

VYSOCE INOVATIVNÍ PŘÍPRAVKY: SOUČASNÁ PRAXE, SPRÁVNÍ ŘÍZENÍ 2018-2019, PROBLÉMY, VÝZVY

Leona Popelková

Oddělení hodnocení léčiv

Praha, 17. 9. 2019

Osnova prezentace

Obecná část

- Úvod
- Legislativní úprava
- Specifika statutu VILP

Dočasná úhrada a trvalá úhrada VILP

- Požadavky během řízení a po jeho ukončení

Rozhodovací praxe SÚKL

- Hodnocení nákladové efektivity a dopadu na rozpočet
- Závazek VILP

Risk-sharingové dohody

Jak v budoucnu?

Obecná část: úvod

👁️ Dvojitá možnost vstupu léčiv do systému úhrad:

a) Dočasná úhrada

- LP nezařazené do referenční skupiny splňující odborná kritéria VILP + ostatní náležitosti

b) Trvalá úhrada

- LP nezařazené do referenčních/“pseudoreferenčních“ skupin
- LP zařazené do referenčních/“pseudoreferenčních“ skupin

- generika/biosimilars
- podobné přípravky

Obecná část: legislativa VILP

👁 § 39d zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění (ZoVZP)

- Zásady pro úhradu vysoce inovativních přípravků (VILP)

👁 § 40 až 44 vyhlášky č. 376/2011 Sb.

- Odborná kritéria pro posuzování VILP
- Závazek dle § 39d odst. 3 ZoVZP
- Podmínky, za kterých mohou specializovaná pracoviště podávat VILP
- Rozsah údajů předávaných zdravotním pojišťovnám a držiteli rozhodnutí o registraci

Obecná část: specifika statutu VILP

| VILP | bez statutu VILP |
|---|--|
| Definovaná míra přínosu pro účinnost/bezpečnost podle zákonných ustanovení (ev. neexistence alternativy) (§ 40 vyhlášky 376/2011 Sb.) | Podmínka doložení účinnosti a bezpečnosti, oproti relevantním komparátorům |
| Nákladovou efektivitu (NEF) není nutné <u>pro dočasnou úhradu</u> VILP prokázat | Vždy podmínka průkazu nákladové efektivity |
| Dopad na rozpočet <u>u dočasné úhrady</u> není posuzován (limitace dopadu ošetřena závazkem VILP) | Vždy podmínka akceptovatelného dopadu na rozpočet (možná dohoda s plátcí) |

Obecná část: specifika statutu VILP

| VILP | bez statutu VILP |
|--|---|
| <p>Povinnost sběru dat v registru VILP <i>(probíhá řízeně, na základě schválené projektové dokumentace podléhající oponentuře odborné společnosti, zdravotních pojišťoven a za účasti SÚKL a MZ, proces koordinuje Kancelář zdravotního pojištění)</i></p> | <p>Bez povinnosti sběru dat <i>(v některých případech sběr dat z iniciativy odborných společností - specializované registry, např. TULUNG, BREAST, RENIS, apod.)</i></p> |
| <p>Nutnost předložení závazku v souladu s ustanovením § 39d odst. 3 zákona o veřejném zdravotním pojištění , ve kterém je zakotveno i jisté sdílení rizik: <i>„Žadatel je dále povinen prokázat, jakým způsobem zajistí ... hrazení nákladů na doléčení pacienta vysoce inovativním léčivým přípravkem po uplynutí doby , na kterou byla stanovena dočasná úhrada, až do převedení pacienta na jinou terapii“</i></p> | <p>-</p> |

Obecná část: specifika statutu VILP

| VILP | bez statutu VILP |
|--|--|
| Úhrada vypočtena dle § 39d zákona č. 48/1997 Sb. a dle § 44 vyhlášky č. 376/2011 Sb. (kalkulace úhrady ve výši nejnižší zahraniční nebo české ceny výrobce konkrétního přípravku v odpovídající síle a velikosti balení) | Úhrada vypočtena dle § 39c zákona č. 48/1997 Sb. a dle § 25 - § 31 vyhlášky č. 376/2011 Sb. (kalkulace úhrady dle vnější cenové reference se všemi terapeuticky zaměnitelnými přípravky) |
| Stanovení MC: jestliže nelze použít postup dle § 39a odst. 2 písm. a) - VCR, průměr cen ze 3 zemí RK, MC se stanoví dle průměru cen výrobce ze 2 zemích RK | |
| Není stanovena ODTD (obvyklá denní terapeutická dávka) ani základní úhrada/ODTD | Je stanovena ODTD i základní úhrada/ODTD |
| Součástí podmínek úhrady je symbol „S“ (specializovaná pracoviště) | Podmínky úhrady nemusí obsahovat symbol „S“ |

Dočasná úhrada VILP: podmínky

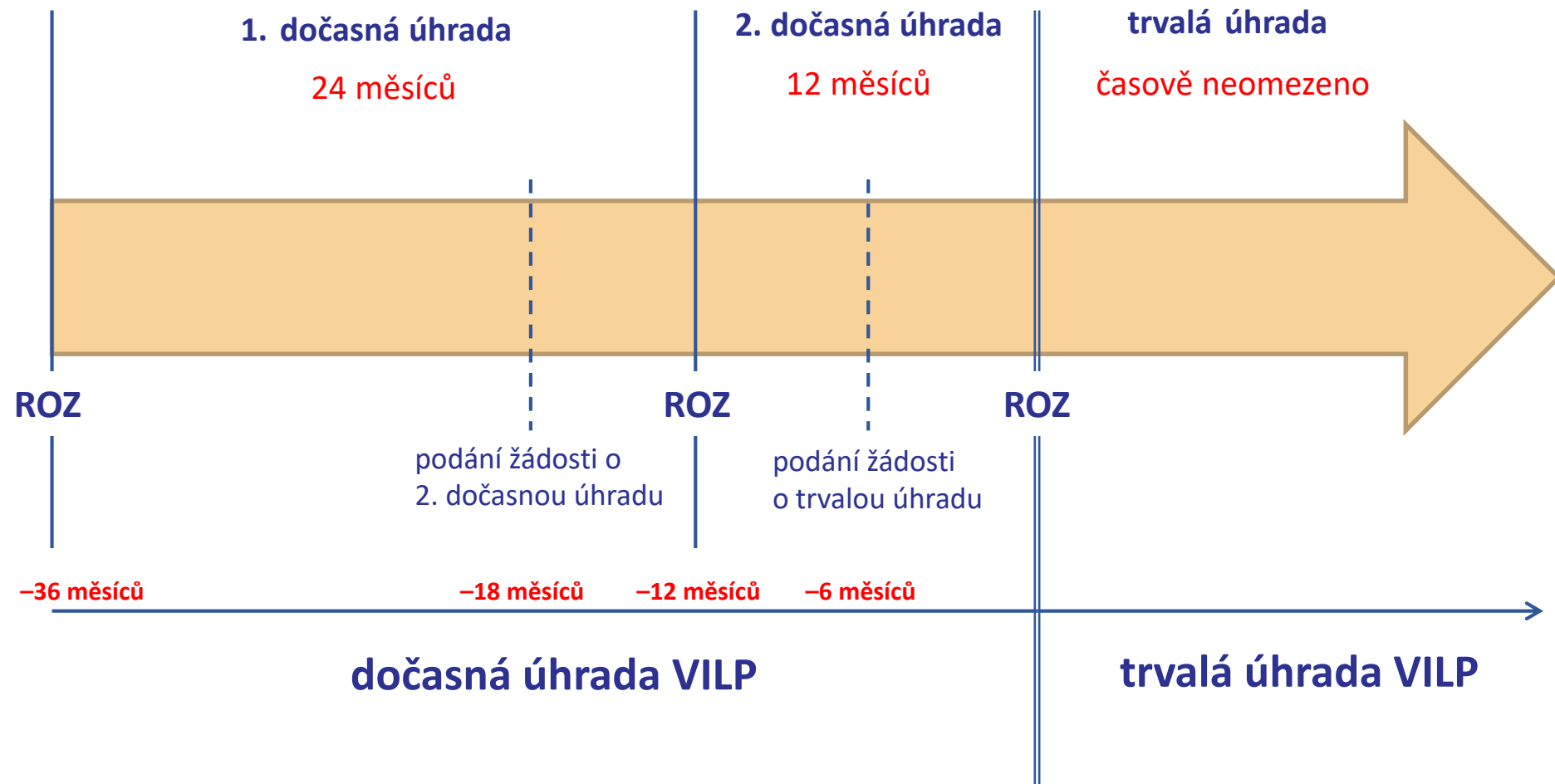
- ☉ Ústav stanoví výši a podmínky úhrady (VaPÚ) vysoce inovativnímu léčivému přípravku (VILP), u něhož není znám dostatek údajů
 - o nákladové efektivitě nebo
 - výsledcích léčby při použití v klinické praxi

- ☉ Odůvodňují-li dostupné údaje dostatečně průkazně přínos VILP v léčbě vysoce závažného onemocnění a splňuje-li ostatní podmínky pro přiznání úhrady

- ☉ Je-li hrazen alespoň ve 2 zemích referenčního koše

- ☉ **Dispoziční zásada**
 - Stanovení dočasné úhrady ve statutu VILP probíhá ve správních řízeních na žádost vždy na **základě žádosti žadatele**
 - **Ústav není oprávněn rozhodovat nad rámec žádosti**

Dočasná úhrada VILP: časová linka



Dočasná úhrada VILP: podmínky

🌀 Pro stanovení druhé dočasné úhrady je třeba doložit výsledky hodnocení uvedených v § 39d odst. 3 ZoVZP

- průběžné hodnocení terapie VILP (Analytický report databáze VILP)
 - zdroj pro odhad počtu léčených pacientů, kalkulace nákladů (dávka, doba na léčbě, souběžná terapie)
 - mohou existovat rozdíly v základních charakteristikách oproti klinické studii, absence komparativního ramene, krátká doba sledování
 - při použití dat z registru je třeba použít pokročilejší statistické metody (propensity score, MAIC)

- hodnocení NEF, BIA, limitace dopadu

Dočasná úhrada VILP: Závazek dle § 39d odst. 3 ZoVZP

- 👁 Akceptace pouze oboustranných závazků, tj. uzavřené se všemi ZP
- 👁 V případě porušení závazku nestanoví Ústav druhou dočasnou úhradu
- 👁 „Žadatel je povinen prokázat jakým způsobem zajistí
 - a) Průběžné hodnocení terapie posuzovaným VILP
 - b) Limitaci dopadu dočasné úhrady na prostředky zdravotního pojištění
 - c) Hodnocení nákladové efektivity
 - d) Hrazení nákladů na doléčení pacienta po uplynutí doby dočasné úhrady, do doby převedení na jinou terapii“

Dočasná úhrada VILP: Hodnocení farmakoekonomických analýz

- 👁️ Ústav provede standardní posouzení farmakoekonomických analýz v souladu s metodikami SP-CAU-027 a SP-CAU-028*
- 👁️ Prokázání nákladové efektivity není s odkazem na ustanovení § 39d odst. 1 ZoVZP vyžadováno
 - Hodnota ICER není porovnávána s hranicí ochoty platit
- 👁️ Výsledek analýzy dopadu na rozpočet není s odkazem na ustanovení § 39d odst. 3 ZoVZP posuzován
 - Limitace dopadu na rozpočet ošetřena závazkem dle § 39d odst. 3 ZoVZP
- 👁️ Výsledek předložených farmakoekonomických analýz musí být přezkoumatelný a spolehlivě určený

* Dostupné na: <http://www.sukl.cz/leciva/podklady-ke-spravnim-rizenim>

Trvalá úhrada VILP: podmínky

- ☞ Jestliže jsou odborná kritéria (§ 40 vyhlášky č. 376/2011 Sb.) splněna i po uplynutí dočasné úhrady, může být LP hrazen v trvalé úhradě jako VILP
 - neexistence trvale hrazené alternativy
 - klinicky významně vyšší účinnost/bezpečnost oproti stávající hrazené terapii, atd.

Stanovisko MZ „VILP je v ustanovení § 40 prováděcí vyhlášky definován skrze jeho kvalitativní vlastnosti. Je přitom zřejmé, že těmito vlastnostmi přípravek disponuje bez ohledu na režim, v rámci kterého je hrazen z veřejného zdravotního pojištění.“

- ☞ Ústav provede standardní hodnocení farmakoeconomických analýz v souladu s metodikami SP-CAU-027 a SP-CAU-028
 - důraz na **přezkoumatelnost a kvalitu předložených analýz**

Trvalá úhrada VILP: podmínky

- 👁️ Výsledek analýzy nákladové efektivity je porovnán s hranicí ve výši 1,2 milionu Kč/QALY dle rozhodovací praxe SÚKL
- 👁️ Výsledek analýzy dopadu na rozpočet vyhodnocen dle rozhodovací praxe SÚKL
- 👁️ **Nepříznivé výsledky FE analýz jsou důvodem k nepřiznání úhrady**
 - na rozdíl od dočasné úhrady

Rozhodovací praxe SÚKL: Hodnocení NEF, BIA

- 👁️ Ústav nově i v řízeních o stanovení dočasné úhrady požaduje nejvyšší možnou úroveň kvality farmakoekonomických analýz
 - vyzývání k doplnění FE analýz (výzva k součinnosti)
 - cílem je prezentace relevantních výsledků již v 1. řízení

- 👁️ Důvody změny v přístupu:
 - vypovídání závazku mezi žadatelem a POJ
 - odvolávání POJ v SŘ o stanovení první dočasné úhrady z důvodu „nedostatečně“ zhodnocených FE analýz
 - nedostatečná kvalita podání se žádostí o trvalou úhradu, nutnost výzev, hrozící „vypadnutí VILP“ ze Seznamu hrazených LP

- 👁️ **Očekávaným přínosem je zlepšení kvality analýz předkládaných následně v žádosti o trvalou úhradu**

Rozhodovací praxe SÚKL: Závazek VILP

- 👁 SÚKL nově v řízeních o stanovení první dočasné úhrady nepožaduje závazek VILP již při předložení žádosti
- 👁 Pokud není závazek VILP doručen do doby vydání hodnotící zprávy
→ negativní hodnotící zpráva, návrh na zamítnutí žádosti
- 👁 Nutnost doložení závazku VILP **nejpozději ve lhůtě pro vyjádření se k podkladům pro rozhodnutí**, případně zaslat žádost o přerušení řízení se zachováním lhůty. Po vypršení lhůty bude vydáno rozhodnutí podle HZ.
- 👁 Důvody změny v přístupu:
→ urychlení procesu stanovení první dočasné úhrady (resp. vydání první hodnotící zprávy)

Risk-sharingové dohody

👁 *„Nástroje, které umožní lék podávat nemocným, a to tak, že rozloží ekonomické náklady (rizika), aby se na nich nad rámec pravidel dané země podílela farmaceutická firma“*

(převzato z:<https://www.tribune.cz/clanek/42628-cost-sharing-a-risk-sharing-aneb-proc-do-krize-zdravotnictvi-vice-nezapojime-farmaceuticke-firmy-ktere-krizi-nemaji>)

👁 Jeden z nástrojů umožňující včasnější přístup pacientů k nové léčbě

Risk-sharingové dohody

- ☉ Široká škála nástrojů charakterizovaných odlišnou distribucí rizika mezi plátcem (zdravotní pojišťovny) a výrobcem (MAH), než je distribuce řízená běžnou praxí
- ☉ Čistě finanční schémata (financial-based) vs. schémata založená na výsledku (outcome-based)
- ☉ VILPy, první dočasná úhrada: závazek VILP vyžadován zákonem, v ostatních případech možnost uzavření risk-sharingové dohody (na bázi dobrovolnosti)
- ☉ **SÚKL je v roli „pozorovatele“, resp. nezávislé agentury zohledňující informaci o uzavřených dohodách ve správních řízeních**
- ☉ Dostupnost nové terapie (možnost urychlení vstupu nových molekul do systému úhrad)

Správní řízení: VILP vs. neVILP (nové LL, nové indikace)

| Typ řízení | Počet zahájených SŘ 2018 | Počet zahájených SŘ 2019 (Q1 – Q3) |
|--|-----------------------------|--|
| VILP (stanovení MC+VaPÚ, stanovení VaPÚ) | 6 | 11 |
| neVILP (nové léčivé látky dosud nehrazené) | 55 | 45 |
| neVILP (změny VaPÚ – nové indikace) | 31 | 32 |

VILPY v roce 2018: 6 žádostí

- 1) AVASTIN (bevacizumab), 2. VILP
 - platina rezistentní ovariální karcinom (kombinační režim s paklitaxelem)
- 2) DARZALEX (daratumumab), 1. VILP
 - kombinační léčba relabujícího/refrakterního MM
- 3) IMNOVID (pomalidomid), trvalá úhrada VILP
 - kombinační léčba relabujícího/refrakterního MM
- 4) OPDIVO (nivolumab), 1. VILP
 - pokročilý maligní melanom u pacientů, kteří byli léčeni systémovou léčbou (v monoterapii)
- 5) ADEMPAS (riocigvat), trvalá úhrada VILP
 - chronická tromboembolická plicní hypertenze (inoperabilní nebo reziduální či rekurentní CTEPH po plicní endarterektomii)
- 6) ADCETRIS (brentuximab vedotin), 1. VILP
 - v indikaci léčby dospělých pacientů s relabujícím nebo refrakterním systémovým anaplastickým velkobuněčným lymfomem (v monoterapii)

Approved! **STIN**
zumab 2.
 ovariální karcinom

Approved! **ALEX**
numab 1.
 mnohočetný myelom

Approved! **DVID**
omid T
 mnohočetný myelom



OPDIVO
nivolumab 1.
 maligní melanom

Approved! **ADEMPAS**
quat T
 nická
 tromboembolická plicní
 hypertenze

ADCETRIS
brentuximab vedotin 1.
 anaplastický velkobuněčný
 lymfom

1. = první dočasná úhrada
 2. = druhá dočasná úhrada
 T = trvalá úhrada

VILPY v roce 2019: 11 žádostí

- 1) AVASTIN (bevacizumab), 2. VILP 
 - rekurentní nebo metastazující karcinom žaludku
- 2) ADCETRIS (brentuximab vedotin), 1. VILP
 - relabující nebo refrakterní HL, po nejméně dvou liniích předcházející léčby
- 3) 3x KEYTRUDA, (pembrolizumab) 1. VILP – 3 správné řízení
 - pokročilý uroteliální karcinom, u pacientů nevhodných k cisplatině, expresí PD-L1 ≥ 10
 - SQ NSCLC + nonSQ NSCLC, kombinace s chemoterapií
- 4) KYPROLIS (karfilzomib), 2. VILP
 - mnohočetný myelom, po předchozí léčbě
- 5) REVLIMID (lenalidomid), 1. VILP
 - udržovací léčba u MM, po autologní transplantaci
- 6) VENCLYXTO (venetoklax), 1. VILP
 - léčba CLL v monoterapii po selhání chemoterapie a inhibitoru B-buněčného receptoru
- 7) JINARC (tolvaptan), 1. VILP
 - polycystická choroba ledvin autozomálně dominantního typu
- 8) CYRAMZA (ramucirumab), 2. VILP
 - pokročilý karcinom žaludku nebo gastroesofageální jankce, po předchozí chemoterapii
- 9) BLINCYTO (blinatumomab), 2. VILP
 - ALL, po předchozí chemoterapii

Poznámky na závěr

- 👁️ Jeden LP může mít více VILP úhrad
- 👁️ Jeden LP může být hrazen v rámci trvalé neVILP i VILP úhrady v různých indikacích
- 👁️ SŘ o stanovení/změně trvalé úhrady může probíhat současně se správním řízením o stanovením úhrady VILP – není litispendence
- 👁️ VILP v dočasné úhradě jako hlavní komparátor – nelze, pouze doplňkový scénář
- 👁️ VILP ve SCAU – není úhrada/ODTD (v poli EKV je uvedena úhrada za balení), není ODTD (uvedena síla), platnost dočasné úhrady

VILP ve SCAU

<http://www.sukl.cz/sukl/seznam-leciv-a-pzlu-hrazenych-ze-zdrav-pojisteni>

| S | | T | | U | | V | | W | | X | | Y | | Z | | AA | |
|----------|---|----------|---|-----------|---|------------------|---|------|---|------|---|------|---|-------|---|--------------|---|
| UHR1 | ▼ | JUHR1 | ▼ | LEG_JUHR1 | ▼ | ODKAZ_JUHR1 | ▼ | LIM1 | ▼ | OME1 | ▼ | IND1 | ▼ | PUHR1 | ▼ | JUHR1_PLATDO | ▼ |
| 67821,33 | | 58555,53 | | 1 | | SUKLS103904/2016 | | S | | | | P | | | | 01032020 | |
| 19366,60 | | 16200,00 | | 1 | | SUKLS155956/2015 | | S | | | | P | | | | 01022020 | |
| 29249,99 | | 24839,33 | | 1 | | SUKLS25452/2017 | | S | | | | P | | | | 01102020 | |
| 39000,00 | | 33362,06 | | 1 | | SUKLS25452/2017 | | S | | | | P | | | | 01102020 | |
| 54277,46 | | 46716,49 | | T | | SUKLS155/2017 | | S | | | | P | | | | | |
| 14660,85 | | 12086,58 | | T | | SUKLS155/2017 | | S | | | | P | | | | | |
| 54277,46 | | 46716,49 | | T | | SUKLS398765/2017 | | S | | | | P | | | | | |
| 14660,85 | | 12086,58 | | T | | SUKLS398765/2017 | | S | | | | P | | | | | |
| 45829,10 | | 39331,56 | | T | | SUKLS19330/2014 | | S | | | | P | J | | | | |
| 10006,21 | | 8055,24 | | T | | SUKLS131970/2016 | | S | | | | P | | | | | |

| LEG_JUHR1 | C | | | |
|-----------|---|---|------------------------------|--|
| LEG_JUHR1 | C | 1 | právní základ jádrové úhrady | Právní základ pro stanovení výše a podmínek jádrové úhrady LP/PZLÚ ze zdravotního pojištění; nabývá hodnot: 1 – první dočasná úhrada vysoce inovativního léčivého přípravku dle § 39d zákona č. 48/1997 Sb. 2 – druhá dočasná úhrada vysoce inovativního léčivého přípravku dle § 39d zákona č. 48/1997 Sb. A – ex lege (ze zákona) úhrada léčivého přípravku obsahujícího léčivou látku vyjmenovanou v §15 odst. 4 zákona č. 48/1997 Sb., ve znění pozdějších předpisů ve výši ceny původce nejméně ekonomicky nákladné varianty. E – rozhodnutí o výši a podmínkách první dočasné úhrady vysoce inovativního léčivého přípravku dosud nenabylo právní moci a je předběžně vykonatelné F – rozhodnutí o výši a podmínkách druhé dočasné úhrady vysoce inovativního léčivého přípravku dosud nenabylo právní moci a je předběžně vykonatelné G – stanovena ex lege, tj. stanovena ze zákona podle § 39g odst. 9 zákona č. 48/1997 Sb. M – stanoveno vyhláškou Ministerstva zdravotnictví č. 63/2007 Sb. a platnost se řídí zákonem č. 261/2007 Sb. O – snížení úhrady jako součást opatření schváleného vládou k zajištění finanční stability systému zdravotního pojištění dle § 39i odst. 3 zákona č. 48/1997 Sb. P – přechodné snížení úhrady ex lege, tj. přechodné snížené úhrady ze zákona Q – přípravky s úhradou přímo ovlivněnou US, které nemají úhradu ve výši úhrady vítěze US S – stanovena nebo změněna ve správním řízení podle zákona č. 48/1997 Sb. ve znění účinném od 1.1.2008 T – trvalá úhrada vysoce inovativního léčivého přípravku dle § 39d odst. 4 zákona č. 48/1997 Sb. |

VILP - PROS:

- úhrada na 3 roky bez povinnosti průkazu nákladové efektivity, pouze limitace dopadu
- v odůvodněných případech možnost vstupu LP s klinickými daty ze studií bez komparátoru
- obvykle rychlejší vstup do úhrad (nemusí být vždy pravidlem)

VILP - CONS:

- povinnost vést registr (náklady, administrativní zátěž)
- uzavření závazku – v případě kdy LP ztratí úhradu povinnost hradit léčbu u rozlěčených pacientů (u terapií s předpokladem dlouhodobé léčby může být významné)

Co zvážit před podáním žádosti jestliže LP splňuje odborná kritéria VILP

- jaká je pravděpodobnost že po 3 letech prokážu nákladovou efektivitu (dosažení lepších výsledků v klinické praxi, výrazné snížení nákladů...)?
- budu mít po 2,5 letech trvání dočasné úhrady dostatek evidence pro stanovení trvalé úhrady?
- je pravděpodobnost vstupu jiného LP do úhrad, který by mohl ovlivnit status VILP mého přípravku v průběhu první dočasné úhrady („zbytečné“ zakládání registru)

VILP – výhled do budoucna

Změna datového rozhraní SCAU

- Změna v souvislosti s možným stanovením v pořadí 4. úhrady (VILP)
- Doplnění pole s údajem o počtu úhrad. V případě 4 a více – uvedení v samostatném číselníku

Novela zákona č. 48/1997 Sb. o v.z.p. 2020-2021?

- Změny v části týkající se stanovení úhrady VILP (délka dočasné úhrady, změna v odborných kritériích pro stanovení VILP,...)
- Nová cesta pro vstup LP pro vzácná onemocnění, která nesplní podmínku nákladové efektivity do systému úhrad



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