



EXECUTIVE SUMMARY

KRAKÓW, WARSZAWA, BUDAPESZT 2022

ACCESS GAP — JAK WYRÓWNYWAĆ RÓŻNICE?

POPRAWA DOSTĘPU PACJENTÓW DO INNOWACYJNYCH
TERAPII W KRAJACH V4

POLSKA • CZECHY • SŁOWACJA • WĘGRY



GEARING UP ACCESS
PROPOSAL FOR V4



AUTORZY:

MAGDALENA WŁADYSIUK
ROBERT PLISKO
KAJA KOSTRZEWSKA
ÁGNES TÓTH
MARK MOLNAR



RAPORT DO POBRANIA NA STRONIE GAPV4.EU



ANALIZA DANYCH:

ROBERT PLISKO
KAJA KOSTRZEWSKA



OPRACOWANIE GRAFICZNE:

KATARZYNA KAPCIA



CYTOWANIE:

*Władysiuk M., Plisko R., Kostrzevska K., Tóth A.,
Molnar M. G.A.P. - Gearing up. Improving time
to patient access to innovative therapies in V4.
Executive Summary, Kraków - Warsaw - Budapest 2022.*

PROJEKT ZOSTAŁ ZAINICJOWANY PRZEZ INFARMĘ I AIMP ORAZ SFINANSOWANY Z GRANTU EFPIA



RAPORT PRZYGOTOWANY PRZEZ



SPIIS TREŚCI

O PROJEKCIE	4
SŁOWNIK	6
WPROWADZENIE	8
CELE I METODYKA PROJEKTU	13
GŁÓWNE WYNIKI.....	18
GŁÓWNY WSKAŹNIK GAP.....	19
PRZEGLĄD KRAJÓW	21
CZAS DO REFUNDACJI	21
ODSETEK PACJENTÓW STOSUJĄCYCH OKREŚLONE NOWE LEKI	22
OGRANICZENIA W REFUNDACJI	24
PODSUMOWUJĄC... ..	25
WNIOSKI Z RAPORTU	29



O PROJEKCIE

Zaprezentowany w dokumencie międzynarodowy projekt ma na celu analizę i porównanie luk i osiągnięć w dostępie pacjentów do nowych metod leczenia w krajach Grupy Wyszehradzkiej w odniesieniu do standardów klinicznych. Celem tej inicjatywy jest nawiązanie dialogu i zainspirowanie do współpracy europejskich interesariuszy w zakresie monitorowania dostępu pacjentów do nowych metod leczenia poprzez stworzenie wspólnej platformy wymiany danych i dyskusji. Holistyczne podejście, które przyjęliśmy w projekcie, ma służyć analizie dostępu pacjentów do nowych leków przy użyciu wielowymiarowej metodologii, tak aby dostarczyć ilościowe wyjaśnienie przyczyn ewentualnego braku dostępu pacjentów do leczenia. Choć w całej Europie podejmowano wiele prób pomiaru dostępności leczenia dla pacjentów, **unikalność naszego projektu polega na tym, że dostosowaliśmy często używane wskaźniki do specyfiki regionu Europy Środkowej i Wschodniej (CEE) i uzupełniliśmy je o dodatkowe, dopasowane do naszego regionu wymiary.**

Pomimo obserwowanej w ciągu ostatnich dwóch dekad znacznej poprawy w zakresie dostępu do innowacyjnych terapii w krajach Europy Środkowo-Wschodniej, nadal pozostaje kilka punktów krytycznych, które należy zaadresować, aby zapewnić optymalne leczenie w tym regionie. **Narzędzie GAP (GEARING UP ACCESS PROPOSAL FOR V4) oferuje rzetelny pomiar poziomu dostępności nowych leków w wybranych obszarach terapeutycznych w krajach Grupy Wyszehradzkiej (V4) (Polska, Węgry, Czechy i Słowacja).** Przeprowadzona analiza umożliwia identyfikację problemów z dostępnością do opieki medycznej, pomiar pozytywnego wpływu ostatnich zmian w ramach krajowych systemów refundacyjnych, zaś wyniki tej analizy stanowią dobrą podstawę do dalszego kształtowania polityki opartej na dowodach w poszczególnych państwach w celu rozwoju krajowych systemów refundacji leków.



Niniejszy raport przedstawia wyniki inicjatywy „GAP Gearing up to Patient Access” dla Grupy Wyszehradzkiej w formie zestawienia wartości wskaźników ilościowych. Po skrupulatnej analizie dostępnych danych źródłowych z krajów Grupy Wyszehradzkiej, stosując wielowymiarową metodologię, przyporządkowaliśmy zagregowane wartości punktowe do poszczególnych wymiarów, ogólnych obszarów terapeutycznych, a na najwyższym stopniu agregacji – krajów V4. Uzyskane wyniki pozwalają nie tylko na porównanie wyników państw Grupy Wyszehradzkiej na poziomie zagregowanym, ale także na porównanie poszczególnych obszarów terapii pomiędzy państwami lub jednego obszaru terapii z innym w obrębie danego kraju. Wielowymiarowość naszej metodologii dostosowanej do Europy Środkowo-Wschodniej pozwala nam na dokonywanie elastycznych porównań osiągnięć lub zaległości poszczególnych państw.

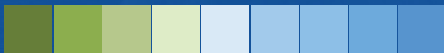
Projekt GAP został zainicjowany przez Polski Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych (INFARMA) i Węgierskie Stowarzyszenie Innowacyjnych Producentów Farmaceutycznych (AIPM) i sfinansowany z grantu Europejskiej Federacji Przemysłu i Stowarzyszeń Farmaceutycznych (EFPIA). INFARMA jest stowarzyszeniem 25 firm z branży farmaceutycznej w Polsce, działającym od 1993 roku, AIPM jest stowarzyszeniem 26 firm farmaceutycznych na Węgrzech, założonym w 1992 roku. Projekt został zrealizowany przy wsparciu zespołu Ideas&Solutions z Węgier oraz HTA Consulting z Polski. Nasze analizy były wspierane przez zespół Pharmeca zajmujący się zbieraniem danych z Czech i Słowacji. Niniejsza publikacja jest podsumowaniem głównych wyników projektu opartego na danych zebranych dla lat 2020-2021 dla krajów Grupy Wyszehradzkiej.

SŁOWNIK

AML	Ostra białaczka szpikowa (ang. <i>Acute Myeloid Leukemia</i>)
DALY	Lata życia skorygowane niesprawnością (ang. <i>Disability Adjusted Life-Years</i>)
CF	Mukowiscydoza (ang. <i>Cystic Fibrosis</i>)
DDD	Zdefiniowana dawka dobową (ang. <i>Defined Daily Dose</i>)
EMA	Europejska Agencja Leków (ang. <i>European Medicines Agency</i>)
KPI Kluczowe Wskaźniki Efektywności (ang. <i>Key Performance Indicators</i>)	Opracowaliśmy wielopoziomowy system wskaźników, w ramach którego wskaźniki są agregowane dla każdego obszaru terapeutycznego i dla każdego kraju. Dzięki temu możliwe jest wielowymiarowe porównanie kilku aspektów dostępu do terapii i procedur diagnostycznych. Wszystkie obszary terapii zostały ocenione przy użyciu tego samego zestawu 8 wskaźników, uwzględniających różne aspekty dostępu pacjentów do leczenia, w tym dostępność poszczególnych interwencji lub świadczeń w ramach powszechnej opieki zdrowotnej i faktyczną osiągalność dla pacjentów. Wszystkie wskaźniki zostały jednak dostosowane do poszczególnych obszarów terapii pod względem odpowiednich referencyjnych produktów i testów diagnostycznych.
LAA	Długodziałające analogi insuliny (ang. <i>Long Acting insulin Analogues</i>)
NSCLC	Niedrobnokomórkowy rak płuca (ang. <i>Non-Small-Cell Lung Carcinoma</i>)
SM	Stwardnienie rozsiane (łac. <i>Sclerosis Multiplex</i>)
SMA	Rdzeniowy zanik mięśni (ang. <i>Spinal Muscular Atrophy</i>)
V4 - VISEGRÁD GROUP	Grupa Wyszehradzka, Czwórka Wyszehradzka (Visegrád Four), V4 lub Kwartet Europejski (European Quartet) to sojusz kulturalny i polityczny czterech państw Europy Środkowej - Czech, Węgier, Polski i Słowacji - będących członkami UE i NATO, mający na celu zacieśnienie współpracy w sprawach wojskowych, kulturalnych, gospodarczych i energetycznych oraz dalszą integrację z UE.



EXECUTIVE SUMMARY



WPROWADZENIE

Poprawa dostępności do leków dopuszczonych do obrotu w Unii Europejskiej (UE) jest priorytetem dla europejskiej sieci regulacyjnej ds. leków oraz dla przemysłu farmaceutycznego zgodnie z nową Polityką Farmaceutyczną UE. Państwa członkowskie, zgodnie z krajową polityką zdrowotną, dążą do zapewnienia powszechnego dostępu do opieki zdrowotnej, w tym do wyrównania dostępu do leków. Cele te muszą uwzględniać „cykl życia” produktu farmaceutycznego oraz różne mechanizmy regulacyjne i decyzje polityczne, które mają miejsce w trakcie tego cyklu. W ostatnich latach decydenci w krajach

europejskich z rosnącą uwagą przyglądali się rozwojowi w sektorze farmaceutycznym, którego dynamika stanowi wyzwanie dla dostępności do nowych leków i stabilności finansowej w systemach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych^{1,2}. Definicja „Pięciu A” to koncept szeroko stosowany w celu uchwycenia różnych aspektów dostępu pacjentów, w tym dostępności na rynku (ang. *availability*), adekwatności (ang. *adequacy*), dostępności do użycia/realnej możliwości zastosowania (ang. *accessability*), przystępności cenowej (ang. *affordability*) i stosowności użycia (ang. *appropriateness*)^{4,5,6}.

DECYZJE REFUNDACYJNE I DOSTĘP PACJENTÓW DO TERAPII



¹ World Health Organization. Regional Office for Europe, Policies EO on HS and, Vogler S, Paris V, Panteli D. Ensuring access to medicines: how to redesign pricing, reimbursement and procurement?. 2018

² Godman B, Hill A, Simoens S, Selke G, Selke Krulichová I, Zampiroli Dias C, Martin AP, Oortwijn W, Timoney A, Gustafsson LL, Voncina L, Kwon H-Y, Gulbinovic J, Gotham D, Wale J, i in. (2021) Potential approaches for the pricing of cancer medicines across Europe to enhance the sustainability of healthcare systems and the implications. *Expert Rev. Pharmacoecon. Outcomes Res.* 21(4):527–540.

³ Penchansky R, Thomas JW. The concept of access: definition and relationship to consumer satisfaction. *Med Care.* 1981;19(2):127-140.

⁴ The model by Penchasky & Thomas was readapted by the multi-stakeholder Patient Access Partnership (PACT) network and the same approach was accepted by the European Patients Forum in 2016. 5As are complemented by „Timeliness” in the Towards a fairer and more effective measurement of access to healthcare across the EU report.

⁵ Garcia MM, Barbosa MM, Silva RM, Reis EA, Alvares J, Assis Acurcio F de, Godman B, Guerra Junior AA. (2019) Indicator of access to medicines in relation to the multiple dimensions of access. *J. Comp. Eff. Res.* 8(12):1027–1041.

⁶ Barbosa MM, Moreira TA, Nascimento RC, Nascimento MM, Acurcio FA, Godman B, Guerra AA, Alvares-Teodoro J. (2021) Access to medicines in the Brazilian Unified Health System's primary health care: assessment of a public policy. *J. Comp. Eff. Res.* 10(10):869–879.

Dostęp do nowych terapii i diagnostyki różni się znacznie w poszczególnych krajach UE. Można to zaobserwować na przykładzie stosowania nowych leków biologicznych w leczeniu chorób układu immunologicznego, w tym reumatoidalnego zapalenia stawów i nieswoistych chorób zapalnych jelit^{7,8,9}. Zróżnicowanie to dotyczy także leków stosowanych w leczeniu chorób rzadkich i nowotworów¹⁰. Od dawna podejmowane są światowe wysiłki na rzecz zapewnienia dostępu do produktów farmaceutycznych po przystępnych cenach w ramach powszechnych systemów opieki zdrowotnej. Rosnąca fala innowacyjnych technologii dopuszczonych przez EMA w ciągu ostatnich 10 lat może przynieść znaczne korzyści zdrowotne na poziomie populacji. W latach 2010-2021 na rynek UE wprowadzono sześćset sześćdziesiąt nowych cząsteczek (z wyłączeniem leków generycznych i biopodobnych), które zostały zatwierdzone przez EMA. Sto dwadzieścia trzy z tych nowych leków to leki stosowane we wskazaniach onkologicznych. Stanowią one 27% wszystkich zarejestrowanych cząsteczek. 19% nowych leków ma oznaczenie jako sieroce. 12% z nich jest stosowanych w chorobach metabolicznych, w tym 35 cząsteczek przeznaczonych jest do leczenia cukrzycy.

Nowa Strategia farmaceutyczna dla Europy, przyjęta w październiku 2021 r. przez Komisję Europejską, obiecująca pacjentom dostęp do przystępnych cenowo leków ma na celu

wspieranie konkurencyjności i innowacyjności w europejskim przemyśle farmaceutycznym. Aby zapewnić pacjentom dostęp do przystępnych cenowo leków, strategia uwzględnia również niezaspokojone potrzeby medyczne (np. w onkologii, chorobach rzadkich) i promuje wysoki poziom standardów jakości, skuteczności i bezpieczeństwa.

Wiele organizacji w Europie opracowało i/lub opublikowało wskaźniki opieki zdrowotnej, począwszy od wielkoskalowych, regularnie aktualizowanych baz danych i raportów¹¹, po doraźne badania i przeglądy dotyczące konkretnych chorób, wykonywane na zlecenie instytucji publicznych, stowarzyszeń pacjentów lub w ramach projektów komercyjnych. W ramach projektu GAP (GEARING UP ACCESS PROPOSAL FOR V4) grupa ekspertów opracowała unikalny wielopoziomowy system wskaźników pomiaru dostępu pacjentów do terapii i diagnostyki. Celem tego projektu jest stworzenie punktu odniesienia dla regionu V4 z perspektywy standardów klinicznych, przy użyciu tego samego zestawu 8 wskaźników obejmujących różne aspekty dostępu pacjentów do terapii, w tym dostępność poszczególnych interwencji lub świadczeń w ramach powszechnej opieki zdrowotnej, i faktyczną osiągalność dla pacjentów. Wszystkie wskaźniki zostały dostosowane do konkretnych obszarów terapeutycznych pod względem doboru odpowiednich leków i testów diagnostycznych. Na najwyższym – umożliwiającym ogólną

⁷ Putrik P, Ramiro S, Kvien TK, Sokka T, Pavlova M, Uhlig T, Boonen A, Working Group 'Equity in access to treatment of rheumatoid arthritis in Europe'. (2014) Inequities in access to biologic and synthetic DMARDs across 46 European countries. *Ann. Rheum. Dis.* 73(1):198–206.

⁸ Baumgart DC, Misery L, Naeyaert S, Taylor PC. (2019) Biological Therapies in Immune-Mediated Inflammatory Diseases: Can Biosimilars Reduce Access Inequities? *Front. Pharmacol.* 10.

⁹ Kostić M, Djaković L, Šujić R, Godman B, Janković SM. (2017) Inflammatory Bowel Diseases (Crohn's Disease and Ulcerative Colitis): Cost of Treatment in Serbia and the Implications. *Appl. Health Econ. Health Policy.* 15(1):85–93.

¹⁰ EURORDIS. (2018) Breaking the Access Deadlock to Leave No One Behind. Dostęp: http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/positionpapers/eurordis_access_position_paper_final_4122017.pdf.

¹¹ e.g., Euro Health Consumer Index by Health Consumer Powerhouse; European Core Health Indicators and Eurostat data by EU; OECD Health data and reports; WHO Health reports and Core Health Indicators in the WHO Europe Region; measurements by national authorities etc.

ocenę poziomie agregacji, dla każdego kraju obliczono jeden skumulowany wskaźnik oparty na wskaźnikach poszczególnych chorób. Pozwala to na bezpośrednie porównanie systemów opieki zdrowotnej w krajach V4 w badanych obszarach.

Lepszy dostęp do procedur diagnostycznych i terapii jest jednym z kluczowych elementów całego systemu opieki zdrowotnej, niezbędnym do poprawy przeżywalności i jakości życia (mierzonej w DALY) w danej populacji. Wszystkie obszary chorób wybrane do celów niniejszego projektu są ważne z punktu widzenia zdrowia publicznego (Tabela 1).

Leki wybrane do analizy stanowią blisko 20% wszystkich leków zarejestrowanych przez EMA w rozważanym horyzoncie czasowym, co naszym zdaniem stanowi odpowiednią próbę do zobrazowania zakresu istniejących ograniczeń refundacji lub dostępności

w krajach V4. Pomimo podobieństw między tymi krajami, można zaobserwować co najmniej kilka różnic w dostępności leków. Wyróżnić można trzy wymiary dostępu pacjentów do nowoczesnego leczenia w Grupie Wyszehradzkiej:

1. Spośród wszystkich uwzględnionych terapii posiadających europejskie pozwolenie na dopuszczenie do obrotu w wybranych do analizy chorobach, odsetek terapii, które uzyskały realny dostęp do rynku, tj. są refundowane w ramach systemów ubezpieczenia społecznego, wynosi od zaledwie 11% do 69%.
2. Po uzyskaniu europejskiego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu czas oczekiwania na dostęp waha się od 53 dni do prawie 3300 dni.
3. Udział pacjentów stosujących określone wybrane nowe terapie w 2020 r. waha się od 0% do 58%.

#	KPI	5 "A"
1	OGRANICZENIA REFUNDACYJNE	Dostępności do użycia (ang. <i>accessibility</i>) Dostępność do zastosowania
2	CZAS DO DOSTĘPNOŚCI	Dostępności do użycia (ang. <i>accessibility</i>)
3	ZGODNOŚĆ Z MIĘDZYNARODOWYMI WYTTCZNYMI	Dostępność do zastosowania (ang. <i>availability</i>) Adekwatność (ang. <i>adequacy</i>) Dostępności do użycia
4	PROGRAMY WCZESNEGO DOSTĘPU	Dostępności do użycia
5	ODSETEK PACJENTÓW STOSUJĄCYCH OKREŚLONE NOWE LEKI	Dostępności do użycia Stosowność (ang. <i>appropriateness</i>)
6	WDRAŻANIE NOWYCH METOD LECZENIA	Dostępność do zastosowania Adekwatność Stosowność
7	REFUNDACJA BADAŃ MOLEKULARNYCH	Adekwatność Dostępności do użycia
8	DOSTĘP DO ZAAWANSOWANEJ DIAGNOSTYKI	Adekwatność Dostępności do użycia

Wobec tak znacznych rozbieżności celem niniejszej analizy jest ułatwienie lepszego zrozumienia głęboko złożonego problemu dostępu pacjentów do leków. Mamy nadzieję, że pomoże ona decydom i innym interesariuszom w przygotowaniu krajów Grupy Wyszehradzkiej na przyszłe innowacje w opiece zdrowotnej. Opisane różnice mogą stać się motywacją do promowania równego dostępu do opieki zdrowotnej w krajach Grupy Wyszehradzkiej, a także wskazywać kluczowym interesariuszom potencjalne działania zmierzające do poprawy sytuacji w przypadkach, które jej wymagają.



CZAS NA DZIAŁANIE.

KRAJE GRUPY WYSZEHRADZKIEJ

Kraje Grupy Wyszehradzkiej (V4) w Europie Środkowo-Wschodniej współpracują ze sobą od prawie 30 lat. Obecnie dwustronna i wielostronna współpraca jest prowadzona na najwyższym szczeblu przez przywódców V4, a sama grupa V4 postrzegana jest na arenie międzynarodowej jako dobrze zorganizowana. Grupa Wyszehradzka jest odzwierciedleniem wysiłków krajów regionu Europy Środkowej na rzecz współpracy w wielu dziedzinach będących przedmiotem wspólnego zainteresowania w ramach integracji ogólnoeuropejskiej.

V4 to nie tylko grupa 4 krajów, to przede wszystkim populacja ponad 64,9 mln ludzi, którzy mają dostęp do powszechnej publicznej opieki zdrowotnej. Wszyscy członkowie Grupy Wyszehradzkiej mają system powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego oparty na obowiązkowym

członkostwie w funduszu lub kasach chorych. Jednak tylko w Czechach w 2018 r. powszechne ubezpieczenie zdrowotne obejmowało 100% obywateli. Na Słowacji i Węgrzech odsetek ubezpieczonych wyniósł odpowiednio 94,6% i 94,0%. W Polsce natomiast 92,9% ludności jest objętych

¹² OECD. (2020) Population coverage for a core set of services, 2018 (or nearest year). Paris: Organisation for Economic Co-operation and Development Dostęp: https://www.oecd-ilibrary.org/social-issues-migration-health/population-coverage-for-a-core-set-of-services-2018-or-nearest-year_db6084a4-en (8.12.2021).

ubezpieczeniem zdrowotnym. Wydatki na opiekę zdrowotną w krajach V4 rosły z roku na rok. Jednak pomimo tej dynamiki, obecne wydatki w stosunku do PKB są nadal o około 3 punkty procentowe niższe niż średnia dla krajów UE-27. Ta różnica w wydatkach na publiczną opiekę zdrowotną utrzymywała się na względnie stałym poziomie przez kilka ostatnich lat, co stwarza dodatkowe wyzwania w polityce lekowej.

Podobnie jak w większości krajów europejskich, w krajach Grupy Wyszehradzkiej

negocjacje cenowe, ocena i wycena odbywają się na szczeblu krajowym, natomiast budżety są rozdzielane przez ubezpieczycieli zdrowotnych (instytucję będącą jedynym płatnikiem lub różnych ubezpieczycieli zdrowotnych) lub na poziomie szpitali. Kraje Grupy Wyszehradzkiej już teraz współpracują w dziedzinach związanych z opieką zdrowotną. Obejmuje ona wymianę doświadczeń i dobrych praktyk w zakresie procesów refundacyjnych prowadzonych w poszczególnych krajach, a także w dziedzinie polityki cenowej.



CELE I METODYKA PROJEKTU

Zapewnienie pacjentom faktycznego dostępu do odpowiedniego leczenia jest kluczowym czynnikiem umożliwiającym wykorzystanie wartości, jaką niosą ze sobą innowacyjne metody leczenia do poprawy stanu zdrowia populacji. Powszechna refundacja i dostęp do innowacji farmaceutycznych znacznie poprawiły wyniki leczenia pacjentów w różnych wskazaniach. Taki efekt można jednak osiągnąć tylko dzięki pełnemu dostępowi do najnowszych osiągnięć w dziedzinie opieki zdrowotnej.

Naszym celem jest wsparcie kluczowych decydentów w identyfikacji ograniczeń w dostępie pacjentów do innowacyjnych terapii w krajach Grupy Wyszehradzkiej.

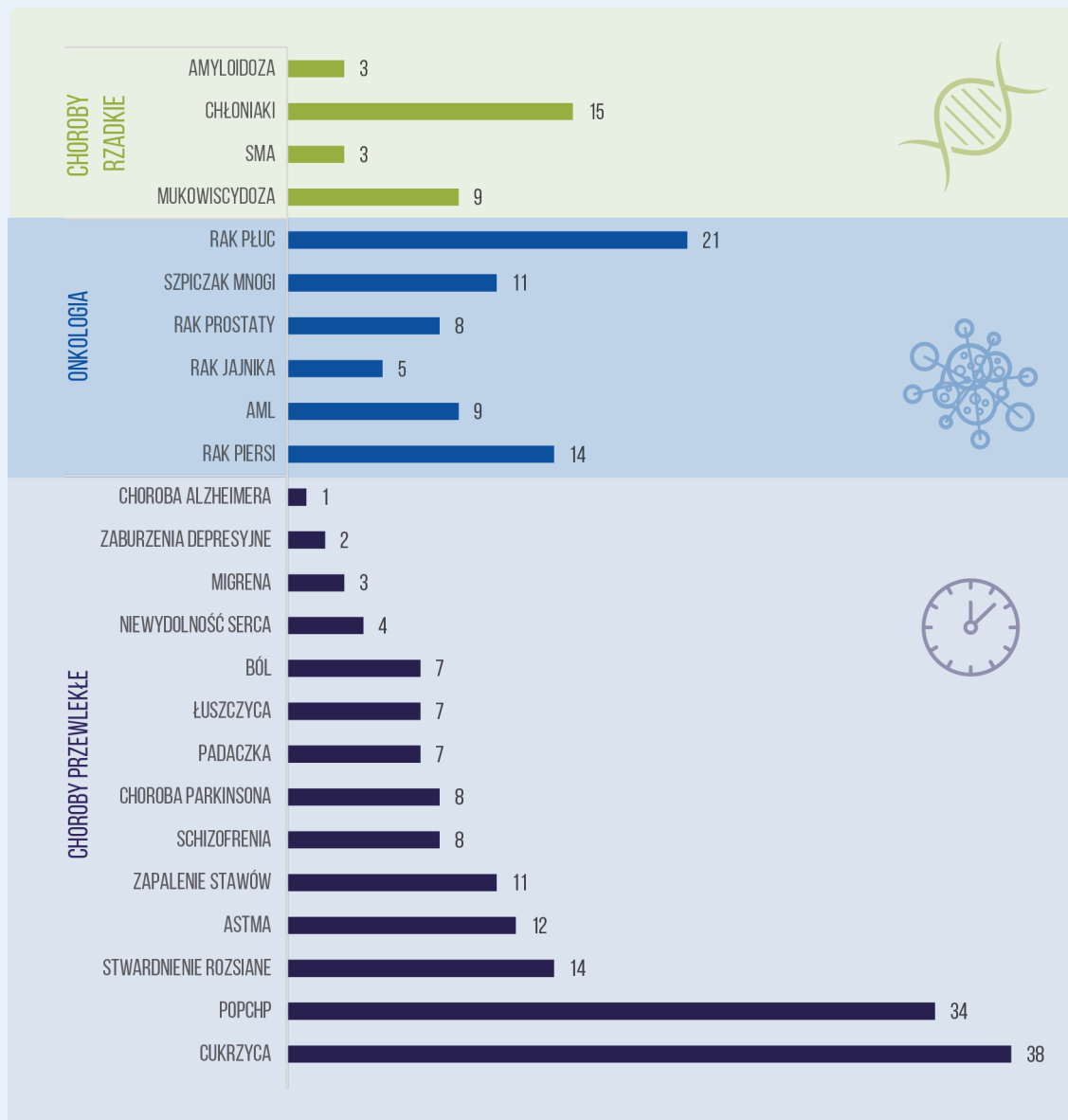
Aby przedstawić różne wymiary dostępu pacjentów, wybraliśmy łącznie 10 wskazań (obszarów terapeutycznych) podzielonych na 3 kategorie: onkologia, choroby przewlekłe i choroby rzadkie. Kategorie te mogą służyć jako reprezentatywne przykłady do opisu i oceny dostępu pacjentów do innowacyjnych terapii w krajach Grupy Wyszehradzkiej ogółem. Oceniane obszary terapeutyczne to obszary, dla których w latach 2010-2021 zatwierdzono w Europie największą liczbę nowych innowacyjnych terapii; dzięki temu można było ocenić, w jakim stopniu innowacyjne leki stały się dostępne dla pacjentów w rzeczywistej praktyce.

W pierwszym kroku wszystkie choroby podzielono na trzy opisane powyżej kategorie. W każdej z tych kategorii do dalszej analizy wybrano poszczególne choroby na podstawie największej liczby leków dopuszczonych przez EMA. Finalnie obszary terapeutyczne wybrane do oceny ograniczeń obejmują następujące jednostki chorobowe:

rak piersi, niedrobnokomórkowy rak płuc (NSCLC), rak jajnika i rak prostaty w onkologii; ostra białaczka szpikowa (AML), chłoniaki (wiele typów), rdzeniowy zanik mięśni (SMA) i mukowiscydoza w chorobach rzadkich; oraz cukrzyca i stwardnienie rozsiane (SM) w kategorii choroby przewlekłe.

Wszystkie obszary terapeutyczne zostały oceniane przy użyciu tego samego zestawu 8 wskaźników, które ujmują różne aspekty dostępu pacjentów, w tym dostępność w ramach publicznej opieki zdrowotnej realną dostępność do innowacyjnych produktów farmaceutycznych, terapii zalecanych przez wytyczne kliniczne oraz właściwej diagnostyki. Ponadto uwzględniono również rzeczywiste zastosowanie wybranych terapii w praktyce klinicznej. Wszystkie wskaźniki zostały dostosowane do konkretnego obszaru terapeutycznego pod względem wyboru odpowiednich produktów farmaceutycznych i testów diagnostycznych.

LICZBA NOWYCH SUBSTANCJI AKTYWNYCH ZAREJESTROWANYCH PRZEZ EMA W LATACH 2010-2021



AML – ostra białaczka szpikowa (ang. Acute myeloid leukemia), POChP – Przewlekła Obturacyjna Choroba Płuc, SMA – rdzeniowy zanik mięśni (ang. Spinal Muscular Atrophy)

Wskaźniki dostępu pacjentów są miarami opisowymi, które oceniają poziom dostępu pacjentów poprzez zdefiniowanie zestawu punktów odniesienia, porównujących kilka aspektów leczenia i procesu diagnostycznego. Po dokonaniu przeglądu istniejących i publicznie dostępnych wskaźników dostępu

pacjentów w analizach międzynarodowych, opracowaliśmy wielopoziomowy system wskaźników, w którym wskaźniki są agregowane dla każdego obszaru terapeutycznego i dla każdego kraju. W rezultacie umożliwia to porównywanie chorób i krajów w elastyczny sposób.

Dane, na których opierają się wskaźniki, pochodzą z materiałów publikowanych przez władze krajowe w każdym kraju, w tym z krajowych baz danych o refundacji, protokołów z procesów refundacyjnych oraz baz sprzedażowych. Ponadto, jako punkt odniesienia

wykorzystano międzynarodowe wytyczne publikowane przez organizacje medyczne. W przypadkach, gdy pewne niezbędne dane nie były publicznie dostępne dla wszystkich krajów, posługiwaliśmy się szacunkami opartymi na dostępnych danych.

#	NAZWA (KPI) WSKAŹNIKA	OPIS I UZASADNIENIE
1	OGRANICZENIA REFUNDACYJNE	Odnosi się do dostępności refundowanych opcji leczenia na poziomie krajowym poprzez obliczenie odsetka leków innowacyjnych dopuszczonych przez EMA, które są dostępne: w ramach zwykłej refundacji lub refundowane są na specjalnych warunkach. Częściowa refundacja (ograniczenia w stosunku do rejestracji EMA) ma mniejszą wagę niż refundacja w pełnym zakresie wskazań.
2	CZAS DO DOSTĘPNOŚCI	Odnosi się do czasu (mierzonego jako liczba dni) pomiędzy dopuszczeniem do obrotu przez EMA a datą dostępności dla pacjentów po zatwierdzeniu do regularnej refundacji.
3	ZGODNOŚĆ Z MIĘDZYNARODOWYMI WYTTCZYNYMI	Odnosi się do odsetka terapii refundowanych w danym kraju spośród terapii rekomendowanych do stosowania w odpowiednich międzynarodowych/pan-europejskich wytycznych organizacji medycznych (np. wytycznych ESMO) zidentyfikowanych dla każdego wskazania.
4	PROGRAMY WCZESNEGO DOSTĘPU	Odnosi się do dostępności programów wczesnego dostępu (z wyłączeniem programu "compassionate use") przed rozpoczęciem regularnej refundacji. Programy wczesnego dostępu stanowią w niektórych krajach ścieżkę udostępniania innowacyjnych metod leczenia w drodze indywidualnych wniosków.
5	ODSETEK PACJENTÓW STOSUJĄCYCH OKREŚLONE NOWE LEKI	Odnosi się do wykorzystania określonych terapii. Wskaźnik odnosi się do udziału pacjentów stosujących określoną terapię innowacyjną (lub kategorię leków innowacyjnych) w 2020 r. w stosunku do całkowitej liczby kwalifikujących się do tej terapii pacjentów. Liczbę kwalifikujących się pacjentów oblicza się na podstawie tych analogicznych danych populacyjnych, np. danych epidemiologicznych, które zostały zidentyfikowane w każdym wskazaniu.
6	WDRAŻANIE NOWYCH METOD LECZENIA	Odnosi się do wykorzystania określonej kategorii kodu ATC (w wartości bezwzględnej, np. DDD - zdefiniowana dawka dzienna lub inna odpowiednia miara wykorzystania dopasowana do każdej rozważanej grupy leków) na całkowitą liczbę ludności w 2020 r.
7	REFUNDACJA BADAŃ MOLEKULARNYCH	Dotyczy refundacji ze środków publicznych badań molekularnych lub innych wymaganych w sytuacji, gdy refundacja leku jest uzależniona od obecności określonego biomarkera. Odpowiednie badania zostały wybrane dla każdego wskazania na podstawie wytycznych klinicznych.
8	DOSTĘP DO ZAAWANSOWANEJ DIAGNOSTYKI	Odnosi się do typowego czasu oczekiwania na diagnostykę planowaną po otrzymaniu skierowania, co może mieć wpływ na czas do rozpoczęcia leczenia lub dalszej diagnostyki. Dla każdego wskazania określono odpowiednie badania diagnostyczne w oparciu o dostępne wytyczne kliniczne.

OBCIĄŻENIE CHOROBYMI W KRAJACH GRUPY WYSZEHRADZKIEJ

Wszystkie wybrane choroby są ważne z punktu widzenia zdrowia publicznego, a ich obciążenie dla populacji można ocenić poprzez ocenę jakości życia wraz z rosnącymi ograniczeniami sprawności lub utratą lat życia populacji obciążonej chorobą.

DALY (*Disability Adjusted Life-Years* – lata życia skorygowane niepełnosprawnością) to popularne narzędzie, które umożliwia porównania pomiędzy krajami w celu określenia stanu zdrowia poszczególnych populacji^{13,14,15}. **Jedna jednostka DALY oznacza utratę równowartości jednego roku w pełnym zdrowiu.** DALY to suma lat życia utraconych z powodu przedwczesnej umieralności (YLLs, ang. *years of life lost*) i lat życia w dobrym zdrowiu utraconych z powodu niepełnosprawności (YLDs, ang. *years of healthy life lost due to disability*) przez osoby, których pogorszenie stanu zdrowia wynika z określonej choroby.

WSKAZANIA WYBRANE DO OCENY BARIER W DOSTĘPIE

CHOROBY WYBRANE W OPARCIU O ANALIZĘ AUTORYZACJI EMA Z OSTATNICH 10 LAT

ONKOLOGIA



RAK PŁUCA (NSCLC)



RAK PIERSI



RAK PROSTATY



RAK JAJNIKA

CHOROBY RZADKIE



MUKOWISCYDOZA



OSTRA BIAŁACZKA SZPIKOWA (AML)



CHŁONIAK



RDZENIOWY ZANIK MIĘŚNI (SMA)

CHOROBY PRZEWLEKŁE



CUKRZYCA



STWARDNIENIE ROZSIANE (MS)

¹³ Global Burden of Disease Cancer Collaboration, Fitzmaurice C, Akinyemiju TF, Al Lami FH, Alam T, Alizadeh-Navaei R, Allen C, Alsharif U, Alvis-Guzman N, Amini E, Anderson BO, Aremu O, Artaman A, Asgedom SW, Assadi R, i in. (2018) Global, Regional, and National Cancer Incidence, Mortality, Years of Life Lost, Years Lived With Disability, and Disability-Adjusted Life-Years for 29 Cancer Groups, 1990 to 2016: A Systematic Analysis for the Global Burden of Disease Study. *JAMA Oncol.* 4(11):1553–1568.

¹⁴ Maseabi F, Salehi M, Kazemi M, Vahabi N, Azizmohammad Loocha M, Zayeri F. (2021) Trend analysis of disability adjusted life years due to cardiovascular diseases: results from the global burden of disease study 2019. *BMC Public Health* 21(1):1268.

¹⁵ Feigin VL, Nichols E, Alam T, Bannick MS, Beghi E, Blake N, Culpepper WJ, Dorsey ER, Elbaz A, Ellenbogen RG, Fisher JL, Fitzmaurice C, Giussani G, Glennie L, James SL, i in. (2019) Global, regional, and national burden of neurological disorders, 1990–2016: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2016. *Lancet Neurol.* 18(5):459–480.

W 2019 r. wybrane do analizy jednostki chorobowe odpowiadały za 13% całkowitego obciążenia DALY wśród krajów Grupy Wyszehradzkiej. Spośród 10 chorób wybranych do analizy dwie (rak płuca – NSCLC i cukrzyca) łącznie odpowiadają za ponad 70% obciążenia DALY generowanego przez 10 wybranych chorób. Spośród wybranych jednostek chorobowych, ponad 60% całkowitego obciążenia DALY jest generowane przez wskazania zgrupowane w ramach kategorii onkologia (4 wskazania), podczas gdy choroby przewlekłe (2 wskazania) odpowiadają za 33% obciążenia. Pozostałe 6% obciążenia DALY

jest generowane przez wybrane choroby rzadkie (4 wskazania). Choroby rzadkie analizowane oddzielnie nie mają znaczącego wpływu na liczbę DALY, nie należy jednak o nich zapominać, ponieważ ich łączna liczba to 8 000 chorób a obciążonych nimi sumarycznie jest kilka procent populacji. W istocie choroby rzadkie budzą bardzo duże zainteresowanie społeczne, a rzadka choroba dotykająca bardzo niewielu pacjentów jest czasem bardziej widoczna w społeczeństwie niż powszechna choroba przewlekła obciążająca miliony pacjentów^{16,17}.

LATA ŻYCIA SKORYGOWANE NIESPRAWNOŚCIĄ W KRAJACH V4



¹⁶ Kole A, Hedley V. (2021) Recommendations from the Rare 2030 Foresight Study: The future of rare diseases starts today, http://download2.eurordis.org/rare2030/Rare2030_recommendations.pdf.

¹⁷ EURORDIS. (2018) Breaking the Access Deadlock to Leave No One Behind. Dostęp: http://download2.eurordis.org.s3.amazonaws.com/positionpapers/eurordis_access_position_paper_final_4122017.pdf.

GŁÓWNE WYNIKI

W ostatnich latach decydenci w krajach europejskich z coraz większą uwagą śledzą rozwój zachodzący w sektorze farmaceutycznym. Dynamika tego rozwoju jest wyzwaniem dla dostępności nowych leków oraz stabilności finansowej i równości w systemach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych. Kraje Grupy Wyszehradzkiej już obecnie współpracują w obszarze medycyny, co może zaowocować większą dostępnością opłacalnych metod leczenia. Państwa członkowskie UE stosują zróżnicowane podejście w zakresie refundacji i ustalania cen w celu określenia dostępu do nowych leków. Różne podejścia są stosowane w odniesieniu do poszczególnych sektorów, segmentów rynku i konkretnych leków. Niektóre narzędzia w zakresie ustalania cen, zamówień publicznych i refundacji są częściej stosowane w przypadku nowych, potencjalnie drogich leków, w tym umowy podziału ryzyka¹⁸.

W każdym kraju można wyróżnić obszary terapeutyczne o lepszym lub gorszym dostępie do leczenia. Niemniej jednak dostęp do innowacji medycznych w krajach Grupy Wyszehradzkiej jest daleki od optymalnego, co wyraźnie potwierdza pilną potrzebę interwencji w celu poprawy dostępu do nowych leków innowacyjnych w całym regionie V4.

Celem opieki zdrowotnej lub terapii każdego pacjenta jest zastosowanie właściwego

leku we właściwym czasie. W krajach takich jak Wielka Brytania, czy Niemcy wybrane leki mogą być dostępne w systemie refundacji nawet zaraz po rejestracji, co oznacza, że pacjenci mogą mieć natychmiastowy dostęp do wyselekcjonowanych najnowszych terapii. W Wielkiej Brytanii ich wykorzystanie zazwyczaj wzrasta po wydaniu pozytywnej decyzji przez NICE, która to decyzja w przypadku nowych leków na raka i choroby rzadkie obejmuje programy indywidualnego dostępu dla pacjentów. W przypadku niektórych leków oznacza to czasem, że taka wczesna inwestycja może okazać się nietrafiona, ale kraje te akceptują takie ryzyko, ponieważ priorytetowo traktują dostęp pacjentów do innowacji terapeutycznych (tj. leków, które najlepiej pasują do charakterystyki pacjenta i uwzględniają postęp naukowy). W innych krajach decyzje o refundacji podejmowane są później, co oznacza, że pacjenci potencjalnie nie uzyskują optymalnego efektu terapeutycznego. Oznacza to jednak, że zasoby mogą być zaoszczędzane do czasu wykazania skuteczności i/lub bezpieczeństwa nowego leku w rutynowej praktyce klinicznej, zwłaszcza jeśli nowe leki były badane na ograniczonej liczbie pacjentów przed dopuszczeniem na rynek^{19,20}. Jeżeli decyzje dotyczące refundacji są podejmowane długo po rejestracji, utrata korzyści terapeutycznych zwiększa się z każdym miesiącem opóźnienia, i jest to sytuacja której należy unikać. Podobne skutki dla

¹⁸ Ferrario A, Arđja D, Bochenek T, Čatić T, Dankó D, Dimitrova M, Fürst J, Greičiūtė-Kuprijanov I, Hoxha I, Jakupi A, Laidmäe E, Lóblóvá O, Mardare I, Markovic-Pekovic V, Meshkov D, i in. (2017) *The Implementation of Managed Entry Agreements in Central and Eastern Europe: Findings and Implications*. *PharmacoEconomics* 35(12):1271–1285.

¹⁹ Godman B, Hill A, Simoens S, Selke G, Selke Krulichová I, Zampiroli Dias C, Martin AP, Oortwijn W, Timoney A, Gustafsson LL, Voncina L, Kwon H-Y, Gulbinovic J, Gotham D, Wale J, i in. (2021) *Potential approaches for the pricing of cancer medicines across Europe to enhance the sustainability of healthcare systems and the implications*. *Expert Rev. Pharmacoecon. Outcomes Res.* 21(4):527–540.

²⁰ Pontes C, Zara C, Torrent-Farnell J, Obach M, Nadal C, Vella-Bonanno P, Ermisch M, Simoens S, Hauwegen RC, Gulbinovic J, Timoney A, Martin AP, Mueller T, Nachtnebel A, Campbell S, i in. (2020) *Time to Review Authorisation and Funding for New Cancer Medicines in Europe? Inferences from the Case of Olaparumab*. *Appl. Health Econ. Health Policy*. 18(1):5–16.

populacji pacjentów przynoszą ograniczenia refundacyjne, tj. zawężanie wskazań refundacyjnych w stosunku do wskazań rejestracyjnych, co prowadzi do zmniejszenia liczby pacjentów, którzy mogliby uzyskać efekt terapeutyczny. Dostęp do innowacyjnych leków należy jednak ocenić w kontekście braku finansowania w innych obszarach, biorąc pod uwagę koszty alternatywne. W związku z tym ważne jest określenie, jaka część pacjentów w populacji docelowej odnosi największe korzyści z nowych metod leczenia, w przypadku gdy zasoby są ograniczone.

Powyższe obserwacje skłaniają nas do skupienia się w niniejszym raporcie na analizie trzech najważniejszych wskaźników, którymi są:

- » **czas od rejestracji leku/wskazania do refundacji,**
- » **dostępność leków w refundacji, z uwzględnieniem ograniczeń refundacyjnych,**
- » **odsetek pacjentów leczonych wybranymi lekami, które odpowiadają na największe potrzeby zdrowotne w wybranych chorobach.**

Ponadto przedstawiamy ogólny wynik analizy GAP zarówno w odniesieniu do poszczególnych chorób, obszarów terapeutycznych, jak i w wymiarze krajowym.

GŁÓWNY WSKAŹNIK GAP

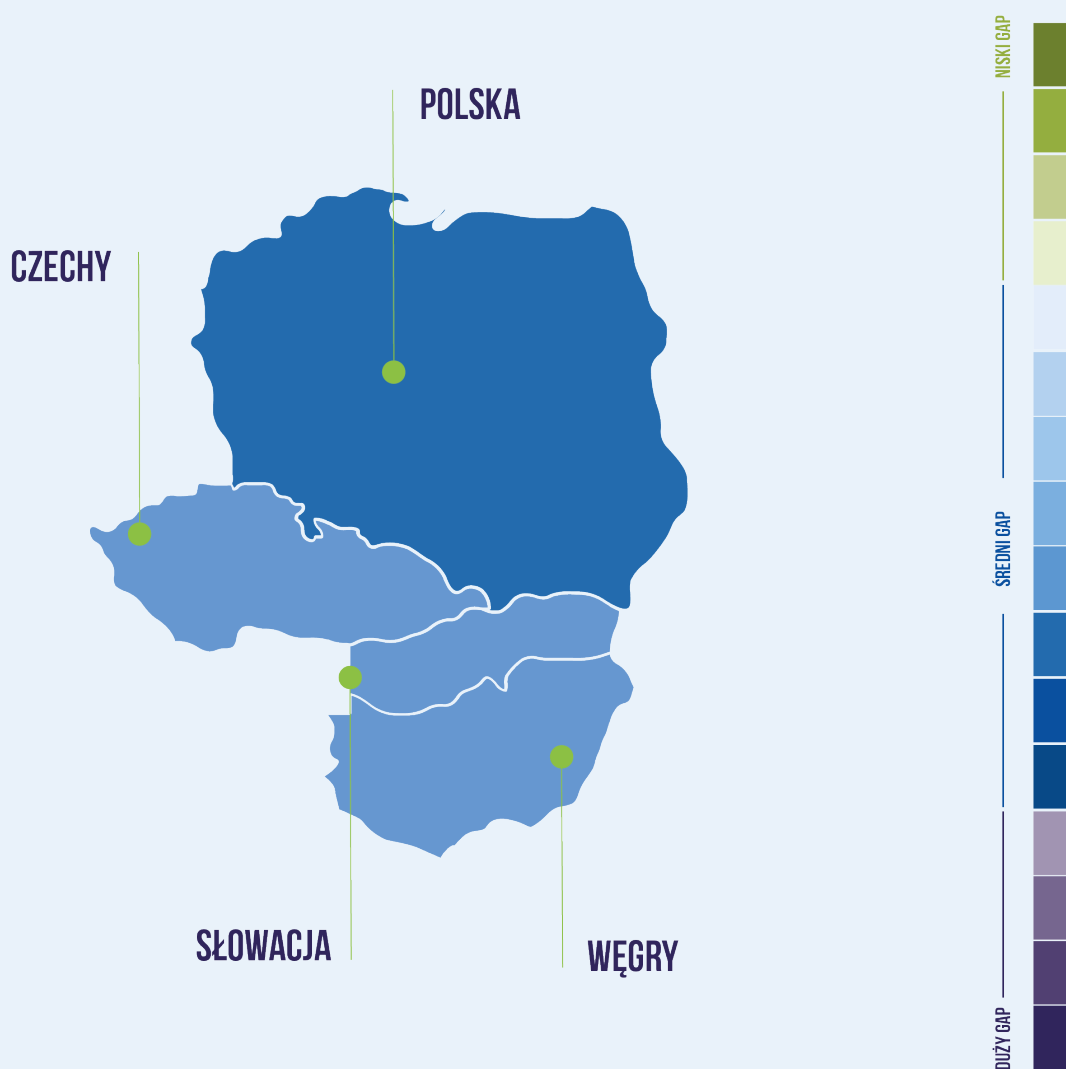
Wyniki dla głównego wskaźnika GAP wskazują na znaczne ograniczenia w dostępie do nowych metod leczenia w zakresie diagnostyki i terapii 10 wybranych do analizy chorób. Żaden z krajów nie uzyskał wyniku powyżej 50 punktów, co wskazuje na duże i umiarkowane ograniczenia w dostępie do innowacji

terapeutycznych. Należy również zauważyć, że występuje wyraźnie zróżnicowanie pomiędzy krajami Grupy Wyszehradzkiej, ponieważ różnica pomiędzy najlepszymi i najgorszymi wynikami wynosi prawie 9 punktów (względna różnica 23%). W każdym z krajów Grupy Wyszehradzkiej występują również znaczne opóźnienia w refundacji, a niezadowolające wyniki w tym zakresie uzyskiwane są w całym regionie, przy czym w poszczególnych obszarach terapeutycznych występują duże różnice pomiędzy krajami V4.

Istnieją dwie główne przyczyny opóźnień w regularnym dostępie do nowych innowacyjnych metod leczenia - opóźnione składanie wniosków refundacyjnych przez firmy farmaceutyczne oraz długi czas trwania procesu refundacyjnego. W krajach Grupy Wyszehradzkiej dostępnych jest jedynie około 50% leków zalecanych w wytycznych klinicznych w latach 2010-2021. Najbardziej niepokojące wyniki dla krajów Grupy Wyszehradzkiej dotyczą wskaźnika opisującego odsetek pacjentów z populacji docelowej leczonych wybranymi lekami innowacyjnymi. Średnia wartość tego wskaźnika nieznacznie przekracza 20% potencjalnej populacji docelowej dla danego leczenia. Główną przyczyną tego stanu rzeczy jest brak regularnej refundacji oraz przedłużające się procesy refundacyjne. Główne wyniki przedstawiono na mapie, na której kolorami zaznaczono wielkość poziom zidentyfikowanych ograniczeń.

Największe ograniczenia występuje w dwóch KPI: ograniczenia w refundacji (KPI1) oraz udział pacjentów stosujących określone nowe leczenie (KPI5).

Średnia wartość zagregowanego wskaźnika najwyższego poziomu w krajach V4.



JAK CZYTAĆ SKALĘ?

Skala pokazuje, jak duże są ograniczenia w dostępie do leków lub świadczeń w danym kraju w danej dziedzinie/ach i aspekcie/ach. Zakres skali to 0-100, wartość 100 oznacza brak ograniczeń w zakresie danego leczenia lub diagnostyki, a 0 oznacza brak dostępu do wybranych leków lub świadczeń. Wyniki przedstawione są w skali kolorystycznej: najlepsze wyniki (75 punktów i więcej) oznaczone są kolorem zielonym, najgorsze wyniki (25 punktów i mniej) kolorem fioletowym, a szeroki zakres wyników średnich oznaczono kolorem niebieskim. Z wyjątkiem zielonej podskali, ciemniejszy odcień odnosi się do gorszych wyników.

Łączne wyniki dla danego kraju i choroby są na ogół niskie lub średnie, co wskazuje na znaczącą potrzebę poprawy możliwości leczenia. W kontekście przyjętej skali oznacza to, że odpowiednie słupki mają najczęściej kolor niebieski, przy czym kolor błękitny wskazuje na mniejsze ograniczenia w dostępie do wybranych metod leczenia lub świadczeń, a kolor granatowy oznacza znaczne ograniczenia w dostępie do terapii.

PRZEGLĄD KRAJÓW

CHOROBY RZADKIE

Wskaźnik na poziomie zbliżonym do 38% występowanie poważnych ograniczeń w dostępie do nowoczesnego leczenia we wszystkich krajach V4.

CHOROBY PRZEWLEKŁE

Średni zbiorczy wskaźnik ograniczeń w dostępie do nowoczesnego leczenia w krajach V4 jest wyraźnie ograniczony. Wskaźnik łączny osiągnął poziom 46%.

ONKOLOGIA

Średni wskaźnik GAP dla wszystkich krajów V4 jest umiarkowany i wynosi blisko 50% maksymalnego możliwego do osiągnięcia wyniku.

CZAS DO REFUNDACJI

Średni czas od rejestracji do refundacji dla wszystkich leków objętych badaniem wynosił 940 dni. Oznacza to, że przez tak długi okres czasu pacjenci nie mogli być leczeni najnowszymi istniejącymi metodami. Średni czas między refundacją a rejestracją waha się od ponad 2,1 roku w Czechach do 3,4 roku w Polsce. Wyniki te wskazują na znaczne opóźnienia w dostępie do najnowszych innowacji, co potencjalnie przekłada się na znaczne obciążenie dla społeczeństwa, a pośrednio na oczekiwaną długość życia.



POLSKA

Onkologia	48
Choroby rzadkie	34
Choroby przewlekłe	34

Najbardziej znaczące ograniczenia w dostępie do opieki zdrowotnej występują w przypadku chorób rzadkich i przewlekłych.



SŁOWACJA

Onkologia	47
Choroby rzadkie	40
Choroby przewlekłe	50

Najbardziej znaczące ograniczenia występują w dostępie do leczenia i diagnostyki w zakresie onkologii i chorób rzadkich.



CZECHY

Onkologia	53
Choroby rzadkie	39
Choroby przewlekłe	57

Ograniczenia w dostępie do leczenia i diagnostyki są najbardziej znaczące w przypadku rzadkich chorób.



WĘGRY

Onkologia	52
Choroby rzadkie	38
Choroby przewlekłe	43

Obszary, w których występują największe ograniczenia w dostępie do diagnostyki i leczenia, to zarówno choroby przewlekłe, jak i rzadkie.

CZECHY



Najdłuższe opóźnienie w refundacji (wyrażone w dniach od rejestracji dla danego wskazania) stwierdzono w przypadku nowych metod leczenia chłoniaka (3,9 roku) i raka jajnika (6,2 roku). Najszybciej podejmowane są decyzje refundacyjne w przypadku nowych terapii w AML, raku prostaty i stwardnieniu rozsianym (1,6-1,8 roku) oraz SMA (0,5 roku).

WĘGRY



Opóźnienie refundacyjne (wyrażone w dniach pomiędzy refundacją a rejestracją dla danego wskazania) było najdłuższe w przypadku nowych terapii w raku jajnika i AML (brak refundacji) oraz mukowiscydozie (5,7 roku). Z kolei najkrótszy czas do uzyskania pozytywnej decyzji refundacyjnej dotyczył SMA (mniej niż 1 rok), cukrzycy (1,3 roku), stwardnienia rozsianego (3 lata) i NSCLC (2,7 roku).

POLSKA



Czas pomiędzy rejestracją w danym wskazaniu a decyzją refundacyjną był najdłuższy w przypadku nowych terapii stosowanych w mukowiscydozie (7,4 roku) i cukrzycy (5,2 roku), a najkrótszy w przypadku NSCLC (2,3 roku) i SMA (1,6 roku).

SŁOWACJA



Najdłuższe opóźnienie w refundacji (wyrażone w dniach od rejestracji leku w danym wskazaniu) stwierdzono w przypadku nowych terapii stosowanych w mukowiscydozie (4,2 roku) oraz niektórych leków i wskazań onkologicznych, w tym raka jajnika (6,3 roku), raka prostaty (4,3 roku) i raka piersi (5,1 roku). Najszybciej podejmowano decyzje o refundacji w przypadku SMA (mniej niż 1 rok), stwardnienia rozsianego (1 rok) i AML (1,2 roku).

ODSETEK PACJENTÓW STOSUJĄCYCH OKREŚLONE NOWE LEKI

Średni odsetek pacjentów leczonych wybranymi lekami w każdej chorobie mieścił się w zakresie od 0 do wartości średnich na skali. Tylko w dwóch chorobach odsetek pacjentów leczonych wybranymi lekami przekroczył 50% (rak jajnika - Polska i Czechy; rak gruczołu krokowego - Węgry, Czechy, Słowacja). W pozostałych przypadkach wyniki można określić natomiast jako bardzo niskie i niskie. W mukowiscydozie i stwardnieniu rozsianym w 2020 r. żaden pacjent nie był leczony wybranymi do pogłębionej analizy lekami. Średnia wartość tego wskaźnika wynosi nieco ponad 20%, co oznacza, że **tylko jedna piąta pacjentów jest leczona wybranymi najnowszymi lekami innowacyjnymi.**

CZECHY

W Czechach poważnym problemem jest niski odsetek pacjentów leczonych wybranymi lekami w chłoniakach oraz inhibitorami PD-1/PD-L1 w niedrobnokomórkowym raku płuca, a także brak pacjentów leczonych wybranymi nowymi lekami w mukowiscydozie i stwardnieniu rozsianym. Czechy charakteryzują się jednak wysokim odsetkiem pacjentów leczonych za pomocą długodziałających analogów insuliny (LAA, ang. *long acting analogues*) w cukrzycy.

SMA, a dodatkowo u bardzo niskiego odsetka pacjentów z AML zastosowano wybrane innowacyjne leki. Na Węgrzech odnotowano wysoki odsetek pacjentów leczonych za pomocą leków z grupy CDKI w raku piersi.

POLSKA

W Polsce poważnym problemem jest brak leczenia wybranymi lekami w SMA, mukowiscydozie, stwardnieniu rozsianym i AML oraz bardzo niski odsetek chorych leczonych za pomocą LAA w cukrzycy.

WĘGRY

Na Węgrzech niepokojąco niski odsetek pacjentów jest obecnie leczonych inhibitorami PARP w raku jajnika oraz stosunkowo niski odsetek pacjentów, u których stosowane są LAA w cukrzycy. Żaden pacjent nie był leczony wybranymi lekami w mukowiscydozie,

SŁOWACJA

Na Słowacji poważnym problemem jest brak leczenia wybranymi lekami w SMA, mukowiscydozie i stwardnieniu rozsianym oraz bardzo niski odsetek pacjentów leczonych inhibitorami PARP w raku jajnika i inhibitorami PD-1/PD-L1 w NSCLC.

UDZIAŁ PACJENTÓW LEZONYCH ZA POMOCĄ NOWYCH TERAPII

	 RAK PIERSI	 NSCLC	 RAK JAJNIKA	 RAK PROSTATY	 AML	 CHŁONIAK	 SMA	 MUKOWISCYDOZA	 CIUKRZYCA	 STWARDNIENIE ROZSIANE
POLSKA	23	22	51	46	0	27	0	0	11	0
WĘGRY	30	18	57	54	15	10	10	0	43	0
CZECHY	14	4	1	55	17	47	0	0	32	0
SŁOWACJA	46	26	28	58	11	32	37	0	24	0

OGRANICZENIA W REFUNDACJI

Wskaźnik ten ma na celu dostarczenie informacji o tym, ile leków jest refundowanych, z uwzględnieniem ewentualnych ograniczeń refundacyjnych (zawężenia populacji). Wyniki uzyskiwane dla tego wskaźnika należą do najniższych spośród wszystkich analizowanych kryteriów. Średnia wartość tego wskaźnika wynosi 25, co oznacza, że tylko co czwarty lek jest refundowany dla całej uprawnionej populacji. Wskaźnik ten pokazuje nam w najbardziej przejrzysty sposób, jaka jest wielkość obecnej luki w dostępie do refundacji.

CZECHY



W Czechach największa liczba ograniczeń w dostępie do nowych metod leczenia dotyczy chorób rzadkich.

Wynika to głównie z barier refundacyjnych, ponieważ liczba technologii objętych refundacją przez płatnika jest ograniczona w następujących wskazaniach: AML (3 technologie refundowane z pewnymi ograniczeniami spośród 9 zarejestrowanych interwencji), SMA (1 technologia refundowana w EAP spośród 3 zarejestrowanych interwencji) i mukowiscydoza (2 technologie refundowane z pewnymi ograniczeniami z 9 zarejestrowanych interwencji). W dwóch chorobach (SM, CF) żaden z leków wybranych do szczegółowej analizy nie był refundowany.

W onkologii ograniczenia refundacyjne są szczególnie widoczne w przypadku raka jajnika (1 technologia refundowana z pewnymi ograniczeniami spośród 5 zarejestrowanych interwencji).

POLSKA



W Polsce największą liczbę ograniczeń w dostępie do nowych metod leczenia można zaobserwować równocześnie w chorobach rzadkich i przewlekłych.

Wynika to głównie z barier refundacyjnych, ponieważ liczba technologii objętych refundacją przez płatnika jest bardzo ograniczona w następujących wskazaniach: AML (1 technologia refundowana z pewnymi ograniczeniami spośród 9 zarejestrowanych interwencji), mukowiscydoza (2 technologie refundowane z pewnymi ograniczeniami spośród 9 zarejestrowanych interwencji), SMA (1 lek refundowany spośród 3 zarejestrowanych interwencji) oraz cukrzyca (8 technologii refundowanych z pewnymi ograniczeniami spośród 36 zarejestrowanych interwencji, żadna analizowana terapia nie była refundowana bez ograniczeń).

Ponadto w czterech chorobach (stwardnienie rozsiane, SMA, mukowiscydoza, AML) żaden z leków wybranych do szczegółowej analizy nie był refundowany w Polsce.

W onkologii ograniczenia refundacyjne są szczególnie widoczne w przypadku raka prostaty (3 technologie refundowane z ograniczeniami spośród 8 zarejestrowanych interwencji).

WĘGRY



Na Węgrzech największe ograniczenia w dostępie do nowych metod leczenia obserwuje się w przypadku chorób rzadkich.

Wynika to głównie z barier refundacyjnych, ponieważ w tych obszarach liczba technologii objętych refundacją przez płatnika jest bardzo ograniczona, oraz z nieodpowiedniej jakości diagnostyki.

Refundacja jest najbardziej ograniczona w przypadku raka jajnika (1 technologia refundowana w ramach programu EAP spośród 5 zarejestrowanych interwencji) oraz chorób rzadkich, w tym AML (2 z 9 zarejestrowanych interwencji są refundowane w ramach programu EAP) i chłoniaków (3 leki refundowane spośród 17 zarejestrowanych interwencji). Ponadto w przypadku dwóch chorób (SM, CF) żaden z nowych leków wybranych do szczegółowej analizy nie był finansowany ze środków publicznych.

SŁOWACJA



Na Słowacji największe ograniczenia w dostępie do nowych metod leczenia występują w onkologii i chorobach rzadkich.

Wynika to głównie z barier refundacyjnych, ponieważ liczba technologii objętych refundacją przez płatnika jest bardzo ograniczona we wskazaniach onkologicznych, w tym głównie w raku jajnika (1 technologia refundowana z pewnymi ograniczeniami

spośród 5 zarejestrowanych interwencji), raku prostaty (3 technologie refundowane, wszystkie z pewnymi ograniczeniami spośród 8 zarejestrowanych interwencji), raku piersi (6 technologii refundowanych, wszystkie z ograniczeniami spośród 14 zarejestrowanych interwencji) oraz w chorobach rzadkich, w tym AML (4 technologie refundowane, wszystkie z pewnymi ograniczeniami spośród 9 zarejestrowanych interwencji), SMA (1 technologia refundowana z pewnymi ograniczeniami spośród 3 zarejestrowanych interwencji), chłoniak (7 technologii refundowanych z pewnymi ograniczeniami spośród 17 zarejestrowanych interwencji) oraz mukowiscydoza (1 technologia refundowana w całości, a dodatkowe 4 refundowane z pewnymi ograniczeniami spośród 9 zarejestrowanych interwencji).

Ponadto w przypadku trzech chorób (SM, CF, SMA) żaden z nowych leków wybranych do szczegółowej analizy nie był refundowany. Jednocześnie w dwóch kolejnych obszarach (NSCLC, OC) odsetek pacjentów leczonych wyróżnionymi lekami był marginalny (<5%).

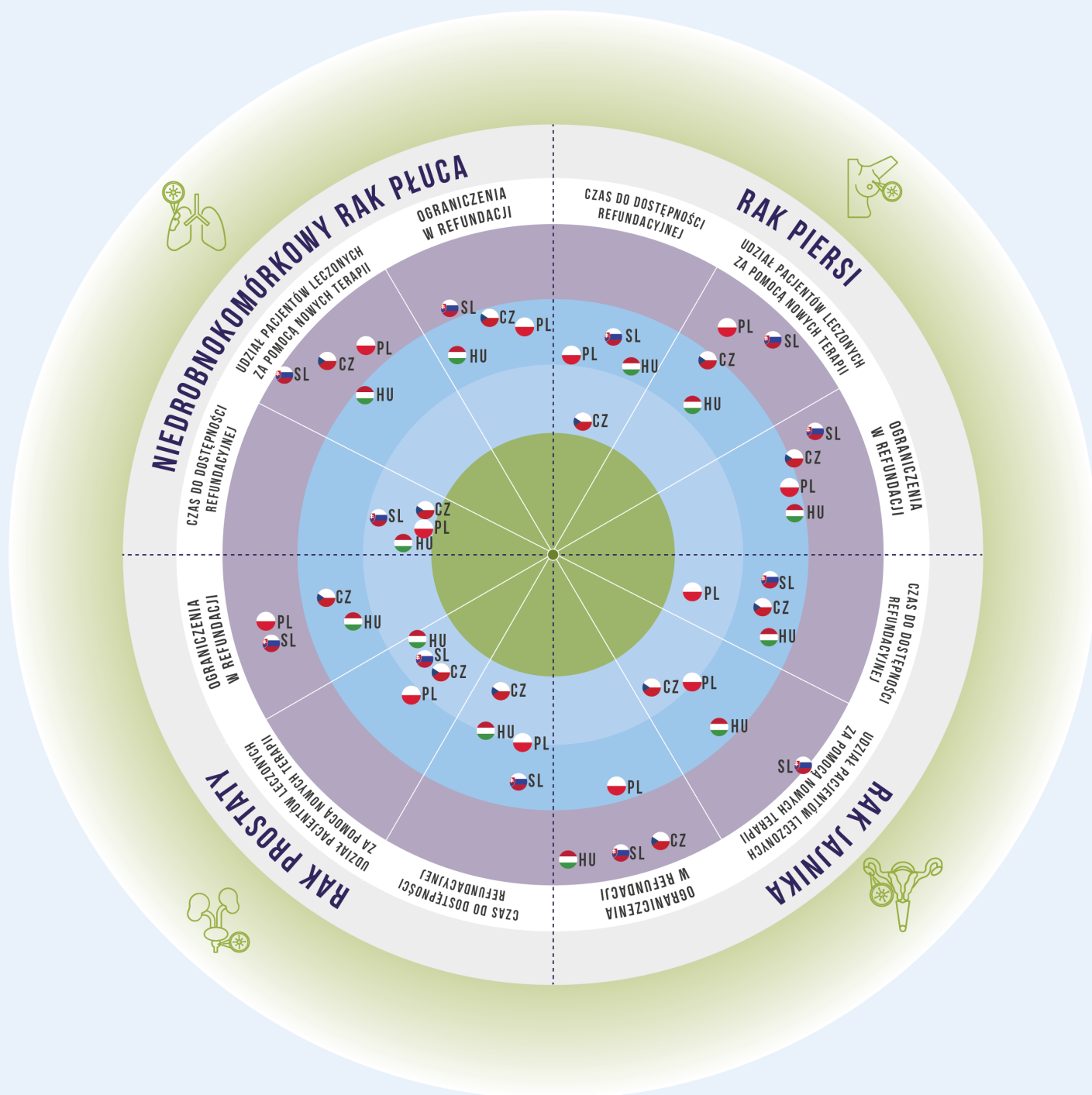
PODSUMOWUJĄC...

Poziom, jaki każdy kraj uzyskuje w zakresie trzech opisanych wcześniej wskaźników, najistotniejszych z punktu widzenia wpływu na rezultaty projektu, podsumowane zostało na poniższych mapach. **Im dalej od środka okręgu znajduje się punkt reprezentujący dany kraj, tym większy jest w nim poziom ograniczeń w dostępie do nowoczesnego leczenia.**



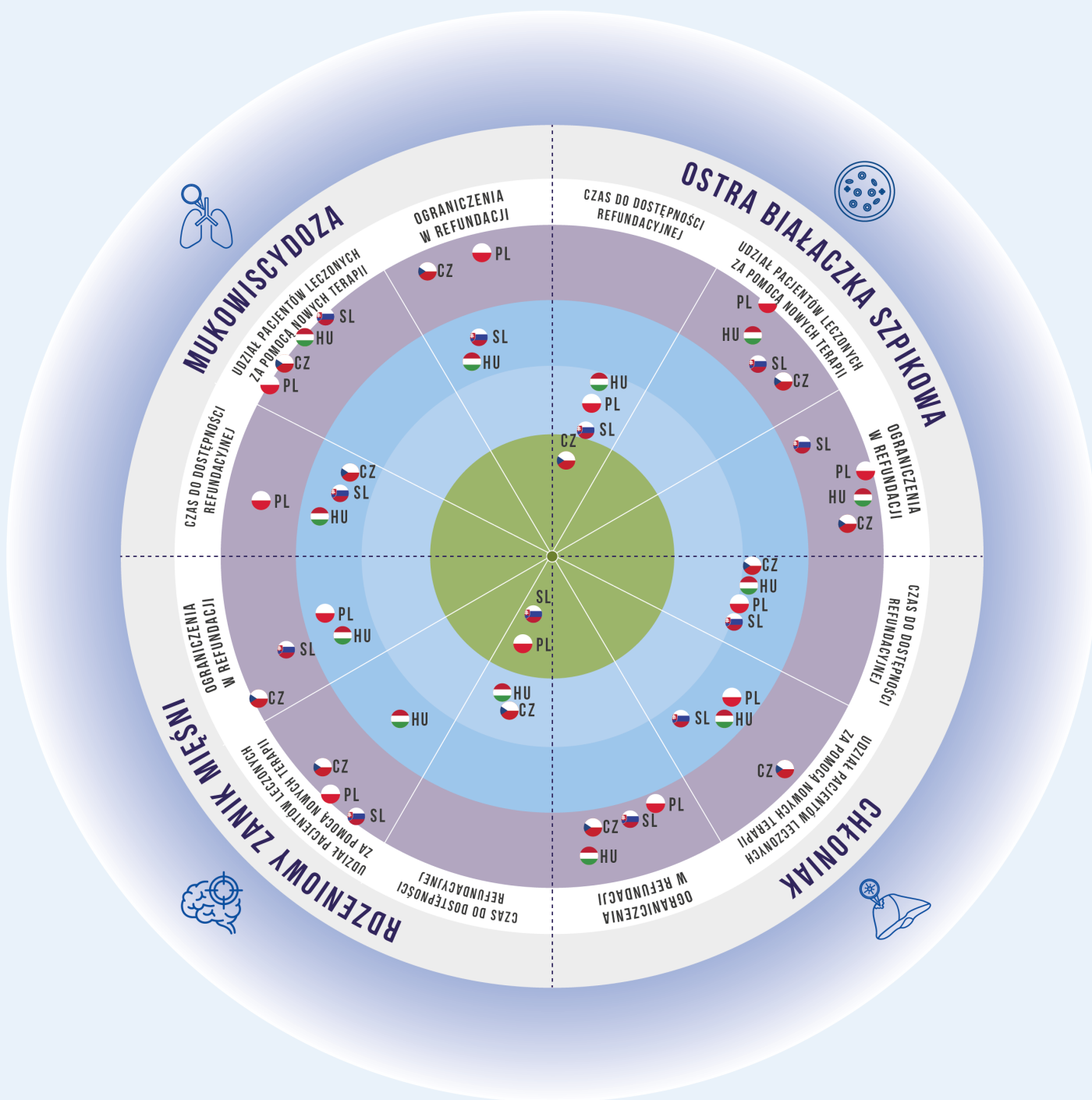
CHOROBY ONKOLOGICZNE

MAPA BARIER

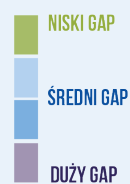


CHOROBY RZADKIE

MAPA BARIER

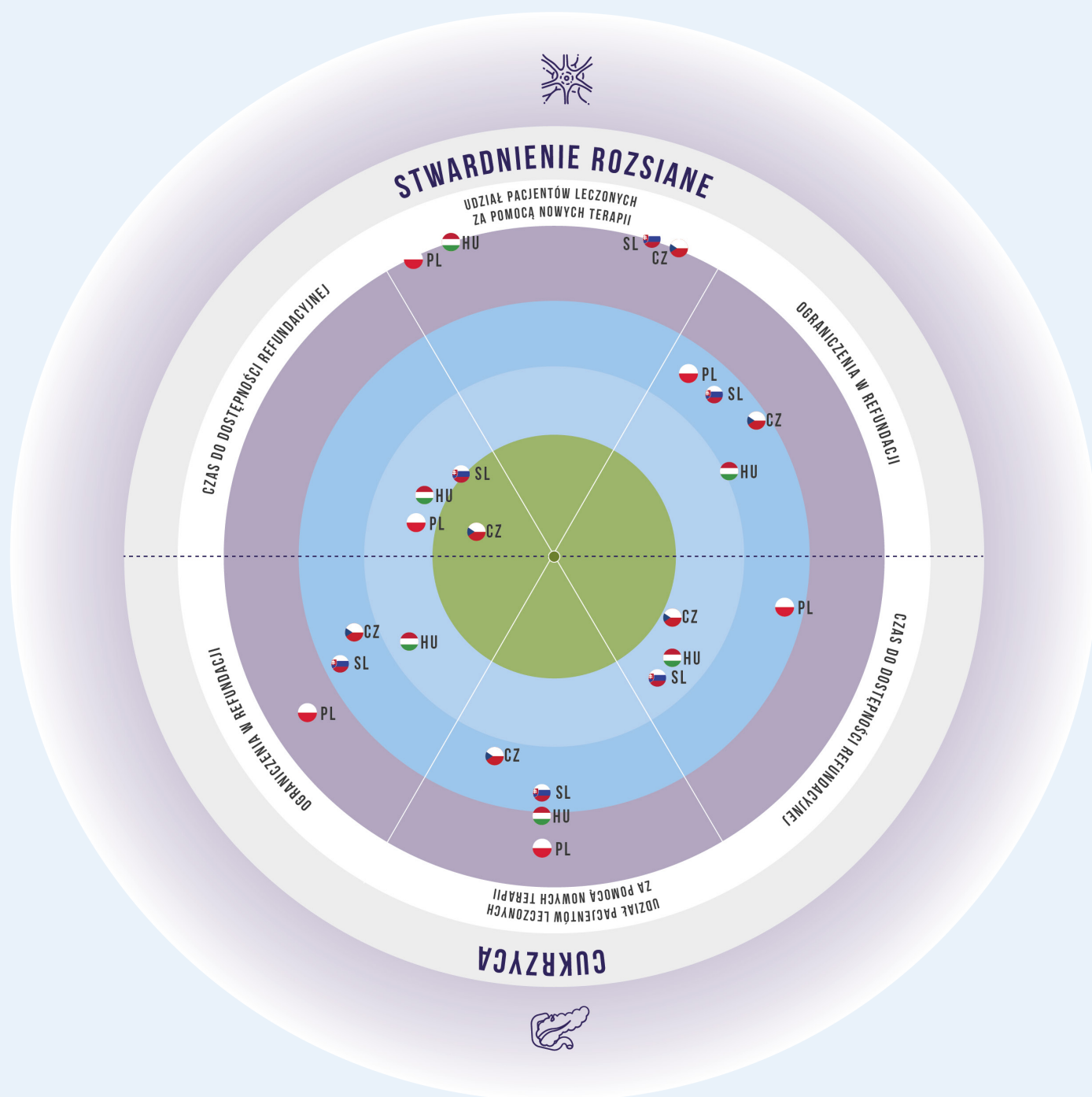


LEGENDA



CHOROBY PRZEWLEKŁE

MAPA BARIER



LEGENDA

-

- 
- NISKI GAP
- ŚREDNI GAP
- DUŻY GAP

WNIOSKI Z RAPORTU

RÓŻNICE W DOSTĘPIE DO TERAPII W KRAJACH GRUPY WYSZEHRADZKIEJ SĄ DUŻE – NAJWYŻSZY CZAS NA DZIAŁANIE

Projekt GAP pokazuje, że konieczne jest zarówno zwiększenie liczby refundowanych terapii, jak i wyeliminowanie barier, które ograniczają dostęp do tych objętych refundacją. Opracowane wskaźniki potwierdziły, że należy skrócić czas pomiędzy rejestracją leku a jego refundacją oraz w znaczący sposób poprawić dostęp do diagnostyki. Wyzwania związane z procedurami refundacyjnymi i odpowiednio szybkim dostępem do diagnostyki to obszary, w których konieczne może być podjęcie wspólnych działań. Zidentyfikowano luki i potencjalne obszary wymagające dalszej poprawy, ale wykazano również, że niektóre z ostatnich inicjatyw krajowych przynoszą wyraźnie widoczne rezultaty. Na Węgrzech uzyskane wyniki pokazują stosunkowo dobre rezultaty w zakresie udziału leczonych najnowocześniejszymi lekami pacjentów w przypadku chorób rzadkich, głównie dzięki szeroko zakrojonym programom wczesnego dostępu w ramach indywidualnego dostępu do terapii, a w Czechach wysoki wynik charakteryzujący czas do refundacji odzwierciedla nowe i skuteczne procedury cenowe i refundacyjne.

Najwyższy łączny poziom ograniczeń w dostępie do nowoczesnego leczenia dla Grupy Wyszehradzkiej stwierdzono w przypadku chorób rzadkich, w których wyniki były gorsze niż te uzyskane w chorobach onkologicznych i przewlekłych. Liczba dostępnych leków w chorobach rzadkich jest ograniczona we wszystkich krajach, zwłaszcza w przypadku rdzeniowego zaniku mięśni i mukowiscydozy. Z kolei w przypadku rzadkich chorób onkologicznych występuje znacznie większe zróżnicowanie pomiędzy poszczególnymi krajami Grupy Wyszehradzkiej, co wskazuje na duże nierówności w dostępie do najnowszych technologii medycznych. Wyniki analizy w zakresie leczenia onkologicznego są najlepsze spośród analizowanych kategorii, jednak różnice między krajami Grupy Wyszehradzkiej są tu znaczne - zwłaszcza w przypadku raka jajnika i prostaty. Największy rozrzut wyników GAP pomiędzy krajami Grupy Wyszehradzkiej obserwuje się natomiast w przypadku chorób przewlekłych. Czas dostępu i zakres dostępnych opcji refundacyjnych jest zróżnicowany, szczególnie w przypadku cukrzycy.

W każdej z analizowanych chorób zidentyfikowano co najmniej istotne ograniczenia w dostępie do najnowszych opcji terapeutycznych oraz szybkiej diagnostyki. Na przykładzie tych wybranych jednostek chorobowych można wnioskować, że podobne ograniczenia występują również w innych chorobach. Oznacza to, że pacjenci w krajach Grupy Wyszehradzkiej nie są leczeni w najbardziej optymalny sposób, zgodnie z wytycznymi klinicznymi. Przyczynia się to do nieoptymalnych wyników zdrowotnych, zwiększonego obciążenia DALY i zwiększonych kosztów pośrednich.

NOTATKI

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

.....

