



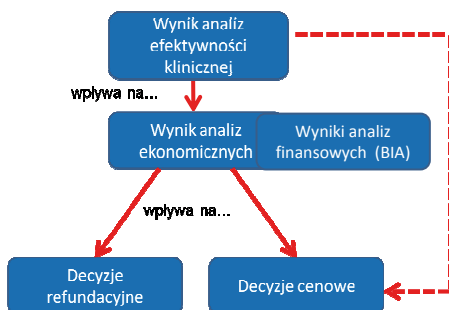
HTA (Health Technology Assessment)

Ocena leków biologicznych i biopodobnych stosowanych w określonych wskazaniach **podlega tym samym generalnym regułom**, co inne technologie terapeutyczne, jednak **specyfika interwencji** rodzi:

1. Trudności decyzyjne, a więc również ,związane z tym
2. Trudności analityczne



Wpływ niepewności oszacowań



Wytoczne AOTM mają ograniczyć złą praktykę

Niepewność oszacowań w mniejszym lub większym stopniu **dotyczy wyników wszystkich wymaganych na rzecz refundacji i ustalania cen, analiz**, a więc: analizy efektywności klinicznej, analizy ekonomicznej i analizy wpływu na budżet płatnika

Dotyczy:

1. Danych wejściowych
2. Konstrukcji modeli, jakości, kierunków i zakresu analiz
3. Interpretacji wyników i wnioskowania



Najczęściej występujące przyczyny wystąpienia niepewności oszacowań w ramach HTA

- słabości w konstrukcji badań pierwotnych (Z TEGO NAJCZĘŚCIEJ WYNIKAJĄ PROBLEMY Z OCENĄ LEKÓW BIOPODOBNYCH!)
- niewłaściwe kierunki czy zakres przeprowadzonych analiz,
- brak precyzji zebranych danych kosztowych,
- błędy w metodyce HTA,
- w przypadku BIA niepewność związana jest dodatkowo z charakterem samej analizy, która dotyczy prognozowanych wydatków **w zawsze niepewnej przyszłości.**



Równoważność leków biopodobnych

Konieczność oceny równoważności na podstawie **badania III fazy**, jednak ... jaka niepewność oszacowań jest akceptowalna do jej stwierdzenia?

Najczęściej problemy dotyczą:

1. Niepewność oszacowań (jakość badań i szerokość CI dla leku oryginalnego!)
2. Współczesna vs historyczna grupa kontrolna;
3. Grupa kontrolna otrzymuje oryginalny lek biologiczny, czy placebo (porównanie pośrednie?), czy inny lek biopodobny (jeśli tak to czy jego biorównoważność wykazano, jak i z jakim stopniem pewności?);
4. Wielkość próby; szerokość przedziałów ufności; liczba badań RCT;
5. Długość okresu interwencji i okresu obserwacji;
6. Inne



„Cechy refundacyjne” leków biologicznych i leków biopodobnych

„Cecha refundacyjna”	Oryginalne leki biologiczne	Leki biopodobne
Zwiększenie możliwości terapeutycznych	+++++	+
Niepewność oszacowań dla efektywności klinicznej (skuteczność i profil bezpieczeństwa)	Zwykle stosunkowo mała	Zwykle stosunkowo duża (są wyjątki – np. terapia substytucyjna!)
BIA – konieczność zwiększenia nakładów na farmakoterapię przez płatnika	+++++	--- (istotne zmniejszenie)
Sklonność do RSS wynikająca z wysokiej ceny i wysokiego kosztu terapii	+++++	+
Prawdopodobieństwo osiągnięcia opłacalności terapii poniżej progu C/E w Polsce	Mała	Duża



„Cechy refundacyjne” leków biologicznych i leków biopodobnych

„Cecha refundacyjna”	Oryginalne leki biologiczne	Leki biopodobne
Wielkość populacji spełniającej kryteria refundacyjne (konieczność i możliwości wyłonienia podgrup, gdzie C/E lepsza)	Populacja nieliczna (+++)	Populacja znacznie większa (+)
Najczęstszy tym wykonywanej AEK	CUA lub CEA - oparte na modelowaniu	CMA
Rola informacji dotyczących aranżacji i cen na innych rynkach („wywiad gospodarczy” regulatora)	+++++	++
Sklonność do RSS wynikająca z niepewności oszacowań efektywności klinicznej	Zwykle stosunkowo mała	Zwykle stosunkowo duża (są wyjątki – np. terapia substytucyjna)



RSS (Risk Sharing Schemes)

Zarówno **niepewność oszacowań**, jak też **wysoka cena leków biologicznych** predysponują je do zawierania umów podziału ryzyka

Leki biologiczne często stosowane w **niewielkich populacjach** (do kilku tysięcy chorych w Polsce z danym wskazaniem refundacyjnym) są predysponowane do finansowania w ramach PT oraz monitorowanej sprawozdawczości na zasadach rejestru kliniczno-ekonomicznego zgodnego z GRP

Leki biopodobne: im większa **niepewność oszacowań** dotycząca skuteczności i profilu bezpieczeństwa tym większej obniżki ceny należy oczekiwać lub lepszych warunków w proponowanym RSS, lub leki te pozostają poza koszykiem



Akceptowalność ryzyka związanego z niepewnością oszacowań

- ryzyko związane z niepewnością oszacowań (wynikające z ograniczeń badań załączonych przez producenta do wniosku refundacyjnego) musi być starannie wyważone,
- przekroczenie **akceptowalnego przez regulatora poziomu niepewności oszacowań** może doprowadzić do natychmiastowego odrzucenia wniosku refundacyjnego,
- im większa presja wywierana na decydenta (np. wskazaniem jest choroba o dużym wpływie na społeczeństwo) tym większą niepewność oszacowań jest on skłonny zaakceptować.



Akceptowalność ryzyka związanego z niepewnością oszacowań

większa niepewność oszacowań

=>

większe ryzyko odrzucenia wniosku refundacyjnego przez regulatora

=>

potencjalnie większa skłonność stron do zawarcia RSS



Czy jednak niepewność jest zawsze niepożądana?

Niepewność oszacowań może być elementem strategii refundacyjnej producenta.

- podejście w przypadku **technologii przełomowej** – wyraźnie lepszej od technologii alternatywnych (badania sponsorowane przez producenta są wysokiej jakości – istotne zmniejszenie niepewności oszacowań), vs
- podejście w przypadku **technologii, których innowacyjność terapeutyczna wydaje się niska** (świadome zwiększanie niepewności oszacowań przez przeprowadzenie badań niskiej jakości);
- „balansowanie na linii” – czyżby obawa w przypadku leków biologicznych, że precyzyjne wyniki wykażą istotne statystycznie różnice?!



Umowy RSS w zakresie refundacji leków biologicznych i biopodobnych

Umowy o podziale ryzyka

oparte na wykorzystaniu środków

Financial utilization scheme: Price-Volume Agreement, Payback

oparte na wynikach dalszych badań

Risk based pricing scheme: Conditional coverage and evidence development

oparte na uzyskiwanych efektach zdrowotnych

Outcome based pricing scheme: Paying by results

VI Uroczysty Obiad Czwartkowy

Specyfika leków biologicznych i biopodobnych w polityce refundacyjnej i cenowej

Warszawa, 16 września 2010



Temat

Ocena ekonomiczna leków biologicznych i biopodobnych – swoiste aspekty refundacyjne

Prelegent

Krzysztof Łanda

Strona

5 z 5

www.ceestahc.org



Dziękuję za uwagę

Landa@htaaudit.eu