. Bierze się przy tym pod uwagę zarówno wpływ nowej terapii na dotychczasowe zużycie leków, jak i dotychczasowe wydatki na świadczenia zdrowotne. Istotnym elementem takiej analizy jest określenie, jaki wpływ może mieć wprowadzenie nowej metody na dotychczasowe zużycie zasobów finansowych. Można oczekiwać np., że nowy program

koszty społeczne wynikające ze zmniejszenia skali inwalidztwa.

Zdarza się również, że oszczędności, jakie wykazuje CEA, mimo że dotyczą budżetu płatnika, nie będą mogły zostać wykorzystane z uwagi na określoną konstrukcję i reguły funkcjonowania systemu ochrony zdrowia. Nie będzie łatwo np. doprowadzić w krótkim czasie do przekwalifikowania personelu medycznego lub też sprzedaży istniejącego sprzętu medycznego na rzecz przeprowadzenia nowych inwestycji potrzebnych przy wdrażaniu nowej technologii medycznej.

Analiza efektywności kosztowej uwzględnia jedynie pozycje kosztowe i efekty zdrowotne, jakie będą bezpośrednio zmienione na skutek wprowadzenia nowego programu zdrowotnego. Analiza wpływu na budżet jako narzędzie planowania finansowego powinna natomiast analizować bezpośredni i pośredni wpływ wprowadzenia danej terapii. Nierzadko bowiem oprócz generowania oszczędności, dana terapia przyczynia się do zwiększenia wydatków na inne stany chorobowe. Przykładem może być leczenie HIV,

gdzie programy zdrowotne prowadzące do wydłużenia życia pacjenta oznaczają jednocześnie zwiększenie obciążenia systemu ochrony zdrowia z tytułu dodatkowego okresu leczenia.

W przypadku BIA ważne jest skoncentrowanie się nie tylko na dodatkowych kosztach związanych z wprowadzeniem danego leku na rynek, ale również wskazanie potencjalnych oszczędności związanych z ograniczonym wykorzystaniem świadczeń zdrowotnych w następstwie bardziej efektywnego leczenia. Bardzo istotne jest uwzględnienie w analizie poszczególnych grup pacjentów, wyróżnionych ze względu na wiek czy też wskazanie terapeutyczne. Należy ponadto uwzględnić wpływ danej terapii na wykorzystanie innych komplementarnych sposobów leczenia.

Co z tego dla Agencji Oceny Technologii Medycznych?

Przegląd rekomendacji Rady Konsultacyjnej opublikowanych na stronie internetowej AOTM wskazuje, że wykorzystanie danych farmakoekonomicznych w przygotowaniu rekomendacji było niewielkie. Od września 2007 r. do listopada 2008 r. opublikowano 69 rekomendacji dotyczących finansowania nowych farmakoterapii, w tym 35 negatywnych, 31 pozytywnych udzielonych warunkowo i 3 pozytywne bez zastrzeżeń.

Pośród 35 rekomendacji negatywnych Rada najczęściej odwoływała się w uzasadnieniu do aspektów klinicznych, tj. niewiarygodnych danych klinicznych (19 przypadków), niewystarczających dowodów na efektywność kliniczną lub bezpieczeństwo stosowania leku (9 przypadków). Aspekt ekonomiczny stosowania nowej farmakoterapii był wymieniony jako główna przyczyna negatywnej rekomendacji jedynie w 5 przypadkach. Ocena Rady Konsultacyjnej w tym zakresie ograniczyła się do omówienia wyników analiz farmakoekonomicznych. W 4 rekomendacjach wskazano niesatysfakcjonujący poziom wskaźnika ICER, a w jednym nieakceptowalny wpływ na budżet NFZ. Nie przedstawiono żadnych uwag dotyczących zastosowanej metodologii badawczej czy wykorzystanych danych wejściowych.

Z kolei wśród 31 decyzji pozytywnych udzielonych warunkowo dominowały rekomendacje stosowania w zawężonej grupie pacjentów, leczenie jedynie w drugim rzucie bądź konieczność ponownego wnioskowania o refundację po upływie określonego czasu. Aspekt ekonomiczny pojawił się w 12 rekomendacjach, jednak w 6 przypadkach ograniczono omawianie tego zagadnienia do zalecenia obniżenia ceny. W pozostałych 6 również nie poddano ocenie analizy farmakoekonomicznej. Zarekomendowano jedynie ponowne jej wykonanie w celu uzyskania akceptowalnego poziomu wskaźnika ICER (poniżej 3-krotności PKB *per capita*).

„ Pogłębia się przepaść między standardem leczenia wielu chorób w Polsce i w innych krajach Unii Europejskiej ”

Nieujmowanie wniosków z analiz farmakoekonomicznych może być zrozumiałe, gdy rekomendacja negatywna zostaje udzielona na podstawie braku dowodów na skuteczność terapii. Trudno jest jednak znaleźć uzasadnienie dla rezygnacji z wykorzystania takich danych w pozostałych sytuacjach. Zaniepokojenie budzi ponadto fakt, iż Rada dyskusję na temat analiz farmakoekonomicznych ogranicza do oceny ceny produktu bądź wskaźnika ICER. Nie rozważa zasadności metodologii, przyjętej perspektywy badania i wyboru komparatora czy sposobu pomiaru wyników zdrowotnych. Ocena wszystkich aspektów ma istotne znaczenie dla poprawnego prognozowania konsekwencji wprowadzenia określonej farmakoterapii na rynek polski.

Decydenci mają więc wszelkie narzędzia analityczne, by podejmować decyzje o udostępnieniu pacjentom nowoczesnych terapii w sposób bezpieczny i dla nich, i dla budżetu. Tymczasem pogłębia się przepaść między standardem leczenia wielu chorób w Polsce i w innych krajach Unii Europejskiej. Według najnowszych danych OECD, w Polsce oczekiwanie na podjęcie decyzji refundacyjnych trwa najdłużej, często nawet 8 lat. Liczba udostępnionych pacjentom nowych leków jest zaś najmniejsza. Wyższy niż w Polsce poziom współpłacenia, czyli dopłacania do leków przez pacjentów, istnieje tylko w dwóch krajach OECD – w USA i w Meksyku. W Polsce pacjenci pokrywają koszty farmakoterapii w 63 proc. Polska wreszcie jest jedynym krajem, któremu od 5 lat udaje się nie zwiększać wydatków budżetu na farmakoterapię.

Wydaje się, że wszystkie warunki racjonalnego podejścia do wydatków na farmakoterapię są w Polsce spełnione. Agencja Oceny Technologii Medycznych pracuje pełną parą, wydaje bardzo dużo rekomendacji, choć nie wszystkie publikuje.

Czas najwyższy, żeby na podstawie dostępnych danych farmakoekonomicznych przygotowywać racjonalne rekomendacje. Bez tego – po co nam, podatnikom, AOTM?

Katarzyna Kolasa
Health Economics Scientist AstraZeneca Szwecja
Ewa Borek
Dział Kontaktów Zewnętrznych AstraZeneca Polska