

УДК 616-039.42-085(438)

ЛЕКАРСТВЕННОЕ ОБЕСПЕЧЕНИЕ ЛЕЧЕНИЯ РЕДКИХ ЗАБОЛЕВАНИЙ В ПОЛЬШЕ

Йоанна Лис

Польское отделение ISPOR, Польское фармакоэкономическое общество,
ул. Sliska, 3 к. 55, 00-127, г. Варшава, Республика Польша

Охарактеризованы подходы к ценообразованию и возмещению затрат на орфанные лекарственные препараты, реализуемые в Польше в соответствии с национальным законодательством и рекомендациями Европарламента.

Ключевые слова: редкие (орфанные) заболевания; орфанные лекарственные препараты (ОЛП); лекарственное обеспечение; правовое регулирование; Европейский союз; Польша.

Краткая информация о стране, системе здравоохранения и лекарственного обеспечения в Польше. Республика Польша – наиболее крупное из государств Центральной и Восточной Европы – членов Евросоюза. Население в 2017 г. составило 38,4 млн чел. (6-е место среди государств-членов Евросоюза), и, как и во всех европейских странах, наблюдается тенденция к его снижению, в то время как число жителей в возрасте старше 65 лет (в 2017 г. – 15,5% населения) постоянно растет, увеличивается и средняя продолжительность жизни (2017 г. – 77,8 лет). Уровень занятости – 67,8% (средний показатель по ЕС – 70%), доля экономически активного населения – 73% (усредненный показатель по странам ЕС – 77%). Польша занимает 7-е место в Евросоюзе по уровню экономического развития. Экономический рост, по сравнению с 2008 г., составил 19%; валовой внутренний продукт (ВВП) вырос в 2016 г. на 2,6%, в 2017 г. – на 3,1%. ВВП на душу населения в год по паритету покупательной способности (ППС) составил 25 тыс. долл. США, или 69% среднего показателя государств-членов ЕС.

Экономика Польши растет, но здравоохранение не является приоритетом для правительства, о чем свидетельствуют одни из самых низких в ЕС показатели общих (6,3% ВВП при наблюдающейся тенденции к снижению) и государственных расходов на здравоохранение (4,5% ВВП), в том числе, расходов на фармацевтические препараты (1,34% ВВП при наблюдающейся тенденции к снижению) и лекарственное обеспечение населения (0,45% ВВП).

Система медицинского страхования обеспечивает всеобщий доступ к оказанию медицинских услуг, в основном, за счет обязательных страховых взносов работающих в общественный стра-

ховой фонд (Национальный фонд здравоохранения, НФЗ), составляющих 9% заработной платы до вычета налогов.

Страховое покрытие включает оказание медицинской помощи в амбулаторных и стационарных условиях, в том числе, лекарственное обеспечение в стационаре и с использованием реимбурсируемых (включенных в компенсационные списки) лекарственных средств (ЛС). Дополнительные услуги могут финансироваться за счет добровольного медицинского страхования (страховки, в основном, покупаются работодателями для своих работников).

Из общественных фондов оплачиваются 70% оказываемых медицинских услуг, соплатежи пациентов составляют около 30%.

Лекарственная терапия финансируется из общественных источников в 3 случаях:

а) при оказании медицинской помощи в стационарных условиях лекарственные средства оплачиваются за счет средств НФЗ в соответствии с внедренной системой диагностически связанных групп;

б) в рамках национальных программ (в страховое покрытие входят только лечение гемофилии и АРВ-терапия);

в) в рамках системы возмещения затрат (реимбурсации), при этом, в 2016 г. 69,7% затрат НФЗ приходилось на лекарственную терапию распространенных заболеваний и оплату ЛС с широким спектром показаний к применению, 25,0% – на инновационные ЛС и лечение заболеваний, затрагивающих относительно небольшие группы пациентов; 5,3% – на противоопухолевые препараты и поддерживающую терапию.

Органы территориального самоуправления определяют приоритеты политики и распределе-

ния ресурсов в сфере здравоохранения и оказания медицинских услуг. Медицинская помощь в объеме, соответствующем стандартам, может оказываться как государственными, так и частными организациями здравоохранения в зависимости от того, с какими организациями Национальным фондом здравоохранения заключены контракты на предоставление медицинских услуг.

Растущие макроэкономические проблемы (по старение населения, увеличение продолжительности жизни, ранний выход на пенсию, дефицит государственного бюджета) и наблюдаемые тенденции в заболеваемости (рост онкологической заболеваемости, распространенность ожирения, диабета, дислипидемии, бронхиальной астмы, деменции) приводят к формированию длинных списков ожидания и создают неравный доступ к медицинскому обслуживанию: 64% опрошенных пациентов отметили проблемы с доступом к медицинским услугам, финансируемым из общественных источников (НФЗ). Польская система здравоохранения, по оценке пациентов, в 2016 г. заняла 31-е место в Европе, что нашло количественное выражение в 564 баллах из 1000 возможных. Среди прочего, был отмечен и весьма ограниченный доступ нуждающихся к орфанным лекарственным препаратам (ОЛП).

Редкие заболевания и орфанные лекарственные препараты: политика оплаты и компенсации. Считается, что отдельное редкое (орфанное) заболевание (РЗ) затрагивает небольшой процент населения. Единого определения для РЗ не существует, так как отсутствует единый критерий отнесения заболеваний к этой группе. В каждой стране утверждаются собственные критерии отнесения к орфанным заболеваниям и перечень таких заболеваний, который также принимается в каждой стране отдельно в зависимости от количества людей, страдающих этим заболеванием, доступности лечения болезни, возможности влиять на ее течение и других факторов. Понятие «редкое заболевание» в достаточной степени относительно, так как редкие заболевания могут быть действительно таковыми в одной части света и распространенными – в другой; частота заболевания также изменяется во времени. Критерий «редкости», по крайней мере, для крупных государств, должен устанавливаться на национальном уровне, и при этом в дальнейшем он может быть пересмотрен по результатам эпидемиологического мониторинга. Так, в США РЗ – любое заболевание или состояние, которое поражает менее 200 тыс. чел., или примерно 1 из 1500. В Европе заболевание или патологиче-

ское состояние относят к категории редких, если они представляют угрозу для жизни или хронически прогрессируют, и уровень заболеваемости не превышает 5 случаев на 10 тыс. чел., или 1 на 2000, очень редкими считаются заболевания (NICE, 2004), встречающиеся с частотой менее 1:50000 (пропорционально населению Польши, в стране этой болезнью должны страдать не более 750 чел.). В Японии к редким относят заболевания, которыми страдают менее 50 тыс. чел., или примерно 1 из 2500.

В то время как по отдельности эти заболевания могут считаться редкими, в совокупности они таковыми не являются. По имеющимся оценкам, у 8% населения планеты имеется одно из 6000–8000 РЗ, около 36 миллионов европейцев уже страдают или рискуют получить в будущем подобное заболевание, в Польше 2,5 млн чел. страдают редкими заболеваниями.

Около 50% страдающих редкими заболеваниями в мире – дети. 80% редких заболеваний имеют в своей основе различные генетические расстройства, часто они возникают из-за определенного нарушения функции (дефектный ген или белок). Как группа, они не имеют ничего общего, их объединяет только редкая встречаемость в человеческой популяции. Окончание проекта Human Genome стимулировало идентификацию редких генетических заболеваний, что будет отражено в 11-м выпуске Международной классификации болезней и проблем, связанных со здоровьем. Целью Международного исследовательского консорциума по редким заболеваниям (International Rare Diseases Research Consortium, IRDiRC) является разработка методов лечения для 200 новых редких болезней к 2020 году.

В силу относительно небольшой распространенности в отдельно взятой стране, большой «разбросанности» популяций больных, исследования РЗ и ОЛП не только ограничены, но и часто проводятся во многих клиниках, находящихся в различных странах. Эта ограниченность экспертной оценки и клинической практики приводит к затруднениям и несвоевременной постановке диагноза, разработке меньшего количества ОЛП, их крайне высокой стоимости, которая не позволяет обеспечить доступность этих препаратов для всех нуждающихся. В связи с этим, необходимо тесное сотрудничество на международном уровне, что позволит проводить исследования с участием большего числа пациентов, привлекать к разработке новых методов диагностики и лечения и проведению комплексной оценки ОЛП специалистов и экспертов из разных стран.

В рекомендациях Европарламента по разработке и совершенствованию методов диагностики, лечения и оказания медицинской помощи гражданам ЕС, страдающим РЗ, определены три основных направления исследований:

улучшение диагностики РЗ;

усиление сотрудничества и координации для исследования РЗ и ОЛП на уровне ЕС;

поддержка национальных планов по РЗ в государствах-членах ЕС.

Политика оплаты и компенсации (ОиК) для орфанных лекарственных препаратов. Затраты стран ОЭСР на фармацевтические препараты достигли почти 20% общих расходов на здравоохранение, что, в среднем, эквивалентно 1,4% ВВП. В связи с этим, проведение соответствующей политики оплаты и компенсации (ОиК) ЛС является ключевым фактором в поддержании баланса между обеспечением своевременного и равного доступа к ОЛП для нуждающихся пациентов, сохранением финансовой состоятельности и стабильности государственных систем здравоохранения и правовым регулированием системы принятия решения по оценке инноваций и финансированию их внедрения за счет государственных средств.

Текущая политика в отношении ОЛП является неудовлетворительной практически во всех отношениях, так как: а) доступ пациентов к дорогостоящим препаратам во многих случаях ограничен по экономическим причинам; б) затратив огромные средства на разработку ОЛП, производители сталкиваются с нежеланием общественного плательщика оплачивать их применение; в) в большинстве случаев затраты на R&D ОЛП не окупаются.

Задачи политики ОиК в отношении РЗ и ОЛП:

1. Лучшее понимание механизмов развития РЗ и преобразование этих знаний в кратчайшие сроки в новые методы диагностики и лечения этих заболеваний.

2. Усовершенствование методологии проведения клинических исследований в небольших популяциях с целью демонстрации безопасности и эффективности потенциальных орфанных препаратов.

3. Разработка и усовершенствование методов оценки медицинских технологий (ОМТ; Health Technology Assessment, HTA), которые могут применяться в отношении РЗ и ОЛП.

4. Создание объединенных реестров пациентов, баз данных исследований РЗ, поощрение обмена информацией между различными странами, организациями и исследователями.

Текущая задача – разработка альтернативных вариантов процесса обмена информацией о дизайне исследования, выборе критериев эффективности и инструментах НТА на ранних стадиях исследований и разработки препаратов (до фазы III клинических исследований).

Следует отметить, что при проведении работ по ОМТ и разработке критериев компенсации (возмещения затрат) возможно использование утилитарного (ОМТ на основе принципов и методов доказательной медицины с определением инкрементального коэффициента приращения затрат (incremental cost-effectiveness ratio, ICER) и проведением анализа влияния на бюджет (budget impact analysis, BIA), осуществляемая в отношении неорфанных ЛС, применяемых при лечении распространенных заболеваний), уравнительного (в отношении ЛС, используемых при лечении очень редких заболеваний) или смешанного (утилитарно-уравнительного) подхода.

Рекомендации по финансированию от большинства агентств НТА до сих пор основываются на расчете ICER. Однако, сейчас активно обсуждается новый подход к оценке орфанных ЛС для включения их в формуляры и позитивные списки и обеспечения, тем самым, государственного финансирования и возмещения затрат – многокритериальный анализ принятия решения (МАПР, Multicriteria Decision Analysis, MCDA). Сторонники применения MCDA в здравоохранении, к которым относятся такие авторитетные организации, как ВОЗ и ISPOR, утверждают, что механизмы установления приоритетов, используемые в настоящее время, не принимают во внимание весь спектр относящихся к делу критериев. Метод MCDA превосходит существующие подходы, так как позволяет устанавливать более полный набор параметров, которые будут учитываться. Это помогает сформировать более целостный подход для оценки общей стоимости лекарственного средства и охватить более широкий спектр заинтересованных сторон с целью балансирования различных и потенциально противоположных интересов.

При многокритериальном анализе принятия решения оцениваются клинический, экономический, этико-социальный, инвестиционный аспекты. К обсуждению привлекаются не только организации здравоохранения, но и пациенты, клиницисты. Строится пошаговая модель. На начальном этапе внедрения многокритериальный анализ принятия решения является способом оптимизации диалога между заинтересованными сторонами: лицами, принимающими решение, пациентами,

клиницистами. На базовом, среднем, уровне результаты MCDA могут быть ориентиром количественной оценки при принятии решений, а через несколько лет, при достижении продвинутого уровня, будет создана единая градуированная шкала принятия решений на основе этого метода.

В работе M.Berdud, M.Drummond и A.Towse “Establishing a Reasonable Price for an Orphan Drug”, представленной в ноябре 2017 г. в Глазго (Великобритания) на 20-м ежегодном европейском конгрессе ISPOR, предложен подход к расчету скорректированной (АСЕТ) максимальной компенсируемой пороговой величины затратной эффективности (cost-effectiveness threshold, CET), то есть определению порога готовности платить со стороны общества за лечение редких и очень редких заболеваний, при котором учитываются затраты на исследования и разработки и объемы продаж орфанных и неорфанных препаратов:

$$АСЕТ = (y/Xi) * CET,$$

где $i = \{O, UO\}$ (O – орфанный ЛП, UO – ультраорфанный ЛП, применяемый при лечении очень редких заболеваний);

X_i – соотношение размеров популяции пациентов, использующих орфанные (или ультраорфанные) ЛП, и популяции пациентов, нуждающихся в неорфанных ЛП (размеры популяций пациентов, страдающих редкими и очень редкими заболеваниями, рассчитываются на основе определений ЕМА и NICE);

y – соотношение стоимости исследований и разработки орфанных и неорфанных лекарственных препаратов.

Расчет сделан, исходя из предположений, что ожидаемый производителем объем возмещения затрат по орфанному ЛП не должен превышать средний уровень возмещения по всем производимым продуктам, при этом, максимальная компенсируемая пороговая величина затратной эффективности в случае ОЛП должна быть выше по сравнению с неорфанными ЛП, и эта величина должна возрастать при уменьшении целевой популяции пациентов, страдающих редкими или очень редкими заболеваниями.

Регулирование применения орфанных лекарственных препаратов в Польше. В настоящее время в Польше отсутствует специальный механизм ОМТ и возмещения затрат при использовании ОЛП. Компенсация производится на тех же основаниях, что и для ЛС, применяемых при лечении распространенных заболеваний. Отсутствуют специфические критерии компенсации для ОЛП (фармакоэкономическая экспертиза проводится в полном объеме, никакие изъятия из отче-

та НТА не предусмотрены) и специальный бюджет для финансирования ОЛП.

Затраты на лекарственные препараты для некоторых орфанных заболеваний компенсируются, в основном, в рамках утвержденных программ лечения отдельных заболеваний.

Отсутствует практика применения ОЛП из гуманных соображений. Использование жизненно необходимых ОЛП, зарегистрированных за пределами Польши, зависит от единоличного решения Министра здравоохранения и может быть оплачено с его согласия Национальным фондом здравоохранения для конкретного пациента. При этом, безвозмездная передача ОЛП разработчиком/дистрибьютором облагается налогом, что дополнительно ограничивает потенциальное применение этих препаратов из гуманных соображений.

В силу высокой стоимости ОЛП, существенным препятствием для принятия положительного решения по реимбурсации и определения ее лимита в результате стандартной процедуры ОМТ является установленное законом о реимбурсации от 12.05.2011 г. пороговое значение стоимости года качественной жизни, равное 3-кратному размеру ВВП на душу населения в год (130 тыс. злотых, или 30,5 тыс. евро).

Переговоры с разработчиками/заявителями/спонсорами ЛС и заключение соглашений о повышении доступности инновационных ЛС, в том числе, ОЛП, для пациента (patient-access schemes), регулируемом доступе (managed entry agreements, MEA), разделении финансовых рисков (risk sharing agreements, RSA), альтернативном ценообразовании (alternative pricing schemes) – также часть стандартной процедуры ОМТ. В Польше существуют практические примеры заключения соглашений по всему спектру RSA – основанных как на достижении финансовых показателей (соглашения об ограничении верхнего предела расходов бюджета; соглашения об ограничениях использования препарата; соглашения о предоставлении скидки на фиксированный объем поставок; соглашения по объему и цене, при которых цена основывается на прогнозируемых объемах продаж; соглашения об окупаемости – частичном возвращении возмещаемой стоимости юридическому лицу), так и на достижении результатов лечения (соглашения о возмещении затрат в зависимости от результата лечения, соглашения о возмещении затрат при условии получения дополнительных доказательных данных). В соответствии с предпочтениями плательщика, 95% соглашений основаны на достижении финансовых показателей.

В плане улучшения доступности ОЛП в Польше ведутся работы по разработке национальной лекарственной политики, Национального плана по редким заболеваниям и ОЛП, созданию медицинских реестров, применению MCDA для оценки ОЛП, установлению приемлемой цены на ОЛП (инициатива V+).

Национальный план по редким заболеваниям и ОЛП, который планируется разработать до конца 2018 г., будет содержать оценку лекарственного обеспечения орфанными препаратами с позиции общественного здравоохранения (меры по поддержке пациентов с РЗ и их семей, координированное внедрение медицинских услуг), мероприятия по созданию реестра РЗ, включая разработку стандартов медицинской помощи и рекомендаций по лечению, мониторинг заболеваемости и качества оказываемых услуг; перечень мер по обеспечению доступности лечения РЗ для польских пациентов, в том числе, выделение в бюджете специальных средств, предназначенных на лечение РЗ, сокращение сроков оформления компенсации.

В рамках Вышеградской группы Польшей выдвинута инициатива по установлению приемлемой цены на инновационные ЛС в рамках предлагаемого единого процесса ее согласования в странах Центральной и Восточной Европы. В марте

2017 г. заключен меморандум о взаимопонимании, в настоящее время работа по согласованию продолжается.

DRUG SUPPLY FOR THERAPY OF RARE (ORPHAN) DISEASES IN POLAND

Joanna Lis

ISPOR Poland Chapter, Polish Pharmacoeconomics Society, 3, office 55, Sliska Str., 00-127, Warsaw, Republic of Poland

Approaches to orphan drugs' pricing and reimbursement, realizing in Poland in accordance with national legislation and European Parliament's recommendations, are characterized.

Keywords: rare (orphan) diseases; orphan drugs; drug supply; legal regulation; European Union; Poland.

Сведения об авторе:

Йоанна Лис (Joanna Lis), MSc (математика и физика), MBA, PhD (медицина: биостатистика и компьютерное моделирование); экс-президент Польского отделения ISPOR, член Совета директоров Польского отделения ISPOR; Медицинский университет в Варшаве, фармацевтический факультет, доцент кафедры фармакоэкономики; e-mail: biuro@farmakoeconomika.pl.