

VZÁCNÁ ONEMOCNĚNÍ Z POHLEDU STÁTNÍHO ÚSTAVU PRO KONTROLU LÉČIV

MUDr. Juraj Slabý

Zástupce vedoucí oddělení hodnocení léčiv


Vzácná onemocnění - obecně

- Orphan designace - rozhoduje EMA na základě žádosti
- Vzácné onemocnění: prevalence < 1:2 000 obyvatel (Orphan Drug Regulation 141/2000)
- Většinou chronické, progresivní, degenerativní, životohrožující onemocnění: zkrácení života, poškození kvality života
- Postihují cca 5% novorozenců a kojenců

Vzácná onemocnění - obecně

 cca 8 tisíc vzácných onemocnění

 více než 80% případů má genetický podklad

 příklady: cystická fibróza, fenylketonurie, hereditární angioedém, idiopatická plicní fibróza, mukopolysacharidózy, renální karcinom

Správní řízení - obecné principy

👁 Stanovení výše a podmínek úhrady ve správním řízení

👁 Účastníci řízení:

- držitel rozhodnutí o registraci (registrovaný přípravek), dovozce, tuzemský výrobce nebo předkladatel specifického léčebného programu (PZLÚ, SLP)
- zdravotní pojišťovny

Správní řízení - obecné principy

Práva a povinnosti účastníků řízení:

- právo navrhopvat důkazy a činit jiné návrhy (lhůta 15 dnů od zahájení)
- právo vyjádřit se k podkladům pro rozhodnutí (lhůta 10 dnů od doručení sdělení o ukončení zjišťování podkladů pro rozhodnutí)
- právo podat odvolání (lhůta 15 dnů od doručení rozhodnutí)

- povinnost poskytnout Ústavu potřebnou součinnost (např. doplnění podkladů)
- povinnost poskytnout Ústavu informace způsobilé ovlivnit maximální cenu a úhradu přípravku

Správní řízení - obecné principy

- 👁 Správní řízení na žádost
- 👁 Ústav je vázán obsahem žádosti (dispoziční zásada): nestanovujeme nic navíc, co žadatel nežádá (platí jak pro výši, tak pro podmínky úhrady)
- 👁 Např. status vysoce inovativního přípravku (nutno požádat)

Správní řízení - obecné principy

- 🌀 Odborné společnosti, patientské organizace
 - nemají status účastníka řízení
 - bez ohledu na tuto skutečnost mají odborné společnosti i patientské organizace možnost vyjádřit se ke správním řízením vedeným Ústavem
 - možnost podat vyjádření či návrh: podložení relevantními důkazy (např. metaanalýzy, klinické studie, odborné články)

Správní řízení - obecné principy

Správní řízení vedená Ústavem

- část šestá zákona č. 48/1997 Sb., správní řád
- spisy vedené v elektronické podobě
- veřejně dostupný spisový materiál (vyjma obchodního tajemství): transparentnost a přezkoumatelnost rozhodnutí SÚKL
- možnost nahlížení do spisů (osobně i elektronicky: elektronický podpis)
- webová stránka: <http://www.sukl.cz/sukl/informace-o-prubehu-spravnich-rizeni>

Úhradová regulace orphan léčiv

- ☞ Úhrada: SÚKL rozhoduje pouze o úhradě v ambulantním sektoru

- ☞ Zákon č. 48/1997 Sb. nemá specifická pravidla pro vzácná onemocnění, pouze pro vysoce inovativní přípravky (VILP) - léčba vysoce závažných onemocnění:
 - VILP je bezpečnější nebo účinnější než stávající léčba nebo
 - VILP je jedinou možností terapie nebo
 - Nejsou údaje o nákladové efektivitě nebo výsledcích léčby VILP

Úhradová regulace orphan léčiv

Vysoce inovativní přípravky

- úhrada se stanoví ve výši nejnižší zahraniční nebo české ceny výrobce přípravku v odpovídající síle a velikosti balení
- bez základní úhrady za ODTD (obvyklá denní terapeutická dávka)
- pro každou kombinaci síly a velikosti balení: samostatná výše úhrady
- přípravek musí být hrazen alespoň ve 2 zemích referenčního koše (státy EÚ)

Úhradová regulace orphan léčiv

Neinovativní přípravky:

- základní úhrada za ODTD: stejná pro všechny zaměnitelné a dostupné přípravky bez ohledu na sílu a velikost balení
- dostupné přípravky: spotřeba nad 3% v rámci léčivé látky, první až třetí podobný přípravek, dohodnutá nejvyšší cena, dohoda o úhradě

Úhradová regulace orphan léčiv

Dočasná úhrada

- délka trvání: spolu maximálně 36 měsíců (závazek sběru dat: účinnost, bezpečnost, klinická praxe)
- první dočasná úhrada: 24 měsíců
- druhá dočasná úhrada: dalších 12 měsíců
- poté přechod do trvalé úhrady

(způsob stanovení úhrady nezávisí od charakteru úhrady: dočasná vs. trvalá úhrada, ale od skutečnosti, zda přípravek nadále splňuje kritéria VILP)

Úhradová regulace orphan léčiv

👁 Vysoce inovativní přípravky

👁 Podmínky úhrady vždy stanoveny

👁 Vždy symbol „S“: specializovaná pracoviště

- zajištění účinné a bezpečné léčby na nejvyšší odborné úrovni

- sběr dat o léčbě (účinnost, bezpečnost, klinická praxe)

Současný stav dostupnosti orphan léčiv v ČR

- ☉ Stanovena ambulantní úhrada u více než 30 % LP s orphan designací
- ☉ Hrazeny v dočasné úhradě (např. Evoltra: akutní lymfoblastická leukémie, Kuvan: fenylketonurie)
- ☉ Hrazeny v trvalé úhradě (např. Firazyr: hereditární angioedém, Zavesca: Gaucherova choroba)
- ☉ Nehrazeny: běží řízení o stanovení výše a podmínek úhrady (Imnovid: mnohočetný myelom, Kalydeco: cystická fibróza)

Důvody snížené dostupnosti orphan drugs

- 👁 Držitel nemá zájem uvádět na trh ČR (malý trh)
- 👁 Legislativa nerozlišuje mezi běžnými a orphan drugs
 - slabé důkazy o terapeutické účinnosti (neexistence kontrolovaných studií fáze III.)
 - omezené údaje o nákladech a nákladové efektivitě
 - omezené údaje o použití v klinické praxi
- 👁 Individuální úhrada jednotlivých pacientů
 - § 16 - schválení revizním lékařem (např.: Adcetris: CD30+ Hodgkinův lymfom)
 - nemocniční použití (např.: Peyona: primární apnoe, hrazen z paušálu)

Nákladová efektivita u orphan drugs

 Definice nákladové efektivity v zákoně č. 48/1997 Sb.

Nákladově efektivní jsou takové léčebné postupy, které:

- při **srovnatelných nákladech** přinášejí stejný nebo vyšší terapeutický účinek spočívající v prodloužení života, zlepšení kvality života nebo zlepšení podstatného a měřitelného kritéria příslušného onemocnění, nebo*
- při alespoň **srovnatelném terapeutickém účinku** znamenají nižší celkové náklady pro systém zdravotního pojištění, nebo*
- při **vyšších nákladech a vyšším terapeutickém účinku** je tento poměr srovnatelný s jinými terapeutickými postupy hrazenými z prostředků zdravotního pojištění.*
- zákon zmiňuje nákladovou efektivitu ve srovnání s již hrazenými přípravky, nikoli jako explicitní hranici.*

Nákladová efektivita u orphan drugs

👁️ Omezené údaje, málo robustní analýzy NEF

👁️ Často překračují doporučení WHO (tj. 3xHDP - cca 1,1 mil. Kč), ale není pravidlem

👁️ Příklady:

- Mozobil: autologní transplantace u lymfomu a mnohočetného myelomu (180-475 tis. Kč/QALY)
- Revlimid: mnohočetný myelom (940 tis. Kč/LYG)
- Vidaza: CML, AML, MDS (až cca 1,15 mil. Kč/QALY)

Přístup SÚKL k LP nad doporučení WHO

- 🌀 Individuální posouzení – aplikace více kritérií při vstupu nového přípravku do systému
 - Terapeutická účinnost a bezpečnost (hodnotí se velikost celkového přínosu v léčbě onemocnění)
 - Závažnost onemocnění (zejména u vysoce závažných onemocnění dle vyhlášky č. 376/2011 Sb.)
 - Nahraditelnost v léčbě - nedostupnost alternativní hrazené léčby (často splněno u orphan drugs)
 - Celkový dopad na rozpočet zdravotního pojištění (často nízký u orphan drugs - malý počet pacientů, ale není pravidlem)
 - Nákladová efektivita – hodnotí se míra překročení doporučení WHO
 - Doporučené postupy odborných institucí (hodnotí se zejména síla doporučení)



„Implicitní a flexibilní hranice ochoty platit“

I přes nepříznivou nákladovou efektivitu úhrada může být stanovena

Příklady

- ILARIS


- syndrom CAPS - vzácné onemocnění
- ICER = 2,6 mil. Kč/remisi

- ROACTEMRA

- Systémová juvenilní idiopatická artritida - vzácné onemocnění
- ICER = 1,5 mil. Kč/QALY

Reference

 <http://www.sukl.cz/>

 <http://www.vzacna-onemocneni.cz/vzacna-onemocneni/co-je-vzacne-onemocneni/seznam-vzacnych-onemocneni.html>

 <http://www.mzcr.cz/>



Děkuji za pozornost

STÁTNÍ ÚSTAV PRO KONTROLU LÉČIV

Šrobárova 48, 100 41 Praha 10

tel.: +420 272 185 111

fax: +420 271 732 377

e-mail: posta@sukl.cz