ALTERNATOR
Misliti znanost.

Kakšen je dostop do inovativnih zdravil v Sloveniji?

20. 4. 2020

Number: 18/2020

Author:

- Andreja Detiček



Foto: Arne Hodalič

Zgodbe pacientov, ki v svoji državi ne morejo do zdravil za zdravljenje svoje bolezni, vsake toliko razburijo javnost. Velikokrat gre za redke bolezni, kot v primeru dečka Krisa, ki je za lajšanje simptomov spinalne mišične atrofije prejemal učinkovito in doslej tudi najdražje financirano zdravilo v Sloveniji, hkrati pa je v ZDA že obstajalo še bolj učinkovito zdravilo, ki v Evropi še ni bilo dostopno.

V zadnjih dveh desetletjih se je število inovativnih zdravil v Evropi močno povečalo zlasti na dveh bolezenskih področjih – zdravljenja redkih bolezni in rakavih bolezni. Najprej razložimo, katera zdravila so inovativna. V ožjem smislu so to zdravila, ki vsebujejo popolnoma novo zdravilno učinkovino in tako predstavljajo novo (ali celo prvo) možnost zdravljenja neke bolezni; v zadnjih letih predvsem biološka in tarčna zdravila. V širšem smislu med inovativna zdravila spadajo tudi tista z že znanimi zdravilnimi učinkovinami, za katere je odkrita nova možnost uporabe pri drugi bolezni, oziroma za katere je izboljšana učinkovitost, varnost ali prikladnost uporabe pri zdravljenju iste bolezni, običajno zaradi drugačne tehnološke priprave in dostave zdravila v telo. V naši raziskavi smo iskali, koliko in katera inovativna zdravila za zdravljenje redkih in rakavih bolezni so dostopna v različnih evropskih državah, ter predvsem, kdaj in v kakšnem obsegu. Skupaj s slovenskimi strokovnjaki s področja financiranja zdravil pa smo oblikovali tudi nov predlog modela meril za odločanje o financiranju (inovativnih) zdravil iz javnih sredstev v Sloveniji.

Obe skupini bolezni sta zelo heterogeni, saj gre pri rakavih boleznih za katerokoli maligno novotvorbo, pri redkih boleznih pa za katerokoli bolezen, ki ustreza evropski definiciji, da prizadene največ 5 na 10 000 oseb. Skupini se tudi prepletata, saj je med približno 6000–8000 znanimi redkimi boleznimi zajetih veliko oblik rakavih bolezni, ki jih je zaradi vedno natančnejšega razmejevanja mogoče prištevati med redke (npr. nedrobnocelični pljučni rak je redka bolezen, ostali raki

pljuč pa ne nujno).

Razvoj novih zdravil na omenjenih dveh področjih temelji na dejstvu, da je večina redkih in rakavih bolezni resnih, kroničnih, življenjsko ogrožajočih in močno vpliva na kakovost življenja bolnika. Inovativna zdravila za redke bolezni so nova ali celo edina možnost zdravljenja in imajo tako za bolnike visoko terapevtsko vrednost, približno tretjina pa jih je namenjenih zdravljenju redkih rakavih bolezni. Po drugi strani je cena teh zdravil običajno višja kot pri inovativnih zdravilih za pogostejše bolezni, medtem ko so dokazi o njihovi učinkovitosti in varnosti pogosto šibkejši zaradi manjšega števila preiskovancev.

Poleg samega razvoja je za dostop pacientov do zdravil ključna tudi serija postopkov za umeščanje zdravila v zdravstveni sistem neke države, ki omogočijo, da pacient zdravilo prejme, ko ga potrebuje, in da zanj ne plača iz lastnega žepa. To so:

- pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom oziroma t. i. registracijo zdravila na nacionalni ali še pogosteje na evropski ravni (z njo uradne agencije za zdravila na podlagi dokazov o učinkovitosti, varnosti in kakovosti zdravila odobrijo uporabo pri ljudeh in tako proizvajalcu odobrijo trženje zdravila v izbranih državah),
- angažma farmacevtskih podjetij za trženje zdravila in določitev cene zdravila v posamezni državi ter
- odločitev nacionalne zdravstvene zavarovalnice (v Sloveniji je to Zavod za zdravstveno zavarovanje Slovenije) o obsegu financiranja posameznega zdravila iz javnih sredstev.

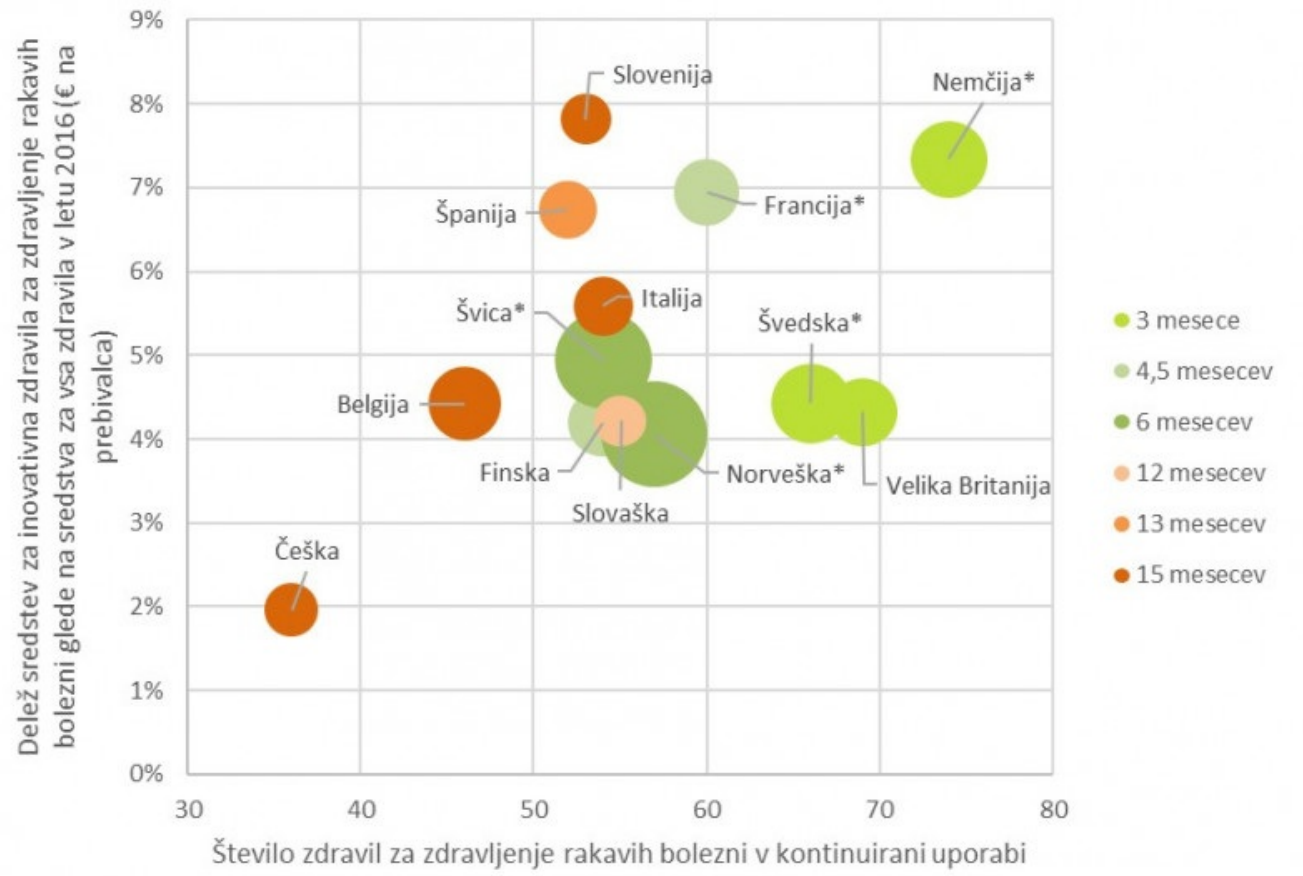
Zaradi trenda razvoja vedno več inovativnih zdravil na vseh področjih in njihove pogosto dolgotrajnejše uporabe v primerjavi s starejšimi zdravili stroški za zdravila po vsem svetu naraščajo. Zdravstveni sistemi držav, med njimi tudi slovenski, se tako soočajo z izzivom, kako zagotoviti napredno oskrbo z zdravili, ob tem pa upoštevati načelo solidarnosti do vseh bolnih in ohraniti vzdržnost sistema. Pri tem predstavlja odločanje o financiranju zdravil enega ključnih procesov, ki pogojuje dostop pacientov do zdravil in določa obseg ter omejitve dostopa. V Sloveniji in večini drugih evropskih držav temeljijo odločitve o financiranju zdravil na vrednotenju zdravila na podlagi več meril, kot so učinkovitost in varnost zdravila, stroškovni vidik, etični vidik, strokovna priporočila in prioritete zdravstvenega varstva. V preteklih letih so se v raziskavah in praksi po vsem svetu oblikovali novi modeli ključnih meril s ciljem zagotoviti čim bolj sistematičen in transparenten postopek odločanja o financiranju zdravil.

Dostop pacientov do inovativnih zdravil, še posebej do skupine inovativnih zdravil za redke bolezni, se zaradi različnih politik umeščanja, torej različnih meril in načinov financiranja teh zdravil, med državami lahko močno razlikuje.

Dostop do zdravil za redke in rakave bolezni v Sloveniji

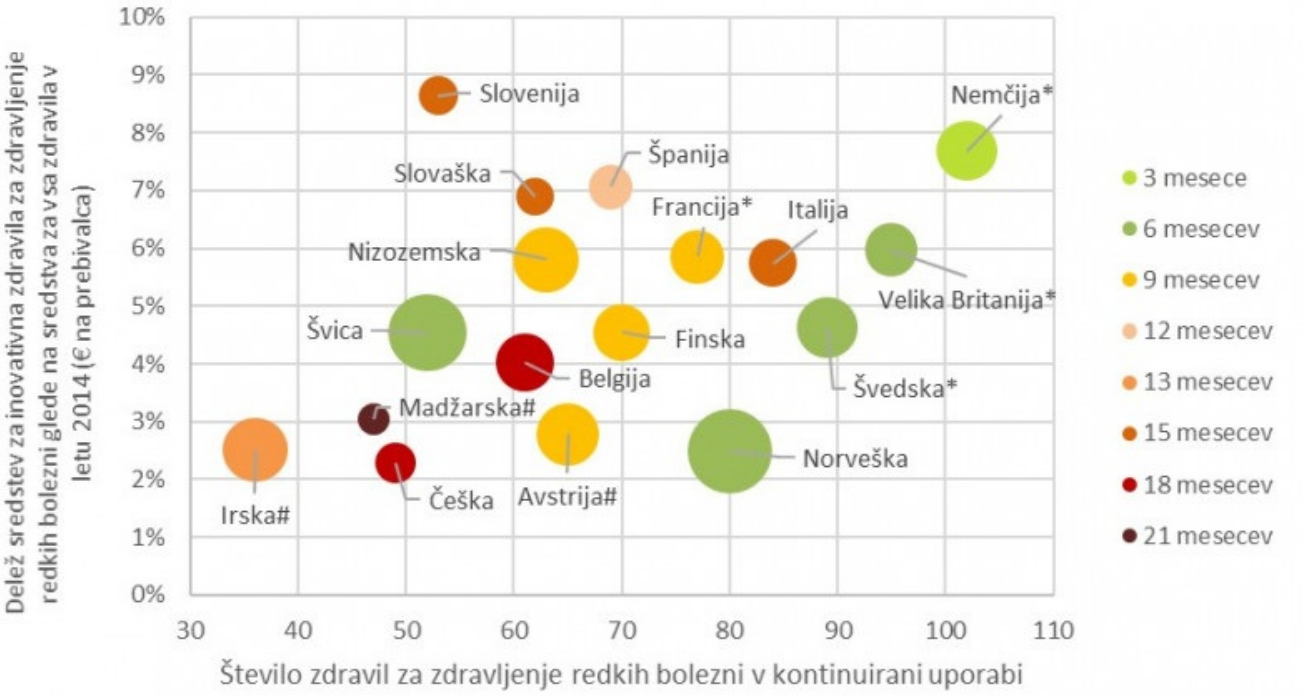
Dostop slovenskih pacientov do obeh skupin zdravil smo preučili na podlagi najobsežnejše obstoječe mednarodne podatkovne baze IMS MDART o vrednostni in količinski prodaji zdravil, ki jo vodi podjetje IQVIA. Omenjena baza zajema podatke številnih držav o porabljenih sredstvih prodanih zdravil in količinah prodanih zdravil v lekarnah in bolnišnicah. Dostop do zdravil v Sloveniji smo primerjali z dostopom na ključnih evropskih trgih inovativnih zdravil, upoštevajoč dostopno število, čas pričetka uporabe po registraciji in porabljena sredstva za zdravila, za zdravila za zdravljenje raka pa tudi upoštevajoč količinsko porabo v miligramih zdravilne učinkovine na skupino novo odkritih bolnikov z rakom (incidenco raka).

Ključni evropski trgi za skupino 81 inovativnih zdravil za zdravljenje rakavih bolezni, registriranih v obdobju 2007–2016, so Nemčija, Francija, Švedska, Norveška in Švica, ki omogočajo dostop do dveh tretjin ali več na novo registriranih zdravil znotraj 3–6 mesecev po registraciji po t. i. centraliziranem postopku v Evropi, ki omogoča sočasno registracijo zdravila po celotni Evropski uniji in Evropskem gospodarskem prostoru. V Franciji in Nemčiji zanje odmerijo tudi največji delež sredstev glede na sredstva za vsa zdravila, njihova količinska poraba v miligramih zdravilne učinkovine na novega bolnika z rakom pa je najvišja v Švici in Franciji. Slovenski pacienti dostopajo do dveh tretjin inovativnih protirakavih zdravil v času 15 mesecev po registraciji, zanje pa je namenjen največji delež sredstev od sredstev za vsa zdravila med primerjanimi državami (kot je prikazano na spodnji sliki). Celokupna količinska poraba je v Sloveniji tretja najvišja v primerjavi z drugimi evropskimi državami, za podskupino zdravil za hematološke rake pa celo najvišja.



Dostop pacientov do inovativnih protirakavih zdravil v Evropi. Mehurčki: velikost – BDP (€/prebivalca), barva – srednji čas pričetka uporabe po registraciji; * – ključni evropski trgi zdravil

Ključni evropski trgi dostopa do 125 zdravil za redke bolezni, registriranih v obdobju 2005–2014, so Nemčija, Švedska, Francija in Velika Britanija. V omenjenih državah pacienti dostopajo do vsaj dobrih 60 % na novo registriranih zdravil znotraj 3–9 mesecev po registraciji, največji delež sredstev zanje pa odmerijo v Nemčiji. Slovenski pacienti dostopajo do slabe polovice novih zdravil v času 15 mesecev po registraciji, zanje pa namenimo še večji delež sredstev za vsa zdravila kot Nemčija (prikazano na spodnji sliki). Od razpoložljivih zdravil za redke bolezni jih v Sloveniji 79 % tudi delno ali polno financiramo iz javnih sredstev.



Dostop pacientov do inovativnih zdravil za redke bolezni v Evropi. Mehurčki: velikost – BDP (€/prebivalca), barva – srednji čas pričetka uporabe po registraciji; * – ključni evropski trgi zdravil, # – države, kjer so na voljo le podatki o uporabi zdravil

izven bolnišnic

Predhodne raziskave so pokazale, da si inovativna zdravila v Evropi lahko privoščijo predvsem gospodarsko uspešnejše države in da je na področju zdravljenja raka še vedno v uporabi veliko starejših zdravil. Dostop slovenskih pacientov do inovativnih protirakavih zdravil je glede na naše izsledke primerljiv s ključnimi evropskimi trgi: tako glede na število zdravil kot glede na porabljena sredstva in njihovo količinsko porabo. Zlasti količinska poraba, ki kaže dejansko uporabo protirakavih zdravil in je v Sloveniji med najvišjimi v Evropi, nakazuje na vzgib v slovenskem zdravstvenem sistemu po omogočanju dostopa do inovativnih zdravil na področju zdravljenja raka.

Po drugi strani dostop slovenskih pacientov do inovativnih zdravil za redke bolezni (pri tem gre za heterogeno skupino zdravil za bolezni z različnih področij, kot so nekatere metabolne motnje, redke infekcijske bolezni, redke nevrološke bolezni, nekateri redki raki idr.) po izsledkih naših raziskav ni primerljiv s ključnimi evropskimi trgi, saj je v Sloveniji na voljo manjše število zdravil z daljšim časovnim zamikom. Primerljiva s ključnimi trgi pa je poraba sredstev za ta zdravila, ki lahko nakazuje na to, da izbrana dostopna zdravila nudimo večjemu številu pacientov kot v drugih državah (manj omejujemo, kateri pacienti z neko redko boleznijo jih lahko prejmejo).

Nov predlog meril za odločanje o financiranju zdravil

Poleg preučevanja dostopa smo raziskovali tudi, katera merila za vrednotenje zdravil so v procesu odločanja o financiranju zdravil smiselna. Zastavili smo predlog novega modela meril in ugotavljali, ali bi njegova uporaba v praksi vodila v drugačne odločitve o financiranju zdravil za redke bolezni od obstoječega modela meril.

V obstoječem slovenskem modelu meril je najbolj izpostavljen vidik učinkovitosti in varnosti zdravljenja, tj. »terapevtska vrednost zdravila«. Ta vrednoti obseg koristi in tveganja uporabe zdravila za pacienta: ali zdravilo dokazano prinaša korist glede na končni želeni izid zdravljenja (npr. podaljša življenje) in ali je zdravilo prvo obstoječe za zdravljenje posamezne bolezni, oziroma ali prinaša dodatno korist v primerjavi z že dostopnimi zdravili (npr. ima manj neželenih učinkov, omogoča boljši ali hitrejši želen izid zdravljenja). Poleg terapevtske vrednosti se upoštevajo še priporočila za uporabo zdravila iz strokovnih smernic, ekonomski vidiki uporabe zdravila, ocena etičnih vidikov, pomen zdravila za javno zdravje (glede na nacionalne zdravstvene prioritete) in ocena zdravila iz referenčnih virov (npr. drugih držav).

Kot izhodišče za oblikovanje novega predloga meril za razvrščanje in financiranje zdravil v Sloveniji, ki bi omogočal še bolj transparentno in sistematično odločanje, smo izvedli kvalitativno raziskavo z metodo fokusne skupine v obliki polstrukturirane vodene razprave. Razpravo smo izvedli s petimi strokovnjaki iz Zavoda za zdravstveno zavarovanje Slovenije, Javne agencije za zdravila in medicinske pripomočke, Nacionalnega inštituta za javno zdravje in Univerzitetnega kliničnega centra Ljubljana.

Predstavniki ključnih zdravstvenih institucij v Sloveniji menijo, da je pri vrednotenju zdravil smiselno upoštevati več različnih vidikov oziroma meril, ki naj bodo vsebinsko (kvalitativno) enaka za vsa zdravila, kvantitativno pa se lahko razlikujejo tako, da je prispevek posameznega merila za določeno skupino zdravil večji ali manjši (npr. zaradi določene lastnosti bolezni). Kot takšno skupino zdravil, kjer imajo lahko nekatera merila večjo težo od drugih zaradi lastnosti same bolezni, strokovnjaki prepoznavajo tudi zdravila za zdravljenje redkih bolezni. Nov predlog modela meril zajema vidike koristi in tveganja zdravljenja z zdravilom za pacienta (učinkovitost in varnost zdravila), ekonomski vidik, breme bolezni, upoštevanje zdravstvenih prioritet, osnovanih na vrednotah slovenske družbe, vpliv uporabe zdravila na organizacijo zdravstvenega sistema ter dva družbena vidika – vpliv bolezni in vpliv zdravila na bolnikove svojce, skrbnike oziroma širšo družbo. Najpomembnejša merila so po mnenju strokovnjakov učinkovitost in varnost zdravila, kakovost dokazov o varnosti in učinkovitosti, ekonomski vidik in breme bolezni.

Mnenje slovenskih strokovnjakov sledi predlogom tujih modelov meril za vrednotenje zdravil v drugih zdravstvenih sistemih po svetu, ki vsi upoštevajo več meril o lastnostih zdravila, lastnostih bolezni in druge vidike ter ne samo enega, npr. strošek zdravljenja. Tudi v tujih modelih sta najpomembnejši merili učinkovitost in varnost zdravljenja z zdravilom. Obstoječi model meril in predlog novega se razlikujeta v treh novih merilih: *vpliv uporabe zdravila* na organiziranost zdravstvenega sistema ter *vpliv bolezni* in *vpliv koristi zdravila* na bolnikove svojce, skrbnike in ostalo okolico, ki preusmerjata vrednotenje zdravil zgolj s koristi zdravila za pacienta na korist zdravila za širšo družbo. Z novim predlogom modela meril bi se tako prej odločili financirati zdravilo, v katerem bi poleg koristi za pacienta prepoznali tudi korist za širšo okolico (npr. zdravilo za zdravljenje demence, ki z lajšanjem simptomov bolniku olajša tudi breme njegovim svojcem, skrbnikom).

Pri vrednotenju skupine zdravil za redke bolezni je najbolj pomembna razlika med obstoječim modelom in novim predlogom modela meril lahko sprememba načina upoštevanja etičnega vidika. Tu gre za vrednotenje zdravila na podlagi načel solidarnosti, pravičnosti in omogočanja možnosti zdravljenja bolezni, kjer je alternativ zdravljenja malo ali jih ni. Etični vidik se v obstoječem modelu upošteva predvsem za redke in resne bolezni. Zdravila za te bolezni torej poleg upoštevanja njihove terapevtske vrednosti, stroška zdravljenja, priporočil iz strokovnih smernic in ostalih meril na podlagi etičnega vidika vrednotimo kot bolj prednostna in jih prednostno financiramo. V novem predlogu modela bi etični vidik lahko upoštevali na enak način kot doslej (za redke in resne bolezni), lahko pa bi ga zastavili nekoliko drugače in ga upoštevali za vse bolezni, ki predstavljajo nacionalne zdravstvene prioritete. Te bi poleg redkih in resnih bolezni lahko vključevale tudi druge, hkrati pa bi lahko zaradi heterogenosti skupine redkih bolezni prišlo do razlikovanja med njimi in bi bile nekatere redke bolezni upoštevane kot bolj prioritetne od drugih. V takšnem primeru bi prednostno obravnavali le

določena zdravila za redke bolezni in ne več celotne skupine zdravil.

V Sloveniji že dostopamo do naprednih možnosti zdravljenja

Rezultati naših raziskav so pokazali, da v slovenskem zdravstvenem sistemu pacientom nekoliko počasneje kot na ključnih evropskih trgih inovativnih zdravil omogočamo dostop do številnih inovativnih zdravil: zlasti na področju rakavih bolezni, na področju redkih bolezni v nekoliko manjši meri. Ko je zdravilo umeščeno v zdravstveni sistem, ga zagotavljamo več pacientom kot v številnih drugih evropskih državah, s čimer jim omogočamo dostop do naprednih možnosti zdravljenja. Pri odločanju o financiranju zdravil podobno kot drugod po Evropi upoštevamo preplet znanstvenih dognanj, družbenih vrednot in finančnih omejitev. Predlog novega modela meril za vrednotenje zdravil in odločanje o njihovem financiranju usmerja v financiranje učinkovitih in varnih zdravil, ki poleg pacientom koristijo tudi širši družbi. In prav to je eno izmed izhodišč za prenovitev uradnega modela meril v slovenskem prostoru in v zdravstvenih sistemih drugih držav.

https://www.alternator.science/en/long/kaksen-je-dostop-do-inovativnih-zdravil-v-sloveniji/