



Instrumenty podziału ryzyka w systemie refundacji leków w Polsce i na świecie



Warszawa | kwiecień 2015

Raport zlecony i sfinansowany przez:

Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA

ul. Puławska 182, 02-670 Warszawa

tel.: +48 22 417 01 70, faks: +48 22 468 87 05

www.infarma.pl



Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA reprezentuje 29 wiodących firm sektora farmaceutycznego działających w Polsce, prowadzących działalność badawczo-rozwojową i produkujących leki innowacyjne. INFARMA jest członkiem międzynarodowych organizacji zrzeszających innowacyjną branżę farmaceutyczną (m.in. EFPIA), a także Pracodawców RP oraz Krajowej Izby Gospodarczej.

Niniejszy raport sporządziły firmy:

HTA Consulting
Sp. z o.o. Sp. K.
www.hta.pl



Sequence HC Partners
Sp. z o.o.
www.sequence.pl



Kancelaria Prawa
Ryś i Współpracownicy
www.kprw.pl



Projekt zrealizowano we współpracy z Uczelnią Łazarskiego



Redaktor i kierownik projektu:

Magdalena Władysiuk

Autorzy:

HTA Consulting: Magdalena Władysiuk, Robert Plisko, Ewa Hetnał, Michał Pochopień, Barbara Gad, Kaja Kostrzewska

KPRW: Jakub Adamski

Sequence HC Partners: Stefan Bogusławski, Magdalena Mikułowska

Opieka merytoryczna ze strony INFARMY:

Joanna Lis

Projekt zakończono:

2 lutego 2015

Korekta:

Teresa Jędrzejewska

Przygotowanie i druk:

Piotr Kosowski, LMS media

Raport jest chroniony prawem autorskim.

Spis treści

Indeks skrótów	3
Słowo wstępne	5
Wprowadzenie	7
 1. Streszczenie	 9
 2. RSA – risk sharing agreements. Definicje i typologia	 21
2.1. Wprowadzenie do definicji RSA	21
2.2. Powody zawierania RSA	23
2.3. Typologia RSA – literatura i podstawowe zagadnienia	26
2.4. Rodzaje RSA	29
2.5. Typy RSA	30
2.5.1. Umowy oparte na wykorzystaniu środków	30
2.5.2. Umowy oparte na wynikach zdrowotnych	37
 3. Zastosowanie RSA na świecie	 47
3.1. Zestawienie wykorzystywania RSA na świecie	47
3.2. Zastosowanie RSA na przykładzie wybranych państw	55
3.2.1. Wielka Brytania	55
3.2.2. Włochy	64
 4. RSA w Polsce – stan obecny	 75
4.1. Wstęp	75
4.2. RSA w świetle obowiązujących przepisów	76
4.3. RSA – dotychczasowa praktyka	79
4.4. RSA – wniosek i postępowanie refundacyjne	85

5. RSA w Polsce – wdrażanie i implementacja	91
6. RSA w Polsce – rekomendacje	109
6.1. Wprowadzenie	109
6.2. Rekomendacje ogólne	111
6.2.1. Rozwój instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce – komunikacja	111
6.2.2. Zarządzanie realizacją RSA	113
6.3. Rekomendacje szczegółowe	114
6.3.1. Wytyczne i wnioski dla RSA	114
6.3.2. Ocena wniosków RSA	117
6.3.3. Procedury wdrażania instrumentów dzielenia ryzyka	119
6.3.4. Wdrażanie RSA – współpraca ze świadczeniodawcami i wnioskodawcami	121
6.3.5. Poufność instrumentów	122
6.3.6. Nieodpłatne dostawy leków w RSA	123
6.3.7. Wdrażanie instrumentów opartych na efektach zdrowotnych (outcome based)	125
6.3.8. Wdrażanie instrumentów opartych na refundacji warunkowej (conditional reimbursement)	129
Załączniki	133
Załącznik 1. Wytyczne wniosków RSA	133
Australia	133
Anglia	134
Walia	137
Szkocja	138
Załącznik 2. Refundacja leków w lecznictwie zamkniętym	141
Zawieranie umów ze świadczeniodawcami	141
Nabywanie leków przez świadczeniodawców	143
Sprawozdanie udzielonych świadczeń do Narodowego Funduszu Zdrowia	144
Portale i komunikaty sprawozdawcze – Portal świadczeniodawców, Potral świadczeniodawców SZOI, SWIAD, FZX, SMPT	144
Kontrola świadczeniodawców przez NFZ	151
Bibliografia	153

Indeks skrótów

AIFA	Włoska Agencja Leków (<i>Agenzia Italiana del Farmaco</i>)
CAD	Rodzaj RSA związany z wynikami badania obserwacyjnego (np. rejestry) (<i>Coverage with Appropriateness Determination</i>)
CIPE	Interministerialny Komitet Planowania Ekonomicznego (<i>Comitato Interministeriale per la Programmazione Economia</i>)
(C)CED	Rodzaj RSA warunkujący refundację danej technologii zebraniem dodatkowych dowodów uzasadniających kontynuację, rozszerzenie lub przerwanie terapii (<i>Conditional Coverage with Evidence Development</i>)
CFFE	Rodzaj RSA funkcjonujący w Kanadzie, warunkujący refundację danej technologii zebraniem dodatkowych dowodów uzasadniających kontynuację, rozszerzenie lub przerwanie terapii (<i>Conditionally Funded Field Evaluation</i>)
CSP	Rodzaj RSA związany z wynikami badania obserwacyjnego (<i>Coverage with Study Participation</i>)
CSS	Schematy podziału kosztów (<i>Cost Sharing Schemes</i>)
CTC	Rodzaj RSA opartego na uzyskiwanych efektach, polegający na refundacji warunkowej uzależnionej od realizacji krótkoterminowych celów terapeutycznych (<i>Conditional Treatment Continuation</i>)
DH	Departament Zdrowia Wielkiej Brytanii (<i>Department of Health</i>)
DOT	Dni terapii (<i>Days Of Treatment</i>)
HTA	Ocena technologii medycznych (<i>Health Technology Assessment</i>)
MAS	Określenie zbiorcze dla RSA ukierunkowanych na zmniejszenie ryzyka związanego z niepewnością oszacowań, dzięki zgromadzeniu dodatkowych danych (CED, OIR oraz CFFE) (<i>Managed Access Schemes</i>)
MEA	Alternatywne dla RSA określenie umów zawieranych pomiędzy producentem a decydentem mające na celu umożliwienie włączenia nowej technologii medycznej do publicznego finansowania (<i>Managed Entry Agreements</i>)
MSRSS	Przykład PAS zawartego w 2002 roku dla leczenia stwardnienia rozsianego (<i>Multiple Sclerosis Risk Sharing Scheme</i>)
NHS	Narodowa Służba Zdrowia w Wielkiej Brytanii (<i>National Health Service</i>)
NICE	Narodowy Instytut Zdrowia i Doskonałości Klinicznej (<i>National Institute for Health and Clinical Excellence</i>)
OsMED	Centrum Monitorowania Utylizacji Leków we Włoszech (<i>Osservatorio Nazionale sull'impiego dei Medicinali</i>)
P4P	Rodzaj RSA opartego na uzyskiwanych efektach (<i>Pay for Performance</i>)
PAS	Porozumienia podziału ryzyka zawierane w Wielkiej Brytanii (<i>Patient Access Schemes</i>)
PASLU	Jednostka NICE odpowiedzialna za doradztwo w zakresie propozycji PAS (<i>Patient Access Scheme Liaison Unit</i>)

PATH	Instytut naukowy odpowiadający za zbieranie danych w ramach CFFE w Kanadzie (<i>Programs for Assessment of Technology in Health</i>)
PbR	Rodzaj RSA opartego na uzyskiwanych efektach (<i>Payment by Results</i>)
PKB	Produkt Krajowy Brutto
PPRS	System kontroli cen leku wprowadzony w 2009 roku w Wielkiej Brytanii (<i>Pharmaceutical Price Regulation Scheme</i>)
PVA	Porozumienia cenowo-wolumenowe (<i>Price Volume Agreement</i>)
RSA	Porozumienia podziału ryzyka (<i>Risk Sharing Agreements</i>)
RSS	Schematy podziału ryzyka (<i>Risk Sharing Schemes</i>)
SSN	Narodowa Służba Zdrowia we Włoszech (<i>Servizio Sanitario Nazionale</i>)
OIR	Rodzaj RSA opartego na wynikach dalszych badań, polegający na ograniczeniu refundacji stosowania danej technologii medycznej do badań klinicznych (<i>Only in Research</i>)
OWR	Rodzaj RSA opartego na wynikach dalszych badań, zgodnie z którym część pacjentów poddanych refundowaną terapią musi zostać objęta odpowiednim badaniem klinicznym (<i>Only with Research</i>)
PBSz	Przewlekła Białaczka Szpikowa
PFN	Wykaz leków refundowanych we Włoszech (<i>Prontuario Farmaceutico Nazionale</i>)
Ph+	Obecność chromosomu Filadelfia (<i>Presence of Philadelphia chromosome</i>)

Słowo wstępne

Przekazujemy Państwu raport wykonany na zlecenie Związku Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA: „Instrumenty podziału ryzyka w systemie refundacji leków w Polsce i na świecie”.

INFARMA uważa instrumenty dzielenia ryzyka za bardzo ważną i perspektywiczną metodę wprowadzania nowoczesnych leków do systemu refundacyjnego w Polsce. Jest to niewątpliwie jeden z pozytywnych efektów ustawy o refundacji leków, która otworzyła duże możliwości w tym obszarze.

Jasne jest, iż wprowadzanie takich instrumentów wymaga specyficznych rozwiązań organizacyjnych, proceduralnych i prawnych związanych np. z rejestracją pacjentów. Sądzymy, że przygotowanie takich rozwiązań jest konieczne w związku z wchodzeniem na rynek nowych, skutecznych terapii.

Dlatego też INFARMA zaangażowała się w budowanie platformy dialogu między interesariuszami systemu ochrony zdrowia, zainteresowanymi stosowaniem instrumentów dzielenia ryzyka – Ministerstwem Zdrowia, Narodowym Funduszem Zdrowia, Agencją Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, jak również świadczeniodawcami i klinicystami. Naszym wspólnym celem jest zrozumienie wzajemnych stanowisk, a także wypracowanie podwalin pod rozwiązania organizacyjne i prawne służące polskim pacjentom i lekarzom, tak aby do refundacji były wprowadzane, szybciej niż dotychczas, nowe leki.

W imieniu INFARMY pragnę podziękować przedstawicielom resortu zdrowia, a także NFZ i AOTMiT za zaangażowanie na wszystkich etapach projektu, wkład merytoryczny i konstruktywne uwagi. Dziękuję firmom HTA Consulting, Sequence HC Partners oraz Kancelarii Prawa Ryś i Współpracownicy, które przygotowały raport, oraz Uczelni Łazarskiego, we współpracy z którą zrealizowano ten projekt. Podziękowania należą się również wszystkim osobom zaangażowanym w opracowanie i wydanie tego raportu.

Paweł Sztwiertnia
Dyrektor Generalny INFARMY

Wprowadzenie

Przedstawiamy Państwu raport będący efektem wielomiesięcznych prac kilkudziesięciu osób reprezentujących instytucje publiczne (w tym Ministerstwo Zdrowia, NFZ, AOTMiT*), przemysł farmaceutyczny, klinicystów, dystrybutorów leków oraz ekspertów. To liczne grono osób spotykało się w trakcie kolejnych, częstych spotkań, aby omawiać rozwój instrumentów dzielenia ryzyka – ważnego narzędzia istotnie ułatwiającego refundację nowych technologii medycznych w naszym kraju.

Wydatki na opiekę zdrowotną w Polsce są bardzo niskie w porównaniu do krajów Unii Europejskiej, również „nowej” Unii. Jednak pacjenci i lekarze oczekują jak najszybszego i najszerzego dostępu do nowych metod diagnostyki i terapii. Znaczny rozróżnienie pomiędzy możliwościami finansowymi systemu a oczekiwaniami społecznymi nakłada na nas obowiązek pilnego poszukiwania rozwiązań, pozwalających udostępniać nowoczesne technologie osobom ich potrzebującym.

Instrumenty dzielenia ryzyka (RSA) są jednym ze sposobów realizacji takich potrzeb. Pozwalają na refundację nowych technologii medycznych, doprowadzając do sytuacji, w której płatnik płaci za efekt zdrowotny, oszczędzając wydatki, gdy tego efektu nie ma lub jest on niewystarczający. RSA są jednak złożonymi narzędziami, wymagającymi dobrze uregulowanej i przejrzystej współpracy płatnika, wytwórców leków, świadczeniodawców (na ogół szpitali), lekarzy oraz dystrybucji farmaceutycznej.

Proces implementacji RSA wymaga dobrego zaplanowania. Warto także podkreślić, że skuteczne wdrożenie instrumentów dzielenia ryzyka w refundacji leków to tylko początek drogi. Nie mam bowiem wątpliwości, że przyszłość wszystkich systemów opieki zdrowotnej leży w koncepcie *pay for performance*. Im szybciej się tego nauczymy, tym bardziej efektywny będzie nasz system ochrony zdrowia.

Projekt „RSA w Polsce” był, z mojej perspektywy, rzadkim przypadkiem bardzo otwartej i konstruktywnej wymiany poglądów między wszystkimi interesariuszami systemu refundacji leków. Pozwolił on na identyfikację miejsc, w których można dokonać poprawy istniejących procesów, ale także obszarów i kierunków rozwoju – zwłaszcza w zakresie RSA opartych o efekty zdrowotne i o warunkową refundację. Wszystkie strony bardzo zaangażowały się w dialog, co oczywiście przyniosło dobre rezultaty, choćby w postaci praktycznych rekomendacji będących podsumowaniem niniejszego raportu. Nie do przecenienia jest dobra atmosfera spotkań, zjawisko chyba nieczęste w kontaktach zaangażowanych stron.

Bardzo serdecznie dziękuję uczestnikom tej „wycieczki w nowoczesność” w zarządzaniu refundacją leków. Dzięki ich otwartości, ciężkiej pracy i zaangażowaniu pokazaliśmy sobie wszyscy, że wspólna praca i dialog dają dobre rezultaty. Oby takich wydarzeń było więcej.

Stefan Bogusławski i zespół projektowy RSA

* AOTMiT – 1 stycznia 2015 r. weszła w życie Ustawa z dnia 22 lipca 2014 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz niektórych innych ustaw (Dz.U. z 2014 r., poz. 1138), zmieniająca nazwę i zakres zadań Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, oraz Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 15 grudnia 2014 r. w sprawie nadania statutu Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (Dz.U. z 2014 r., poz. 1862).

1. Streszczenie

Wprowadzenie

Wydatki na opiekę zdrowotną w Polsce są niskie w porównaniu z pozostałymi krajami Unii Europejskiej, również tej „nowej”. Jednakże zarówno pacjenci jak i lekarze oczekują szybkiego i szerokiego dostępu do nowych metod diagnostyki i terapii. Liczba nowych technologii rośnie z każdym rokiem, media skutecznie informują opinię publiczną o ich istnieniu i efektach działania. Znaczny rozróżnienie pomiędzy możliwościami finansowymi systemu a oczekiwaniami społecznymi zmusza interesariuszy do pilnego poszukiwania nowych rozwiązań, pozwalających udostępnić nowoczesne technologie osobom ich potrzebującym. Kontrola wydatków, przy oczywistych ograniczeniach budżetowych i potrzebie zapewnienia *value pricing*, jest realizowana w wielu krajach przy zastosowaniu nowoczesnych instrumentów finansowania, w tym narzędzi podziału ryzyka, które również w Polsce są coraz częściej wykorzystywane dla zwiększenia dostępności terapii.

Podstawowym celem projektu „RSA – instrumenty podziału ryzyka w Polsce i na świecie” była analiza funkcjonowania instrumentów dzielenia ryzyka (*risk sharing agreements*, RSA) w naszym kraju oraz przedstawienie praktycznych rekomendacji dotyczących ich dalszego rozwoju na tle doświadczeń innych państw. RSA są obecnie jednym z najważniejszych narzędzi refundacyjnych, które umożliwiają polskim pacjentom dostęp do nowoczesnych, skutecznych, lecz jednocześnie kosztownych technologii medycznych. Poszerzenie wachlarza faktycznie wykorzystywanych typów RSA umożliwi dalszą poprawę jakości i skuteczności leczenia polskich pacjentów z jednoczesnym racjonalnym wykorzystaniem dostępnych środków publicznych, a więc zabezpieczeniem stabilności finansowej płatnika publicznego. W ramach projektu zebrano i przedstawiono system stosowanych pojęć, podziałów i typów RSA wraz z przykładami z innych państw, a także omówiono mechanizmy ich tworzenia oraz realizacji. Zebrane informacje mają służyć podniesieniu świadomości interesariuszy i ich wzajemnej edukacji, co przyczynić się może do poprawy implementacji instrumentów w systemie opieki zdrowotnej.

Opracowany raport jest efektem wielomiesięcznej pracy i zaangażowania kilkudziesięciu osób reprezentujących instytucje publiczne (w tym Ministerstwo Zdrowia, NFZ i AOTMiT), przemysł farmaceutyczny, klinicystów, dystrybutorów leków oraz ekspertów akademickich i rynkowych. To liczne grono osób uczestniczyło w regularnych spotkaniach, aby omawiać sytuację i rozwój instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce.

RSA w Polsce – stan obecny

Wraz ze zwiększeniem nakładów na ochronę zdrowia po 2004 roku nastąpił znaczący wzrost wydatków na leki finansowane ze środków publicznych¹. Organy administracji publicznej stanęły przed koniecznością znalezienia rozwiązań mających na celu zapewnienie stabilności budżetu płatnika publicznego, przy jednoczesnym zwiększaniu dostępności pacjentów do nowych terapii. Niskie wydatki na ochronę zdrowia w Polsce, w tym, w szczególności,

¹ Uzasadnienie rządowego projektu Ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych – druk sejmowy nr 3491.

bardzo niskie publiczne wydatki na leki na receptę (w 2011 r. w Polsce wynosiły one 0,6% PKB²) nie dają zbyt dużej przestrzeni na finansowanie nowych, często bardzo oczekiwanych, technologii medycznych. Wraz z rozwojem współpracy międzynarodowej, będącej skutkiem przystąpienia do Unii Europejskiej i koniecznością dostosowania przepisów prawa polskiego regulujących finansowanie leków ze środków publicznych do standardów unijnych³, Ministerstwo Zdrowia zaczęło coraz uważniej przyglądać się nowoczesnym rozwiązaniom, które w tym samym czasie rozwijano w innych państwach członkowskich. Działania te zbiegły się ze znaczącym wzrostem zainteresowania drogimi terapiami m.in. dla chorób rzadkich, które w coraz większej liczbie i przy coraz wyższej cenie zaczęły być dopuszczane do obrotu na terytorium Unii Europejskiej w związku z obowiązującym rozporządzeniem w sprawie sierocych produktów leczniczych⁴. Wraz z pojawieniem się komunikatu Komisji Europejskiej⁵ oraz zaleceń Rady Unii Europejskiej⁶ zwiększyło się zapotrzebowanie na działania w tym obszarze.

Instrumenty dzielenia ryzyka zostały wprowadzone Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (dalej zwana ustawą o refundacji)⁷. Wprowadzenie RSA do decyzji refundacyjnych wydawanych przez ministra zdrowia było naturalną konsekwencją konieczności godzenia rosnących potrzeb pacjentów i możliwości płatnika. Jednocześnie rozwiązanie to odpowiadało kierunkowi przyjętych zmian w systemie refundacji leków i pozwoliło na ich formalną implementację.

Ustawa o refundacji wprowadza otwarty zakres rozwiązań, które mogą zostać przyjęte jako instrument dzielenia ryzyka. Mogą one polegać m.in. na:

- uzależnieniu wielkości przychodu wnioskodawcy od uzyskiwanych efektów zdrowotnych (porozumienia oparte na uzyskiwanych efektach),
- uzależnieniu wysokości urzędowej ceny zbytu od zapewnienia przez wnioskodawcę dostaw po obniżonej, ustalonej w negocjacjach, cenie leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobu medycznego (porozumienia rabatowe),
- uzależnieniu wysokości urzędowej ceny zbytu od wielkości obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobem medycznym (porozumienia cenowo-wolumenowe),
- uzależnieniu wysokości urzędowej ceny zbytu od zwrotu części uzyskanej refundacji podmiotowi zobowiązanemu do finansowania świadczeń ze środków publicznych (porozumienia typu *payback*) lub
- ustaleniu innych warunków refundacji mających wpływ na zwiększenie dostępności do świadczeń gwarantowanych lub obniżenie kosztów tych świadczeń⁸.

Co do zasady, w ramach ostatniego z wymienionych rozwiązań, możliwe jest wprowadzanie złożonych narzędzi odpowiadających stosowanym na świecie RSA opartych na mechanizmach finansowych lub zależnych od wyników zdrowotnych (instrumenty oparte o efekty zdrowotne – *outcome based schemes* lub na refundacji warunkowej – *conditional reimbursement*). Faktyczny zakres stosowanych instrumentów oraz sposób ich realizacji uzależniony jest jednak od regulacji opisanych także w odrębnych aktach prawnych, regulujących poszczególne dziedziny, np. zamówienia publiczne czy przetwarzanie danych osobowych. Ich wdrażanie zależy także od praktycznych aspektów zarządzania systemem rozliczeń świadczeń medycznych prowadzonym przez NFZ.

² Bogusławski S, Smaga A, Falkiewicz B, Kielczewski T, Burliński P, Matczak M, Czarnuch M, Piekłak M, Łajszczak Sz.: Wpływ Ustawy o refundacji leków na dostęp pacjenta do farmakoterapii, budżet NFZ oraz branżę farmaceutyczną. Ocena skutków regulacji. INFARMA. Warszawa 2014.

³ Dyrektywa Rady Nr 89/105/EWG z dnia 21 grudnia 1988 r. dotyczącej przejrzystości środków regulujących ustalanie cen na produkty lecznicze przeznaczone do użytku przez człowieka oraz włączenia ich w zakres krajowego systemu ubezpieczeń zdrowotnych (Dz.U. UE L 40 z 11.02.1989, str. 8), zwana dalej również „dyrektywą przejrzystości”.

⁴ Rozporządzenie nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie sierocych produktów leczniczych (Dz.U. UE L 18 z 22.1.2000, str. 1).

⁵ Communication from the Commission to the European Parliament, The Council, The European Economic Committee and the Committee of the Regions on Rare Diseases: Europe's challenges [COM (2008) 679] – http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf

⁶ Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases (2009/C 151/02) – <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>

⁷ Dz.U. z 2011 r., Nr 122, poz. 696, z późn. zm.

⁸ Art. 11 ust. 5 ustawy o refundacji.

Na świecie instrumenty pozwalają na refundację nowych technologii medycznych w złożonych RSA (zwłaszcza *outcome based schemes* oraz *conditional reimbursement*), dzięki temu, iż płatnik płaci tam za efekt zdrowotny, oszczędzając wydatki, gdy tego efektu nie ma lub jest on niewystarczający. By ten cel osiągnąć, RSA wymagają dobrze uregulowanej i przejrzystej współpracy płatnika, wytwórców leków, świadczeniodawców (na ogół szpitali), lekarzy oraz dystrybucji farmaceutycznej. Procesów implementacji i realizacji RSA nie da się skutecznie prowadzić bez dobrego ich zaplanowania i ciągłego monitorowania ich przebiegu.

Wprowadzenie instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce w ustawie o refundacji miało służyć osiągnięciu kilku celów szczególnych (zgodnie z uzasadnieniem w ustawie o refundacji)⁹:

- umożliwieniu dostępu nowych technologii medycznych w koszcie odpowiadającym możliwościom płatnika publicznego;
- zwiększeniu dostępnego wachlarza narzędzi służących do ograniczenia wydatków publicznych na ochronę zdrowia w ramach prowadzonych przez Komisję Ekonomiczną negocjacji z wnioskodawcami;
- ograniczeniu negatywnych skutków powszechnego stosowania przez państwa członkowskie Unii Europejskiej systemów cen referencyjnych, opartych na cenach produktów poprzez ich porównywanie pomiędzy poszczególnymi krajami – ceny w Polsce należą do najniższych w Europie, co stanowi istotny argument wnioskodawców przeciwko dalszemu obniżaniu cen urzędowych, gdyż skutkowałoby to efektem domina – obniżeniem cen w innych państwach i pogorszeniem sytuacji związanej z eksportem równoległym¹⁰.

Ze względu na poufność instrumentów dzielenia ryzyka brak jest publicznie dostępnych statystyk dotyczących ich stosowania w praktyce w Polsce. Według informacji publikowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia na podstawie zawartych instrumentów typu *payback* Fundusz otrzymał do końca 2013 r. około 313 mln zł, tj. w 2012 r. – 124,2 mln zł, a w 2013 r. – 188,7 mln zł. Kwoty te nie oddają jednak w pełni skutku zawieranych instrumentów i należy je uznać za zdecydowanie zaniżone wobec rzeczywistego skutku finansowego zastosowanych już RSA, chociażby ze względu na nieuwzględnianie rabatów udzielonych na ich podstawie.

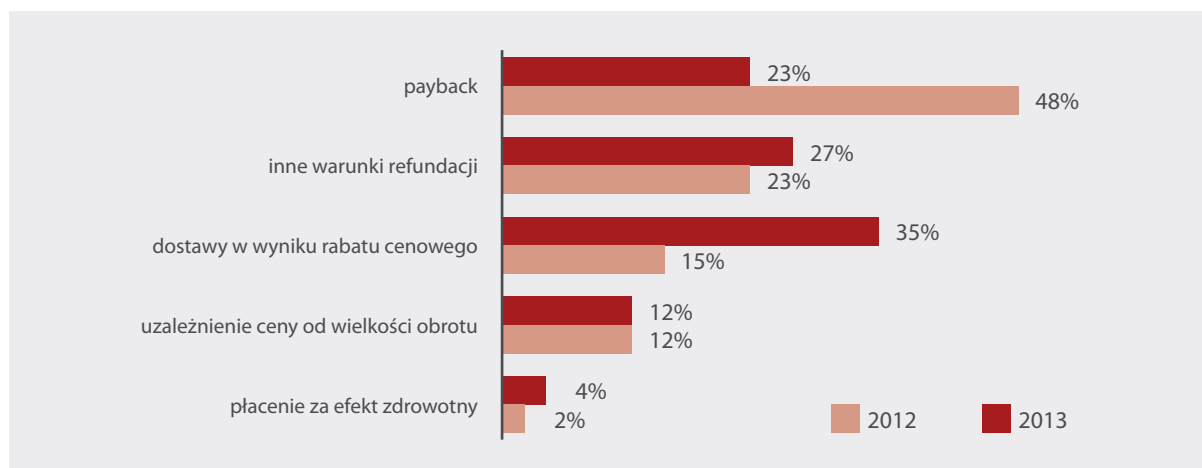
Dotychczasowa praktyka ministra zdrowia w okresie obowiązywania ustawy o refundacji sugeruje, iż instrumenty są stosowane głównie w celu ograniczeniu wydatków publicznych przy możliwie pełnej kontroli nad budżetem NFZ przeznaczonym na finansowanie nowych terapii. Efektem takiego postępowania jest szerokie stosowanie instrumentów o charakterze finansowym, polegającym na ustalaniu cen dla świadczeniodawców niższych niż wskazane w obwieszczeniu ministra zdrowia lub zwrocie części uzyskanej refundacji (tym samym obniżając rzeczywisty koszt dla Narodowego Funduszu Zdrowia), co po części pozwoliło na osiągnięcie trzeciego z celów opisanych w uzasadnieniu do ustawy. Jednocześnie ich potencjał w zakresie pozostałych celów ustawowych, w szczególności zapewnienia dostępu do nowoczesnych terapii, nadal jest przedmiotem dyskusji i może być wykorzystany w przyszłości.

Najpopularniejszym mechanizmem RSA proponowanym we wnioskach o objęcie refundacją, które zostały przekazane do AOTMiT w 2012 r., był instrument polegający na uzależnieniu wysokości ceny zbytu od zapewnienia przez wnioskodawcę dostaw po obniżonej, ustalonej w negocjacjach kwocie – i stanowił on blisko 35% wszystkich złożonych propozycji. Natomiast w 2013 r. w propozycjach wnioskodawców praktycznie co druga (48%) dotyczyła porozumienia uzależniającego wysokość urzędowej ceny zbytu od zwrotu części uzyskanej refundacji podmiotowi zobowiązanemu do finansowania świadczeń ze środków publicznych, czyli RSA typu *payback*. Powyższe liczby wskazują na dostosowywanie się podmiotów do praktyki stosowania instrumentów przez ministra zdrowia, będącej efektem przede wszystkim pierwszych negocjacji prowadzonych z wnioskodawcami jeszcze w 2011 r. podczas tworzenia pierwszego wykazu produktów refundowanych na podstawie ustawy o refundacji.

⁹ Uzasadnienie rządowego projektu Ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych – druk sejmowy nr 3491.

¹⁰ Po negocjacjach ceny wielu marek globalnych spadły do poziomu najniższego w Europie. Stanowi to bardzo silną zachętę dla dystrybucji, aby w legalny lub nielegalny sposób eksportować niektóre leki za granicę. Leki te stają się trudno dostępne w Polsce, co jest dotkliwie dla pacjentów. Bogusławski S, Smaga A, Falkiewicz B, Kielczewski T, Burliński P, Matczak M, Czarnuch M, Piekłak M, Łajszczak Sz, Wpływ ustawy o refundacji leków na dostęp pacjenta do farmakoterapii, budżet NFZ oraz branżę farmaceutyczną. Ocena skutków regulacji. INFARMA. Warszawa 2014.

Wykres 1. Rodzaje RSA zaproponowane w analizach ocenianych przez AOTMiT



W raporcie przedstawiono etapy procesu RSA przy uwzględnieniu:

- przygotowania i składania wniosku przez wnioskodawcę;
- przygotowania analizy weryfikacyjnej, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji;
- negocjacji z Komisją Ekonomiczną;
- wydawania decyzji refundacyjnej;
- wdrażania przez Narodowy Fundusz Zdrowia, w tym zawierania umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej;
- udziału w realizacji przez świadczeniodawców, w tym: nabywania przez nich leków oraz udzielania świadczeń świadczeniobiorcom;
- kontroli realizacji instrumentów dzielenia ryzyka.

Przygotowanie i realizacja RSA w polskim systemie ochrony zdrowia jest związana z zaangażowaniem i pracą wielu interesariuszy, których udział zależy od zakresu i typu RSA. Mogą to być:

- minister zdrowia;
- Narodowy Fundusz Zdrowia;
- świadczeniodawcy, w tym szeroko pojęty personel medyczny,
- podmioty prowadzące apteki;
- przedsiębiorcy prowadzący hurtownie farmaceutyczne;
- wnioskodawcy, którzy uzyskali decyzję o objęciu refundacją oraz ustaleniu urzędowej ceny zbytu.

W praktyce najistotniejszym etapem postępowania refundacyjnego z punktu widzenia wprowadzania instrumentów dzielenia ryzyka są negocjacje prowadzone z Komisją Ekonomiczną. Dotyczą one szczegółowych warunków refundacji, w tym treści RSA, ich skutków dla budżetu płatnika oraz możliwości realizacji. Dopiero po przeprowadzonych negocjacjach minister zdrowia *de facto* rozstrzyga o refundacji, decydując również o ewentualnym przyjęciu instrumentu.

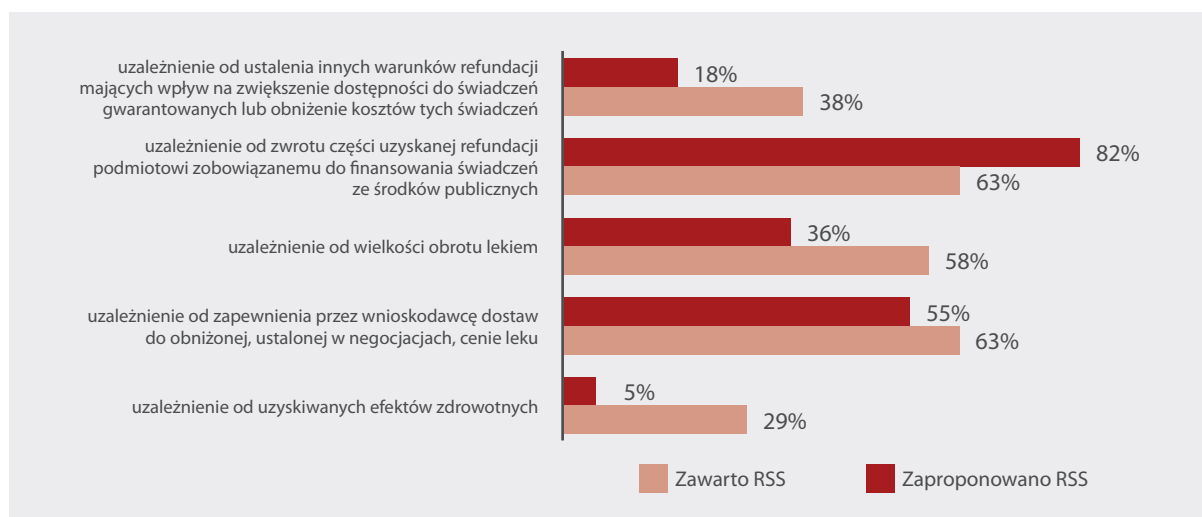
Wiodącą rolę w zakresie implementacji i realizacji instrumentów dzielenia ryzyka pełni obecnie Narodowy Fundusz Zdrowia – zarówno centrala, jak i oddziały wojewódzkie. Wynika to z faktu, iż zgodnie z Ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych prezes NFZ jest odpowiedzialny

za monitorowanie, nadzorowanie i kontrolowanie wykonania zawartych instrumentów oraz sprawozdawanie ministrowi zdrowia ich realizacji przez wnioskodawców.

Ustawa o refundacji daje szerokie pole do rozwoju współpracy pomiędzy wnioskodawcami a organami administracji publicznej w celu zwiększania dostępu pacjentów do najnowszych terapii. W praktyce jednak implementacja instrumentów uzależniona jest od faktycznych możliwości organizacyjnych i technicznych poszczególnych podmiotów biorących udział w procesie oraz obowiązujących przepisów aktów prawnych, regulujących poszczególne dziedziny szczegółowe (np. zamówienia publiczne), a więc od kształtu systemu i jego elastyczności.

Zgodnie z badaniami ankietowymi przeprowadzonymi w maju 2014 r. wśród dyrektorów generalnych 36 firm farmaceutycznych, których produkty wykorzystują 69% całkowitych wydatków refundacyjnych (2013), wprowadzenie instrumentów dzielenia ryzyka w opinii 69% respondentów jest korzystne dla polskiego rynku farmaceutycznego. 82% firm uzyskało decyzję refundacyjną określającą zwrot części uzyskanej refundacji, a 55% zapewnienie dostaw po obniżonej cenie. Jedynie 5% respondentów stwierdziło, iż wprowadzono rozwiązania oparte o uzyskiwane efekty zdrowotne. Wyniki tego badania zostały przedstawione na wykresie 2¹¹.

Wykres 2. Rodzaje RSA zaproponowane przez wnioskodawców i uzgodnione w decyzji ministra zdrowia



Pierwsze trzy lata funkcjonowania ustawy o refundacji pokazały, że RSA o charakterze prostych instrumentów finansowych są bardzo skutecznym narzędziem zarządzania dostępem do nowych terapii, przy w zasadzie pełnej kontroli wydatków po stronie płatnika. Dzięki temu są one obecnie często stosowane. Jak się wydaje, instrumenty złożone powinny stać się ważnym uzupełnieniem do obecnie funkcjonujących rozwiązań. Doświadczenia innych krajów wskazują, iż najczęściej wdrażane są proste mechanizmy finansowe, jednakże istnieją sytuacje, w której RSA o charakterze wynikowym są optymalnym lub nawet jedynym możliwym rozwiązaniem. Ich implementacja wychodzi poza kwestie czysto finansowe i system rozliczeń, na których obecnie skupia się ocena zarówno AOTMiT, jak i Komisji Ekonomicznej. Wszyscy interesariusze systemu refundacji leków zgadzają się, iż istnieje silna potrzeba dalszego rozwoju RSA, zarówno w zakresie prostych (poprawa funkcjonowania i zarządzania prostych ich RSA typu finansowego) jak i złożonych instrumentów (finansowych, lecz i opartych na wynikach zdrowotnych). Główne obszary rozwoju RSA powinny być następujące:

- poszerzanie zakresu typów RSA dla określonych terapii, pozwalające na powiększenie liczby pacjentów nimi objętych;
- poszerzenie stosowania RSA nie tylko dla kontroli wydatków, lecz również w celu weryfikacji zasadności stosowania nowych technologii pod kątem ich skuteczności czy bezpieczeństwa;

¹¹ Wyniki tego badania zostały przedstawione na konferencji otwierającej Projekt w czerwcu 2014 r.

- modyfikowanie i poszerzanie zakresu funkcjonalności oraz interoperacyjności narzędzi rozliczania i sprawozdawania danych do płatnika, w tym zaplanowanie strukturalnie spójnego systemu zbierania danych dotyczących nie tylko użycia, ale także rzeczywistej oceny efektywności klinicznej poszczególnych terapii w polskiej populacji;
- stworzenie platformy dialogu, prowadzonego przez instytucje publiczne i podmioty niepubliczne, a mającego na celu stałą wymianę poglądów na temat rozwoju, wdrażania i kontroli wykonania RSA w Polsce. Dialog ten powinien także angażować lekarzy, tak aby mogli oni zrozumieć trudności, jakie występują w ocenie racjonalności wydatków na leczenie w kontekście oceny efektów zdrowotnych.

Rekomendacje

W wyniku prac projektowych, w tym zwłaszcza dialogu prowadzonego przez interesariuszy w ramach prowadzonych spotkań, możliwe stało się opracowanie dwóch rodzajów rekomendacji:

- ogólnych, odnoszących się do rozwoju instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce oraz komunikacji między interesariuszami;
- szczegółowych, dotyczących wybranych obszarów funkcjonowania instrumentów dzielenia ryzyka. Rekomendacje te obejmują zarówno kwestie związane z obecnie stosowanymi rozwiązaniami, jak i odnoszące się do RSA, które z powodzeniem stosowane są na świecie, a które nie zostały jeszcze wdrożone na szerszą skalę w Polsce, pomimo zainteresowania wszystkich stron:
 - wzory wniosków i wytyczne dotyczące instrumentów dzielenia ryzyka,
 - wdrażanie instrumentów dzielenia ryzyka – w szczególności współpracy z interesariuszami,
 - poufność instrumentów dzielenia ryzyka,
 - stosowanie rabatów naturalnych,
 - wdrażanie instrumentów opartych na refundacji warunkowej,
 - wdrażanie instrumentów opartych na efektach zdrowotnych.

Rekomendacje ogólne – rozwój instrumentów dzielenia ryzyka

Niezwykle istotne dla przyszłości instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce jest utrzymanie nieustannego dialogu pomiędzy uczestnikami systemu ich wdrażania. Rozwój instrumentów dzielenia ryzyka jest zależny nie tylko od istnienia podstaw prawnych opisujących ich funkcjonowanie, ale również od podejmowania w tym zakresie praktycznych i czasem bardzo złożonych wdrożeniowych działań zarządczych. Do tej pory szersza dyskusja nad instrumentami dzielenia ryzyka w Polsce miała charakter sporadyczny i w przeważającej mierze prowadzona była wyłącznie przy okazji toczących się postępowań refundacyjnych, w odniesieniu do poszczególnych produktów. Skutkiem tego jest faktyczne ograniczenie funkcjonujących obecnie instrumentów do powielania kilku pierwotnie wprowadzonych schematów. Dialog dotyczący praktycznych konkretnych problemów wdrożeniowych pomoże zaadresować trudności w przygotowaniu i realizacji RSA zarówno po stronie publicznej, jak i prywatnej. Działanie takie może się również przysłużyć zwiększeniu zaufania pomiędzy stronami, co znacząco ułatwi wdrożenie złożonych RSA.

Rekomendacje:

1. Konieczna jest kontynuacja dalszych prac nad RSA poprzez utworzenie grupy roboczej ds. rozwoju złożonych instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce, w której uczestniczyć będą przedstawiciele MZ, NFZ, AOTMiT, przemysłu farmaceutycznego, klinicystów, świadczeniodawców, dystrybucji oraz eksperci, w przyszłości być może afiliowanej przy ministrze zdrowia.
2. Dalsza dyskusja powinna obejmować różne modele RSA, które odpowiadać będą potrzebom wszystkich interesariuszy – dyskusja powinna toczyć się nie tylko nad koncepcją, lecz przede wszystkim nad rozwiązaniami szczegółowymi związanymi z ich wdrażaniem i realizacją.
3. Należy poszukiwać i wprowadzać nowe rozwiązania prawne, nadążające za rozwojem modeli RSA w Polsce, umożliwiające sprawne ich wdrażanie i rozliczanie.
4. Konieczne jest prowadzenie stałej i szczegółowej analizy liczby, rodzajów oraz wpływu RSA na budżet NFZ, a także regularne publikowanie tych informacji.
5. W zakresie procedur i praktycznych aspektów wdrażania RSA sugeruje się prowadzenie regularnych szkoleń i warsztatów dla AOTMiT, Rady Przejrzystości oraz Komisji Ekonomicznej, ale także wnioskodawców.

Rekomendacje ogólne – organizacja procesu

Poszukiwanie perspektywicznych rozwiązań jest konieczne również ze względów czysto praktycznych. Obecnie ciężar administracji RSA spoczywa w praktyce przede wszystkim na Narodowym Funduszu Zdrowia, który odpowiada zarówno za rozliczanie instrumentów, jak i ich monitorowanie i kontrolę. Dostrzegalne są obszary wymagające podjęcia wzmożonego wysiłku dla zapewnienia efektywnego funkcjonowania instrumentów – w szczególności w zakresie wymiany informacji. Szczególna rola NFZ polega również na tym, iż pełni on funkcję łącznika pomiędzy różnymi interesariuszami. Wraz z rozwojem instrumentów ewoluować będzie musiała również pozycja, kompetencje i możliwości Funduszu.

Rekomendacje:

1. Utworzenie w ramach struktur NFZ funkcji koordynatora RSA (samodzielnego lub działającego ze wsparciem odpowiedniego zespołu, w zależności od potrzeb związanych z liczbą i rodzajem wdrażanych RSA). Koordynator byłby, w szczególności, odpowiedzialny za współpracę z MZ i OW NFZ we wdrażaniu RSA oraz zbieranie i wymianę informacji na temat bieżących problemów związanych z implementacją zaakceptowanych instrumentów dzielenia ryzyka. Koordynator zapewniłby także harmonizację bieżących działań prowadzonych przez poszczególne oddziały wojewódzkie oraz zadań przekazywanych do realizacji innym podmiotom, w tym ewentualne rozstrzyganie problemów w kontaktach z świadczeniodawcami. Funkcja koordynatora RSA powinna być całkowicie oddzielona od procesu podejmowania decyzji o refundacji, w tym planowania i negocjowania poszczególnych instrumentów.
2. „Instytucjonalizacja” komunikacji w sprawie rozwoju i wdrażania RSA pomiędzy MZ i NFZ, poprzez wskazanie w obu instytucjach osób odpowiedzialnych za RSA i stale się tym tematem zajmujących. W NFZ funkcję tę spełniałby koordynator RSA.
3. Wzmocnienie struktur i zasobów NFZ dla zapewnienia realnej weryfikowalności prawidłowego zarządzania, wdrażania i rozliczania RSA (w zakresie instrumentów finansowych i wynikowych).

Poniżej przedstawione zostały rekomendacje odnoszące się do węższych, lecz również bardzo istotnych zagadnień. Dotyczą one głównie zadań związanych z działaniami i zadaniami ministra zdrowia i innych organów odpowiedzialnych za proces wprowadzania nowych produktów leczniczych do systemu refundacji, na wszystkich etapach funkcjonowania instrumentów – od oceny wniosków, po ich wdrażanie i realizację.

Rekomendacje szczególne – wzory i wnioski

Przedstawiciele firm farmaceutycznych uczestniczący w Projekcie wskazywali, iż spełnienie oczekiwań MZ odnośnie wniosków zawierających propozycje RSA często sprawia wnioskodawcom poważne trudności. Jest to związane

m.in. z faktem, iż ustawa o refundacji nie przewiduje jakiegokolwiek wzoru dokumentu, który obejmowałby treść propozycji RSA. Skutkiem tego wypracowane rozwiązania są indywidualne i niewystandaryzowane, a braki informacyjne po stronie wnioskodawców i instytucji publicznych prowadzą do negocjacji prowadzonych w sposób nieoptymalny, utrudniający osiągnięcie porozumienia.

Rekomendacje:

1. MZ, AOTMiT oraz NFZ powinny określić zakres informacji niezbędnych dla właściwej oceny instrumentów dzielenia ryzyka. Mogą one przyjąć formę opracowania oficjalnych wytycznych dla wnioskodawców oraz wzoru wniosków dla instrumentów dzielenia ryzyka.
2. Wytyczne oraz wzory wniosków mogą mieć charakter informacyjny, niewiążący bezpośrednio dla organów i dla wnioskodawców. W przyszłości, wraz z rozwojem dobrych praktyk, mogą one stać się przedmiotem odpowiednich zmian legislacyjnych.
3. Wnioski obejmujące złożone instrumenty dzielenia ryzyka powinny zawierać kompleksowy i szczegółowy opis propozycji rozwiązań w zakresie ich wdrożenia wraz z uzasadnieniem wyboru instrumentu.
4. MZ powinno opublikować zasady oraz kryteria weryfikacji i oceny przedstawianych instrumentów dzielenia ryzyka w celu zapewnienia przejrzystości podejmowanych działań i powtarzalności wyników prowadzonych postępowań.

Rekomendacje szczególne – RSA w postępowaniu refundacyjnym

Na etapie dyskusji nad wnioskiem w zakresie RSA (np. w czasie negocjacji z Komisją Ekonomiczną) brak jest analizy i oceny sposobów jego wdrażania, co niezwykle utrudnia stosowanie instrumentów złożonych. Brak wsparcia ekspertów działających w poszczególnych obszarach systemu ochrony zdrowia (klinicyści, przedstawiciele świadczeniodawców i hurtowni farmaceutycznych) powoduje, że preferowane są najprostsze instrumenty finansowe, dla uniknięcia potencjalnych pułapek związanych z nowymi rozwiązaniami zarówno na poziomie zarządzania, jak i konkretnych rozwiązań w zakresie raportowania i kontroli wykonania RSA.

Rekomendacje:

1. Powołanie multidyscyplinarnego zespołu o charakterze eksperckim do prac związanych z oceną możliwości wdrażania konkretnych, złożonych instrumentów dzielenia ryzyka, poprzez konsultacje ich propozycji, wspierające MZ podczas oceny wniosku (równoległe do prac AOTMiT). Zespół taki powinien składać się z przedstawicieli NFZ, świadczeniodawców, Zespołów Koordynujących, a w przyszłości prawdopodobnie również CSIOZ i ewentualnie innych interesariuszy. Wnioskodawca powinien mieć możliwość składania dodatkowych wyjaśnień na posiedzeniach tego zespołu.
2. Stworzenie procedur i wdrożenie procesów konsultacji wnioskodawcy z przedstawicielami MZ i NFZ prowadzonych przed formalną propozycją złożonego RSA. Celem takich konsultacji byłoby omawianie praktycznych rozwiązań we wdrażaniu zaproponowanego RSA, odpowiadających możliwościom realizacyjnym NFZ oraz świadczeniodawców.

Rekomendacje szczególne – implementacja RSA

Wskutek ograniczeń w sposobie oceny proponowanych instrumentów oraz braku praktyki współpracy z wnioskodawcami na etapie ich wdrażania, rzeczywiste rozpoczęcie udzielania świadczeń (programów lekowych) w leczeniu zamkniętym jest częstokroć znacząco odsunięte w czasie, co opóźnia dostęp pacjentów do terapii. Wynika to m.in. z faktu, iż prace wdrożeniowe rozpoczynane są dopiero po opublikowaniu przez ministra zdrowia obwieszczeń zawierających informacje o objęciu refundacją produktu o uzgodnionym schemacie RSA. Jednocześnie dostęp NFZ do danych przekazanych przez wnioskodawcę na etapie wnioskowania o refundację jest ograniczony, co może mieć istotne znaczenie przy wdrażaniu instrumentów opartych na efektach zdrowotnych.

Rekomendacje:

1. Przekazywanie do NFZ decyzji administracyjnych i całej dokumentacji (w tym dokumentów przekazywanych do AOTMiT) dotyczącej instrumentów dzielenia ryzyka powinno odbywać się niezwłocznie, gdy wydana decyzja stanie się ostateczną. NFZ musi dysponować jak najdłuższym czasem na zaplanowanie i wdrożenie instrumentu, jeszcze przed jego wejściem w życie w dacie określonej w samej decyzji. W szczególności dotyczy to przygotowanych modeli obliczeniowych, szczegółowych opisów wniosków z aspektami praktycznymi, analiz oraz zestawień z AOTMiT i Rady Przejrzystości, przekazywanych ministrowi zdrowia i Komisji Ekonomicznej przez wnioskodawców na etapie ustalania warunków instrumentów.
2. Należy rozważyć wydawanie decyzji z odroczoną datą wejścia w życie w przypadkach zatwierdzenia RSA o typie złożonym (finansowych, wynikowych i warunkowych), pozwalającą na opracowanie niezbędnej dokumentacji w NFZ, wypracowanie zapisów do umów i dokumentów RSA przed ogłoszeniem konkursu dla świadczeniodawców oraz modyfikację koniecznych instrumentów sprawozdawczości (w tym narzędzi IT).
3. Świadczeniodawcy, w tym lekarze-klinicyści, powinni być angażowani w proces uzgadniania szczegółów wdrożeniowych RSA na etapie prac w NFZ. Może się to odbywać np. poprzez zaangażowanie Zespołów Koordynacyjnych w proces komunikacji, w szczególności poprzez zapewnienie możliwości komunikacji zwrotnej od świadczeniodawców czy personelu medycznego do koordynatora RSA w NFZ oraz oddziałach wojewódzkich.
4. Planowanie systemów rozliczania instrumentów dzielenia ryzyka powinno odbywać się na początkowym etapie ich wdrażania, a systemy te powinny być dostosowane do poszczególnych typów RSA (wraz z systemem kontroli), tak aby obniżyć koszty administracji i ewentualnie kontroli, respektując zasadę minimalnego obciążenia poszczególnych podmiotów.

Rekomendacje szczególne – współpraca z interesariuszami

Obecny sposób organizacji wdrażania instrumentów dzielenia ryzyka i przyjęta praktyka ich implementacji nie są optymalne z punktu widzenia łatwości uzyskiwania rezultatów przewidzianych przez same instrumenty. Świadczeniodawcy podpisujący umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w zakresie zawartych instrumentów często nie znają obowiązków, jakie będą na nich ciążyły z tego tytułu. Ten brak wiedzy utrudnia świadczeniodawcom optymalne zarządzanie zasobami. Aktualny sposób organizacji negatywnie wpływa na efektywność realizacji instrumentów finansowych poprzez wydłużenie czasu rozliczenia oraz większą liczbę nieporozumień pomiędzy instytucjami realizującymi RSA i zwiększenie obciążeń administracyjnych dla wszystkich uczestników procesu.

Rekomendacje:

1. Szczegółowe warunki instrumentów, do których przestrzegania będzie zobowiązany świadczeniodawca, powinny być odzwierciedlone w umowie na udzielanie świadczeń. Jeżeli wymaga tego efektywna realizacja instrumentu, świadczeniodawca powinien być informowany o jego szczególnych postanowieniach, np. w przypadku instrumentu opartego na cenie maksymalnej finansowania ze środków publicznych, jeżeli odbiega od ceny wynikającej z obwieszczenia MZ, czy o zakresie zbierania danych w instrumentach *outcome based*, które w znaczącym stopniu dotyczą samego świadczeniodawcy.
2. Umowy ze świadczeniodawcami powinny jednoznacznie określać zakres ponoszonych przez nich kosztów związanych z realizacją instrumentów dzielenia ryzyka i wyraźnie wskazywać źródła ich finansowania, w tym sposób ich rozliczenia z NFZ.
3. Świadczeniodawcy już na etapie negocjowania umów z NFZ powinni być informowani o istnieniu instrumentów dzielenia ryzyka, z których realizacją będzie wiązało się udzielanie przez nich świadczeń, co umożliwi im kontakt z wnioskodawcą, jeżeli będzie niezbędny do prawidłowej realizacji instrumentu;
4. MZ powinno być informowane przez NFZ o naruszeniu decyzji tylko wtedy, gdy naruszenie to zostanie potwierdzone w ramach wewnętrznych procedur NFZ, które powinny obejmować uzyskanie wyjaśnień bezpośrednio od wnioskodawców.

Rekomendacje szczególne – poufność RSA

Jeśli ograniczenia w dostępie do informacji poufnej w zakresie instrumentów dzielenia ryzyka są konieczne – wynika to zarówno z celu zawierania instrumentów, jak również ochrony praw przedsiębiorców – to wraz ze wzrostem złożoności przyjmowanych instrumentów dzielenia ryzyka zwiększać się będzie również potrzeba procedur i praktyk wymiany informacji. W chwili obecnej dostęp do informacji na temat treści instrumentów jest ograniczony wyłącznie do MZ i centrali NFZ. Jednocześnie jednak wszyscy uczestnicy systemu mogliby skorzystać na ograniczonej jawności zawieranych instrumentów, na wzór rozwiązań przyjętych przez inne państwa.

Rekomendacje:

1. Należy wprowadzić ograniczoną jawność instrumentów dzielenia ryzyka w postaci publikowanej przez organy instytucji publicznych informacji o fakcie zawarcia RSA w wydanej decyzji, jego rodzaju i ogólnych warunkach (bez ujawniania, bezpośrednio lub pośrednio, warunków cenowych). Szczegółowy zakres informacji dotyczących poszczególnych typów instrumentów powinien być ustalany w porozumieniu z przedstawicielami wnioskodawców.
2. MZ i przedstawiciele wnioskodawców powinni ustalić zasady opisujące zakres informacji przekazywanych poszczególnym uczestnikom systemu w trakcie wdrażania instrumentu oraz harmonogram przekazywania tych informacji. MZ i wnioskodawca powinni każdorazowo ustalać zakres przekazywanych danych, tak aby wszystkie podmioty biorące udział w realizacji instrumentów (w tym świadczeniodawcy i oddziały wojewódzkie NFZ) posiadały dostęp do informacji koniecznej do efektywnej realizacji ciążących na nich zobowiązań.
3. MZ i NFZ, w ramach nowych zasad dotyczących poufności, powinny przygotować i wdrożyć procedury służące zapewnieniu poufności informacji wrażliwej dla wnioskodawców, stanowiącej tajemnicę przedsiębiorstwa. Takie procedury powinny dotyczyć także współpracy ze świadczeniodawcami uczestniczącymi we wdrażaniu poszczególnych instrumentów.

Rekomendacje szczególne – rabaty naturalne

Przedstawione wyzwania stojące przed ministrem zdrowia, innymi instytucjami publicznymi i wnioskodawcami skłaniają do poszukiwania nowych rozwiązań. Stąd też projekt obejmował nie tylko analizę sytuacji obecnej, ale również spojrzenie na możliwości przyszłych działań – implementację instrumentów w oparciu o bardziej złożone mechanizmy, które znalazły swoje zastosowanie również w innych krajach.

Jednym z ważniejszych rozwiązań tego typu jest stosowanie rabatów naturalnych na potrzeby rozliczeń prowadzonych w ramach RSA (a więc przekazywanie świadczeniodawcom nieodpłatnych opakowań leków przez wnioskodawców). W obecnym stanie prawnym wprowadzenie stosowania rabatów naturalnych wymaga uprzedniej pogłębionej analizy sposobu implementacji konkretnych rozwiązań pod względem prawno-księgowym. Podjęcie tych działań jest uzasadnione wymiernymi korzyściami, które przynoszą rabaty naturalne wszystkim uczestnikom systemu (w tym umożliwiają rozwiązania problemu utylizacji częściowo zużytych dawek leku, tzw. *wastage* i innych problemów świadczeniodawców).

Rekomendacje:

1. Wprowadzenie szerszego wdrażania RSA rozliczanych za pomocą rabatów nieodpłatnych dostaw leków – zarówno w instrumentach finansowych, jak i opartych o efekty kliniczne.
2. Podjęcie dyskusji merytorycznej na temat stosowanych w przyszłości rozwiązań prawnych na potrzeby wprowadzania nieodpłatnych dostaw leków (tj. rabatów naturalnych w ramach zamówień publicznych lub darowizn), w szczególności rozważanie konsekwencji finansowych ich stosowania dla wszystkich uczestników systemu oraz podjęcie ewentualnych działań legislacyjnych.
3. Konieczność zapewnienia NFZ narzędzi pozwalających na kontrolę realizacji instrumentów w zakresie rabatów rzeczowych oraz wprowadzenie możliwości monitorowania nieodpłatnych leków.

Rekomendacje szczególne – RSA oparte na wynikach zdrowotnych

Funkcjonujące z powodzeniem w innych krajach instrumenty oparte na wynikach zdrowotnych powinny być wprowadzane w oparciu o publiczne systemy zbierania danych medycznych, ze względu na uzależnienie finansowania terapii od odpowiedzi klinicznej poszczególnych pacjentów na podanie leku. Obecne przepisy prawa nie przewidują możliwości zbierania i przetwarzania danych o stanie zdrowia pacjenta na potrzeby RSA w systemie publicznym, w tym także w zakresie Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych. Wraz z rozwojem Systemu Informacji Medycznej techniczne wprowadzenie takich instrumentów powinno stać się jednak w ciągu kilku lat względnie proste, dzięki centralnemu gromadzeniu jednostkowych danych medycznych pacjentów zbieranych w ich dokumentacji medycznej.

Rekomendacje:

1. System Monitorowania Programów Terapeutycznych może stanowić podstawę dla wprowadzania do użytku publicznych zbiorów jednostkowych danych medycznych obejmujących stan zdrowia pacjentów. Jednakże dla jego skutecznego wykorzystania konieczne jest ustalenie kwestii praw własności do zbieranych danych osobowych, dopuszczalności i prawidłowości ich przetwarzania, a także spójności z całością systemu informacyjnego w ochronie zdrowia.
2. Niezależnie od wybranego sposobu gromadzenia danych publicznych niezbędne jest zapewnienie interoperacyjności systemów informatycznych w postaci zbierania i łącznego przetwarzania informacji pochodzących z różnych źródeł, w szczególności danych medycznych wraz z danymi finansowymi. Należy rozważyć działania mające na celu integrację tych systemów z przyszłymi rozwiązaniami w zakresie informatyzacji ochrony zdrowia, takimi jak e-recepta. W przyszłości zbieranie danych medycznych powinno odbywać się w ramach Systemu Informacji Medycznej, gdzie będą wprowadzane dane na podstawie dokumentacji medycznej.
3. Konieczne jest wskazanie ciała merytorycznego, podejmującego decyzje oraz rozstrzygającego kwestie kliniczne wynikające z działań podejmowanych przez lekarzy w trakcie leczenia produktami objętymi RSA opartymi o efekty zdrowotne – taką rolę mogą pełnić zespoły koordynujące.
4. Informacje gromadzone w ramach publicznych i niepublicznych zbiorów danych medycznych powinny podlegać publikacji lub być udostępniane do celów naukowych, zgodnie z obowiązującymi przepisami.

Rekomendacje szczególne – RSA oparte na refundacji warunkowej

Nie ma obecnie przeszkód prawnych uniemożliwiających wprowadzenie jakichkolwiek instrumentów dzielenia ryzyka opartych na refundacji warunkowej w przypadku, gdy odpowiednie badania wykonywane i finansowane będą przez wnioskodawców, a system rozliczeń będzie nadal kontrolowany przez NFZ. W tym jednak zakresie największe wątpliwości wśród przedstawicieli strony publicznej budzi uzależnianie decyzji refundacyjnych i rozliczenia od zagregowanych danych (wyników badań eksperymentalnych lub obserwacyjnych na poziomie populacji) przedstawianych przez wnioskodawców.

Rekomendacje:

1. Należy rozważyć wprowadzenie instrumentów warunkowej refundacji w oparciu o dane finansowe zbierane w ramach obecnie działającego systemu rozliczeniowego NFZ oraz dane medyczne, zbierane osobno przez wnioskodawcę w ramach prowadzonych badań klinicznych (eksperymentalnych lub obserwacyjnych).
2. Niepubliczne dane medyczne (w szczególności gromadzone w ramach zbiorów danych finansowanych przez wnioskodawców) mogą być wykorzystywane do tworzenia i rozliczania RSA typu refundacji warunkowej. Konieczne będzie uzgodnienie przez MZ i przedstawicieli wnioskodawców wytycznych dotyczących zakresu i sposobu przekazywania danych zagregowanych koniecznych do stworzenia instrumentów opartych na wynikach terapii.
3. Przed pełnym wprowadzeniem instrumentów o charakterze refundacji warunkowej należy przeprowadzić wdrożenia pilotażowe, w celu opracowania jednolitego systemu i ewentualnego opracowania zmian legislacyjnych.

Projekt „RSA – instrumenty podziału ryzyka w Polsce i na świecie” stanowił niecodzienny i bardzo cenny przypadek otwartej i konstruktywnej wymiany poglądów między wszystkimi interesariuszami systemu refundacji leków. Pozwolił on na identyfikację miejsc, w których można dokonać poprawy istniejących procesów, ale także obszarów i kierunków rozwoju – zwłaszcza w zakresie RSA opartych o efekty zdrowotne i o warunkową refundację. Wszystkie strony bardzo zaangażowały się w dialog, co oczywiście przyniosło dobre rezultaty, choćby w postaci praktycznych rekomendacji będących początkiem – być może – dalszych prac nad konkretnymi rozwiązaniami.

2. RSA – risk sharing agreements. Definicje i typologia

2.1. Wprowadzenie do definicji RSA

Porozumienia podziału ryzyka (*risk sharing agreements*; RSA) można zdefiniować jako umowę między stronami, mającą na celu przeprowadzenie transakcji, w której istnieją wątpliwości dotyczące jej ostatecznej wartości. Jedna ze stron ma jednakże wystarczające zaufanie do skuteczności lub efektywności proponowanej transakcji, by być gotowa do przyjęcia nagrody lub kary w zależności od zaobserwowanych wyników.

Źródło: de Pouvourville G. Risk-sharing agreements for innovative drugs. A new solutions to old problems? Springer Medizin Verlag 2006.

W ciągu ostatnich dziesięcioleci mamy do czynienia z ciągłym wzrostem liczby wchodzących nowych technologii medycznych, które charakteryzują się potencjalnie określoną skutecznością i bezpieczeństwem, jednak często bardzo wysokimi kosztami. Szybki postęp, wydłużająca się długość życia pacjentów oraz rosnące ich oczekiwania wobec nowych terapii spotykają się z wciąż ograniczonymi możliwościami finansowymi poszczególnych systemów ochrony zdrowia. Konieczność zapewnienia dostępu do terapii prowadzi do napięć i nacisków na płatników, co z kolei powoduje zaostrzanie wymogów oceny wprowadzania nowych terapii (pod względem prawnym, klinicznym, ekonomicznym i innymi). Rezultatem wspomnianych zjawisk jest fakt, iż liczba oraz rodzaje wprowadzanych do refundacji technologii nie są już zależne od innowacyjności w pojęciu technologicznym czy farmaceutycznym, lecz przede wszystkim poszukuje się terapii przynoszących dodatkowe efekty zdrowotne w odniesieniu do istniejącego standardu postępowania, czyli innowacji terapeutycznych.

Dane uzyskiwane na etapie rejestracji leków często są niewystarczające do podjęcia decyzji o refundacji w danym kraju zarówno pod względem klinicznym (ze względu na brak porównania ze standardem stosowanym w danym państwie), jak i pod względem ekonomicznym. Ryzyko jest stałym elementem towarzyszącym niemal każdej decyzji refundacyjnej, w związku z czym jest konieczne jego uwzględnienie oraz właściwa ocena nie tylko przez płatnika, lecz także przez podmioty odpowiedzialne (producentów). W celu zapewnienia refundacji technologii medycznych w zgodzie z ukształtowanymi nowymi kryteriami wykorzystywane są narzędzia oceny klinicznej oraz ekonomicznej w ramach oceny technologii medycznych (*health technology assessment*; HTA). W związku z niepewnością występującą w trakcie procesu podejmowania decyzji refundacyjnej, jednym z elementów tego procesu jest identyfikacja ryzyka, które jest związane z ewentualnym rozpoczęciem finansowania ocenianej technologii medycznej w określonych populacjach.

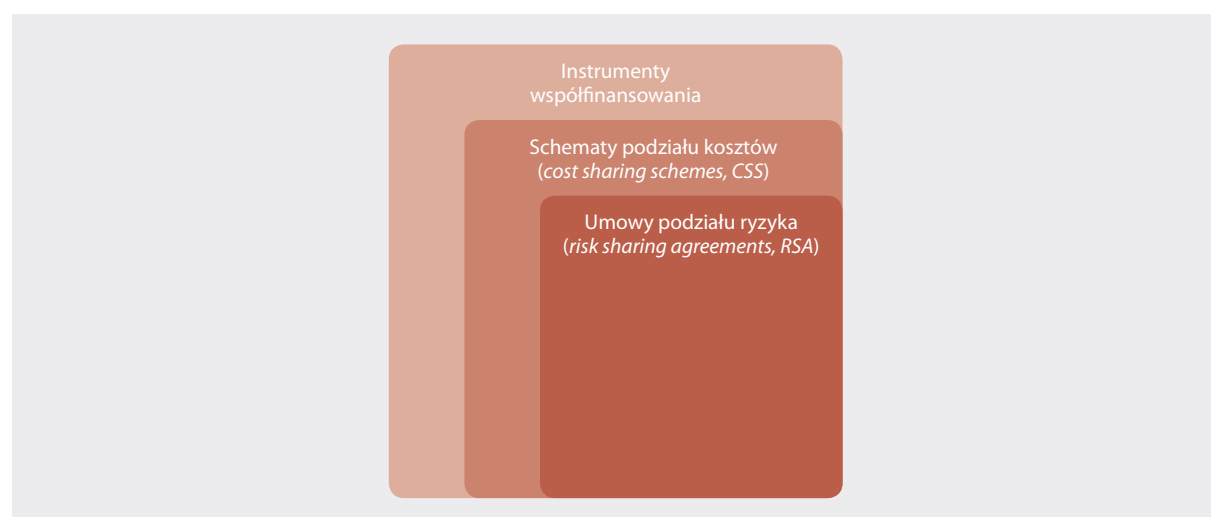
Podjęcie pozytywnej decyzji refundacyjnej leży w interesie zarówno producenta, jak i płatnika, w związku z czym wola zredukowania zidentyfikowanego ryzyka pojawia się po obu stronach. W takiej sytuacji obie strony skłonne są do zawarcia porozumienia, w celu udostępnienia danej technologii pacjentom na zasadach akceptowalnych zarówno dla producenta, jak i płatnika.

Do porozumień podziału ryzyka może dojść tylko wówczas, gdy pewnego rodzaju ryzyko występuje po obydwu stronach: płatnika oraz producenta. Jeśli ryzyko występuje tylko po jednej stronie, to zawieranie stosownej umowy jest pozbawione sensu. **Stosowanie RSA powinno ograniczać się wyłącznie do sytuacji istnienia faktycznego ryzyka.** W przypadku braku istotnej z punktu widzenia płatnika i producenta niepewności dotyczącej efektywności bądź kosztów ocenianej terapii, jej finansowanie powinno być możliwe bez dodatkowych uwarunkowań. Jednocześnie istniejące ryzyka skutkują opóźnieniem we wdrażaniu technologii i ograniczeniem dostępu do leczenia określonych grup pacjentów.

Tabela 1. Potencjalne ryzyka po stronie decydenta i producenta technologii medycznych

Decydent	Producent
• podjęcie błędnej decyzji refundacyjnej (objęcie refundacją leku, który, jak się okazuje po czasie, takiej refundacji nie powinien być otrzymać, ale też nieobjęcie leku refundacją, gdy okaże się z czasem, że lek bez wątpienia wart był refundacji i gdy już doszło do niepodjęcia leczenia u wielu pacjentów, którzy mogli z terapii skorzystać) • podjęcie błędnej decyzji cenowej (potencjalne zarzuty o niegospodarność, brak możliwości modyfikacji ceny w czasie) • naruszenie dyscypliny finansowej – znacząco wyższe wydatki od planowanych • ograniczenie dostępności do świadczeń wysoce efektywnych i opłacalnych kosztem refundacji nowego leku • pozbawienie dostępu do skutecznej terapii w związku z negatywną decyzją • konsekwencje polityczne związane z niespełnieniem oczekiwań społecznych • zarzuty o nierówne traktowanie produktów, producentów lub niesprawiedliwe preferowanie czy dyskryminację określonych grup chorych • ryzyko polityczno-wizerunkowe • wiele innych rodzajów ryzyka, zależnych od sytuacji	• brak uzyskania refundacji (radzykalnie niższe wpływy ze sprzedaży, niższa stopa zwrotu z inwestycji, zwiększone straty związane z inwestycją itp.) • uzyskanie refundacji na niekorzystnych lub mniej korzystnych warunkach (niższy limit, czyli wyższy stopień współpłacenia pacjenta, dołączenie produktu do <i>jumbo group</i> czy oddzielnego listowania leku, restrykcyjne kryteria preskrypcyjne lub np. kryteria włączania pacjentów do programu lekowego itp.) • niepowodzenie strategii refundacyjnej i cenowej – nieskuteczność w działaniach na rzecz korporacji • ryzyko wizerunkowe • wiele innych, specyficznych w danej sytuacji konkurencyjnej na rynku

Schemat 1. Instrumenty dzielenia ryzyka – podział ogólny



W praktyce podejmowania decyzji refundacyjnej stosowanych jest wiele narzędzi mających na celu umożliwienie szerszego dostępu pacjentów do nowoczesnych, aczkolwiek kosztownych technologii medycznych. Tego rodzaju narzędzia określane są jako szeroko pojęte instrumenty współfinansowania – związane przede wszystkim z obniżeniem ceny czy kosztów terapii. W konstrukcji części z nich będzie uwzględnione ryzyko – tak jak to zostało zdefiniowane na początku tego rozdziału. Jednakże spora część instrumentów będzie miała na celu umożliwienie wprowadzenia danej technologii medycznej do refundacji ze środków publicznych poprzez zastosowanie mechanizmów nie mających w swojej konstrukcji ryzyka (np. rabaty, cena maksymalna itd.).

W celu umożliwienia korzystania z opisywanych powyżej narzędzi wprowadzone zostały formalne umowy, porozumienia zawierane pomiędzy producentem a decydem (regulatorem, płatnikiem), mające na celu umożliwienie włączenia nowej technologii medycznej do publicznego finansowania. Istnieje wiele propozycji nazewnictwa tego typu porozumień, np.:

- *risk sharing agreements*, RSA,
- *risk sharing schemes*, RSS,
- *patient-access schemes*, PAS,
- *managed entry agreements*, MEA i wiele innych.

W ramach niniejszego opracowania posługiwano się określeniem umowy (porozumienia) podziału ryzyka (*risk sharing agreements*; RSA). RSA mają różnoraki charakter w zależności od tego, z jakiego powodu zostały zawarte, jakim celem mają służyć oraz w jaki sposób cele te powinny być realizowane. Obecnie RSA znajdują coraz częstsze zastosowanie w medycynie, jednakże pojęcie dzielenia ryzyka wywodzi się z innych gałęzi gospodarki i ma ugruntowane podstawy teoretyczne, jak i szerokie praktyczne zastosowanie. W ramach tego opracowania zarówno instrumenty zawierające elementy ryzyka, jak i instrumenty współfinansowania będą zbiorczo nazywane instrumentami dzielenia ryzyka.

2.2. Powody zawierania RSA

Pierwsze publikowane informacje o zawieranych na świecie RSA w sektorze farmaceutycznym pochodzą z końca lat dziewięćdziesiątych¹² ubiegłego wieku z USA i Portugalii. Od początku zawierane RSA różniły się zarówno ze względu na rodzaj stosowanych instrumentów pozwalających na ograniczenie ryzyka związanego z rozpoczęciem refundacji danej technologii, jak i na charakter ryzyka, którego ograniczenie stanowiło cel danego porozumienia. Pierwsze porozumienie podziału ryzyka z Portugalii stanowiło typowe RSA oparte na wykorzystaniu środków, mające na celu zapewnienie kontroli ustalonego wcześniej budżetu na leki. Natomiast pierwsze RSA zawarte w USA oparte zostały na wynikach zdrowotnych generowanych przez stosowanie danej technologii i miały na celu ograniczenie ryzyka refundacji terapii nie przynoszących oczekiwanych korzyści klinicznych.

Tradycyjnie najstarszym instrumentem dzielenia ryzyka jest model oparty na efektach zdrowotnych, znany również pod nazwą *payment by results* (PbR), *pay for performance* (P4P). Jest to umowa zawarta pomiędzy płatnikiem a firmą farmaceutyczną, polegająca na określeniu stopnia, w jakim zarówno płatnik, jak i producent będą ponosić ryzyko finansowe związane z uzyskiwanymi efektami zdrowotnymi. Kontraktowanie opiera się na zasadzie „płacenie za efekty zdrowotne”. Umowy zawierane są wtedy, gdy istnieją wątpliwości dotyczące deklarowanej efektywności klinicznej technologii, a efekty stosowania technologii można zaobserwować w stosunkowo krótkim czasie.

¹² Zgodnie z definicją przyjętą w tym rozdziale także rabaty są formą RSA, która pojawiła się znacznie wcześniej.

Tabela 2. Pierwsze RSA zawierane na świecie

Państwo/rok	Produkt	Producent	Założenia
Portugalia 1997 ¹³	Payback zastosowany względem budżetu na leki	Wszyscy	Zwrot na rzecz płatnika określonej części nadwyżki ponad ustaloną wysokość budżetu na leki
USA, 1997 ¹⁴	Środki stymulujące erytropoezę	Amgen, Ortho, Biotech	Płatnik ponosi koszty terapii do czasu osiągnięcia u danego pacjenta poziomu hemoglobiny 20 gramów na decylitr
USA, 1998	Symwastatyna	Merck	Producent pokrywa koszty maksymalnie 6 miesięcy terapii, jeżeli stosowanie symwastatyny w połączeniu z dietą nie będzie wiązało się z obniżeniem cholesterolu LDL u pacjentów do poziomu wskazanego przez lekarza prowadzącego terapię

Sens zawierania RSA warunkowany jest przez istnienie ryzyka po obu stronach potencjalnego porozumienia. Nie jest jednak konieczne, aby niepewność z obu stron była taka sama lub nawet porównywalna. Również stopień, w jakim niwelowane jest ryzyko, nie musi być proporcjonalny pomiędzy stronami. Są sytuacje, w których, ze względu na wysoki poziom oszacowanych parametrów ryzyka, skłonność do zawarcia RSA jest duża – może być determinowana np. z jednej strony dużą niepewnością oszacowań efektywności leku lub jego niską opłacalnością, zaś z drugiej obawą naruszenia dyscypliny budżetowej i brakiem zapewnienia dostępu chorych do skutecznej technologii. Podział ryzyka prowadzący do obopólnego jego zmniejszenia przez ustępstwa po obu stronach prowadzi do zwiększenia poczucia bezpieczeństwa z punktu widzenia zarówno płatnika publicznego, jak i producenta oraz poprawy systemu jako całości. RSA umożliwiają realizację podstawowych celów płatnika publicznego, który może zaoferować innowacyjne technologie medyczne, zachowując jednocześnie dyscyplinę budżetową.

Niestety częstym zjawiskiem obserwowanym na etapie aplikowania o uzyskanie refundacji danej technologii medycznej jest brak, m.in. ze względu na krótki czas od rejestracji leku, wystarczających danych (klinicznych, epidemiologicznych, kosztowych i innych), które pozwoliłyby na wiarygodne określenie zarówno efektywności produktu, jak i wpływu jego finansowania na budżet systemu ochrony zdrowia. Badania kliniczne, na podstawie których dana technologia uzyskała rejestrację, skupiają się przede wszystkim na wykazaniu efektywności i bezpieczeństwa danej technologii, niekoniecznie porównując się ze wszystkimi dostępnymi komparatorami stosowanymi w danej populacji w danym kraju. W badaniach klinicznych nie są uwzględniane również elementy związane z kosztami (czy zużycia zasobów), czy też sposobami finansowania terapii. Z uwagi na odmienną celów, jakim służą badania kliniczne oraz analizy oceny technologii medycznych, dane dostępne w badaniach nie zawsze są wystarczające do przeprowadzenia wiarygodnej oceny technologii na potrzeby procesu refundacyjnego. Ograniczenia związane z danymi w sposób bezpośredni przekładają się na jakość wniosków wypływających z analiz oceniających daną technologię medyczną. W związku z powyższym nawet w przypadku dostępności pakietu analiz HTA redukujących ryzyko podjęcia błędnej decyzji refundacyjnej, nadal decyzja ta może być obciążona pewnym poziomem niepewności, w obliczu której może dochodzić do opóźnień w rozpoczęciu refundacji i udostępnieniu nowej terapii pacjentom. Brak wysokiej jakości badań klinicznych (zwłaszcza porównawczych) i właściwej oceny klinicznej uniemożliwia właściwe określenie wartości nowej technologii względem istniejących opcji terapeutycznych. W związku z tym jest utrudnione wyznaczenie odpowiedniej ceny produktu (czy wielkości populacji, wskazań i innych parametrów przedstawionych poniżej) przez producenta czy regulatora (płatnika) oraz jej obustronne zaakceptowanie w ramach postępowania administracyjnego dotyczącego objęcia leku refundacją.

W obliczu zbyt dużej niepewności w momencie oceny wniosku refundacyjnego decydent nie jest skłonny do rozpoczęcia finansowania danej technologii ze środków publicznych. Jednakże brak przyznania refundacji może skutkować ograniczeniem dostępu pacjentom do terapii efektywnych kosztowo, wobec których dodatkowo istnieją wysokie oczekiwania społeczne. Opóźnienia w rozpoczęciu refundacji wiążą się z ograniczeniem dostępu pacjentów do nowych technologii medycznych i jako takie nie są dobrze odbierane przez społeczeństwo, a także

¹³ J. Espin. Analysis of differences and commonalities in pricing and reimbursement systems in Europe, 2007.

¹⁴ Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers.

nie przyczyniają się do poprawy zdrowotności, co negatywnie odbija się na ocenie regulatora/płatnika. Z punktu widzenia producenta brak refundacji wiąże się bezpośrednio z mniejszymi przychodami ze sprzedaży leku, co znajduje przełożenie na spadek opłacalności inwestycji poczynionych w związku z opracowaniem nowej technologii.

W związku z powyższym w przypadku występowania niepewności (ryzyka) w momencie podejmowania decyzji refundacyjnej zarówno ze strony producenta, jak i decydenta pojawia się chęć osiągnięcia porozumienia.

Decyzja o przystąpieniu do umowy podziału ryzyka przez regulatora/płatnika i producenta dla technologii medycznej, która ma być ewentualnie objęta refundacją, może być związana z:

1. efektywnością ocenianej technologii medycznej – niepewnością oszacowań dotyczących skuteczności terapii, określoną poprzez surogaty, w badaniach obserwacyjnych, grupach post hoc, z szerokimi przedziałami ufności; dodatkowo możliwe jest wystąpienie zjawiska *publication bias*;
2. korzyściami klinicznymi w subpopulacjach;
3. niepewnością oszacowań dotyczących profilu bezpieczeństwa terapii (niedoszacowane lub nie wykryte w badaniach klinicznych działania niepożądane)¹⁵;
4. wysokim kosztem technologii (np. wysoka cena jednostkowa leku lub wysoki wpływ na budżet płatnika wynikający z dużej liczby chorych);
5. wysokim kosztem wynikającym z zastosowania dodatkowych technologii (dodatkowa diagnostyka (np. badania genetyczne szerszej populacji niż włączona do leczenia), monitorowanie, konieczność terapii skojarzonej);
6. różną efektywnością kliniczną w różnych podgrupach pacjentów, a co za tym idzie – różną opłacalnością terapii w zależności od charakterystyki chorych;
7. nieznaną i trudną do przewidzenia docelową liczbą pacjentów, u których technologię można zastosować (ograniczone dane epidemiologiczne, niewydolny system monitorowania ordynacji lekarskiej, duże ryzyko *off-label use* czy *soft-label use* itp.);
8. brakiem możliwości określenia cech populacji polskiej wpływających na wielkość wydatków w budżecie (masa ciała, *compliance*, schematy leczenia stosowane w Polsce);
9. wielkością środków w budżecie państwa przeznaczonych na finansowanie świadczeń zdrowotnych;
10. inne¹⁶.

Jak widać powyżej, RSA umożliwiają zwiększenie kontroli nad budżetem lub ograniczenie wydatków płatnika publicznego poprzez różne mechanizmy w nich stosowane, np. poprzez zmniejszenie ryzyk związanych z typem i wielkością populacji stosujących daną technologię, pomiarem rzeczywistego stopnia skuteczności i bezpieczeństwa, czy też opłacalnością terapii. Jednocześnie w ramach instrumentów dzielenia ryzyka można korygować inne mechanizmy systemowe lub skutki ich funkcjonowania, które oddziałują na celowość i praktykę stosowania oraz finansowania określonych terapii – np. poprzez ograniczanie negatywnych dla innych podmiotów skutków istniejących rozwiązań (takich jak *wastage*, obciążający budżet podmiotu świadczącego usługi medyczne).

Bezspornie więc zawierane porozumienia pomiędzy płatnikiem a producentem przynoszą korzyści nie tylko obu stronom umowy, ale również, a raczej – przede wszystkim – pacjentom. Identyfikacja najważniejszych ograniczeń dostępu do terapii i ich eliminacja poprzez zawarte porozumienia może prowadzić do przyspieszenia procesu, a nawet wprowadzenia nowej ścieżki wdrażania technologii medycznych dla szerszej populacji. Jednocześnie kontrola budżetu przez płatnika pozwala na włączanie kolejnych świadczeń gwarantowanych do koszyka.

¹⁵ Łanda K. (red.): Pricing. Ceny leków refundowanych, negocjacje i podział ryzyka. CEESTAHC, Warszawa/Kraków 2009.

¹⁶ Łanda K. (red.): Pricing. Ceny leków refundowanych, negocjacje i podział ryzyka. CEESTAHC, Warszawa/Kraków 2009.

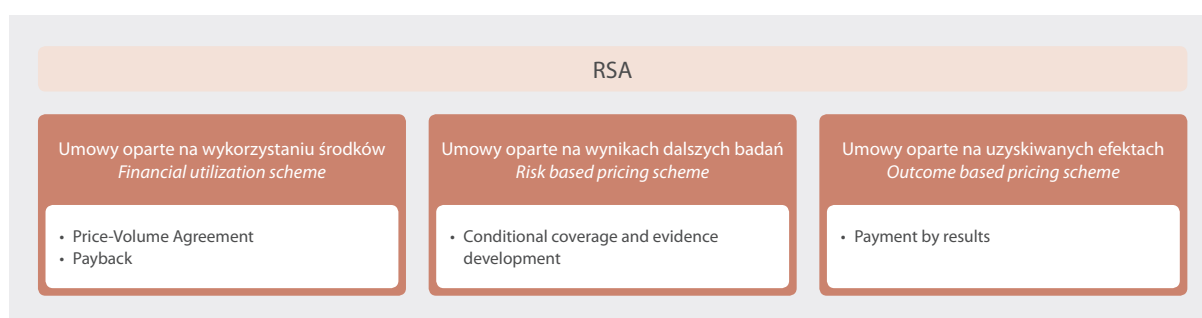
2.3. Typologia RSA – literatura i podstawowe zagadnienia

Ze względu na mnogość możliwych do zawarcia porozumień podziału ryzyka problematyczne jest stworzenie ich uniwersalnej klasyfikacji. Zgodnie z szeroko stosowanym podziałem zaproponowanym w pracy Carlson 2010¹⁷ RSA można podzielić na dwa główne rodzaje:

- umowy **opierane** na uzyskiwanych efektach zdrowotnych,
- umowy **niezależne** od uzyskiwanych efektów zdrowotnych.

Taksonomia RSA zaproponowana w podobnym okresie przez kilku badaczy¹⁸ wprowadza klasyfikację porozumień podziału ryzyka pomiędzy płatnikiem publicznym a producentem ubiegającym się o refundację określonej technologii medycznej, dopuszczając jednocześnie elastyczność w obrębie poszczególnego rodzaju porozumień. Podobnie w polskim opracowaniu Łanda 2009¹⁹ pojawia się podobnego rodzaju taksonomia RSA.

Schemat 2. Rodzaje RSA – Łanda 2009²⁰



Powyższa taksonomia jest zbliżona do klasyfikacji zaproponowanej w pracy Jarosławski 2011²¹, w której wyróżnia się porozumienia komercyjne (rabatowe) oraz wspominane wcześniej umowy związane z refundacją warunkową i uzależnioną od uzyskiwanych rezultatów. Pomimo różnic występujących pomiędzy wspomnianymi typologiami łączy je wspólna idea rozróżnienia porozumień opartych na uzyskiwanych efektach zdrowotnych od umów nie związanych z osiąganymi wynikami (tzw. finansowych).

W innym podejściu porozumienia podziału ryzyka rozróżniać można ze względu na cele, którym mają one służyć. RSA zawierane są głównie w następujących celach:

- utrzymania dyscypliny budżetowej,
- zapewnienia efektywności kosztowej finansowanych technologii,
- kontroli (racjonalizowania) zużycia leku.

Wewnątrz powyższych grup wyróżnić można pewne podgrupy na podstawie indywidualnych charakterystyk poszczególnych umów. **Wśród umów, które nie bazują na efektach, wyróżnić można:**

- porozumienia zawierane na poziomie **indywidualnego pacjenta** lub
- porozumienia zawierane na poziomie **całej populacji chorych**.

¹⁷ Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.

¹⁸ Klemp M, KB Frønsdal, K Facey and HTAi Policy Forum. What principles should govern the use of managed entry agreements? Int J Technol Assess Health Care 27 (1):77-83.

¹⁹ Łanda K. (red.): Pricing. Ceny leków refundowanych, negocjacje i podział ryzyka. CEESTAHC, Warszawa/Kraków 2009.

²⁰ Łanda K. (red.): Pricing. Ceny leków refundowanych, negocjacje i podział ryzyka. CEESTAHC, Warszawa/Kraków 2009.

²¹ Jarosławski S, Toumi M.: Market Access Agreements for pharmaceuticals in Europe: diversity of approaches and underlying concepts. BMC Health Services Research, 2011.

Z kolei umowy oparte na uzyskiwanych efektach zdrowotnych można podzielić ze względu na charakter samej refundacji, w zależności od tego, czy jest to refundacja warunkowa od wyników klinicznych, czy też uzależniona bezpośrednio od uzyskiwanych efektów zdrowotnych na poziomie pojedynczego pacjenta. Schemat 3 obrazuje podział RSA zaproponowany w pracy Carlson 2010²². Umowy podziału ryzyka, którym poświęcono tę publikację, zdefiniowano jako porozumienia zawarte pomiędzy producentem a płatnikiem publicznym, w których cena produktu medycznego, poziom jego refundacji lub jej charakter uzależnione zostały od czynników możliwych do określenia po pewnym czasie od podjęcia decyzji refundacyjnej. Szczególną uwagę w tej pracy poświęcono **RSA opartym na efektach zdrowotnych**, uzyskiwanych w wyniku stosowania danej technologii medycznej, gdzie wyróżniono **dwa podstawowe typy tego rodzaju umów**:

- **umowy oparte na wynikach dalszych badań – refundację warunkową** (*conditional reimbursement*) oraz
- **refundację związaną z uzyskiwanymi efektami zdrowotnymi** (*outcome based schemes*).

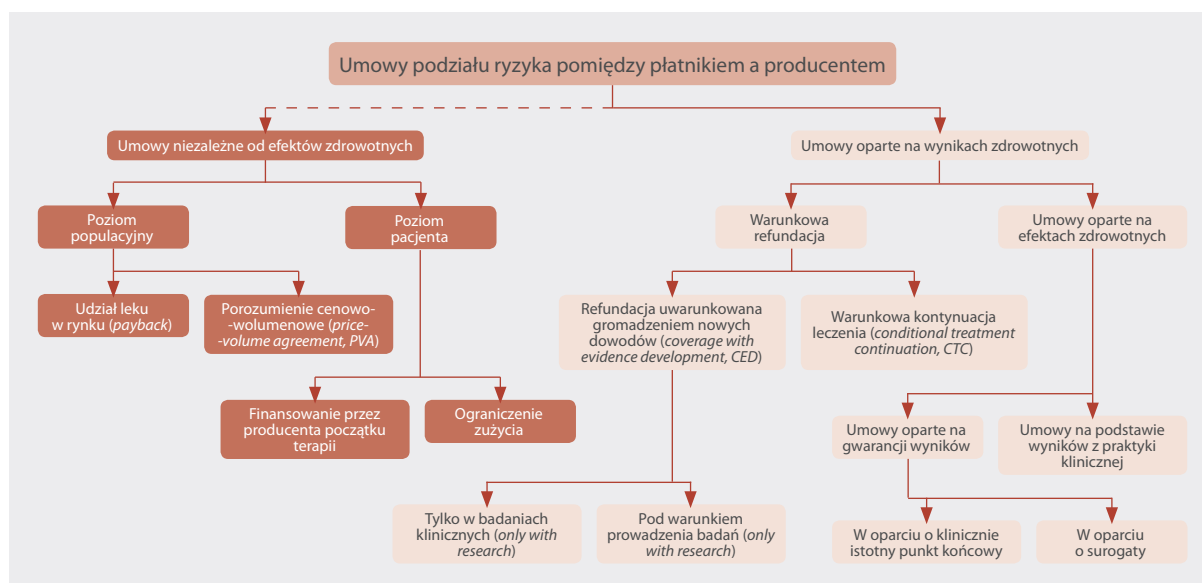
Refundacja warunkowa może polegać na uzależnieniu finansowania leku od zainicjowania procesu zbierania danych klinicznych dotyczących jego stosowania (*coverage with evidence development; CED*). Zwykle przyznanie refundacji następuje na określony czas, w ciągu którego zbierane są dodatkowe informacje na temat skuteczności i bezpieczeństwa stosowania leku w ramach badania klinicznego. Po zakończeniu umownego okresu następuje ponowna ocena technologii, przy uwzględnieniu nowych informacji, których zgromadzenie byłoby trudne i długotrwałe w przypadku braku uzyskania wcześniej warunkowego finansowania ze środków publicznych. W tym przypadku ponowna decyzja refundacyjna ma szansę być podejmowana na podstawie wiarygodnych danych, przy o wiele mniejszej niepewności, a więc niższym ryzyku z nią związanym. W ramach refundacji warunkowej możliwe jest:

- ograniczenie refundacji wyłącznie do populacji pacjentów biorących udział w badaniu (*only in research; OIR*) lub
- finansowanie terapii wszystkich pacjentów, z których część jest włączana do badania (*only with research; OWR*).

Innym typem refundacji warunkowej jest uzależnienie finansowania dalszej terapii indywidualnego pacjenta od realizacji krótkoterminowych celów terapeutycznych (uzyskania odpowiedzi na leczenie w zakresie ustalonego punktu końcowego). RSA, u którego podstaw stoi tego typu refundacja warunkowa, określa się mianem umowy opartej na warunkowej kontynuacji leczenia (*conditional treatment continuation; CTC*).

Umowy polegające na **refundacji związanej z uzyskiwanymi efektami zdrowotnymi** (*outcome based*) zostały zdefiniowane jako porozumienia, w których refundacja (np. cena leku) uzależniona jest od uzyskania bądź nie określonego rezultatu (efektu klinicznego) na poziomie pojedynczego pacjenta. W porozumieniach tego typu producent jest gwarantem uzyskania odpowiednich wyników w trakcie leczenia. Gwarancja uzyskania wyników chroni płatnika publicznego przed potencjalną utratą funduszy na leki o efektywności rzeczywistej kształtującej się na poziomie poniżej oczekiwań. W przypadku braku osiągnięcia ustalonych efektów producent zapewnia adekwatne rabaty, zwroty (pieniężne lub rzeczowe) lub następuje dostosowanie (obniżka) ceny leku. Weryfikacja spełnienia zagwarantowanych rezultatów może odbywać się na podstawie klinicznie istotnych punktów końcowych, odzwierciedlających stan pacjenta lub punktów końcowych, które same w sobie nie są istotne z klinicznego punktu widzenia, aczkolwiek wykazujących związek z wynikami istotnymi klinicznie (surogaty).

²² Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.

Schemat 3. Rodzaje RSA – Carlson 2010²³

Zaproponowany powyżej podział RSA zakłada przynależność poszczególnych porozumień do określonego typu, pomimo to nie jest wykluczone łączenie w ramach jednego porozumienia kilku mechanizmów RSA. Takie połączenie dwóch lub kilku rodzajów możliwych mechanizmów porozumień, może doprowadzić do stworzenia RSA bardziej atrakcyjnego zarówno z punktu widzenia producenta, jak i płatnika publicznego.

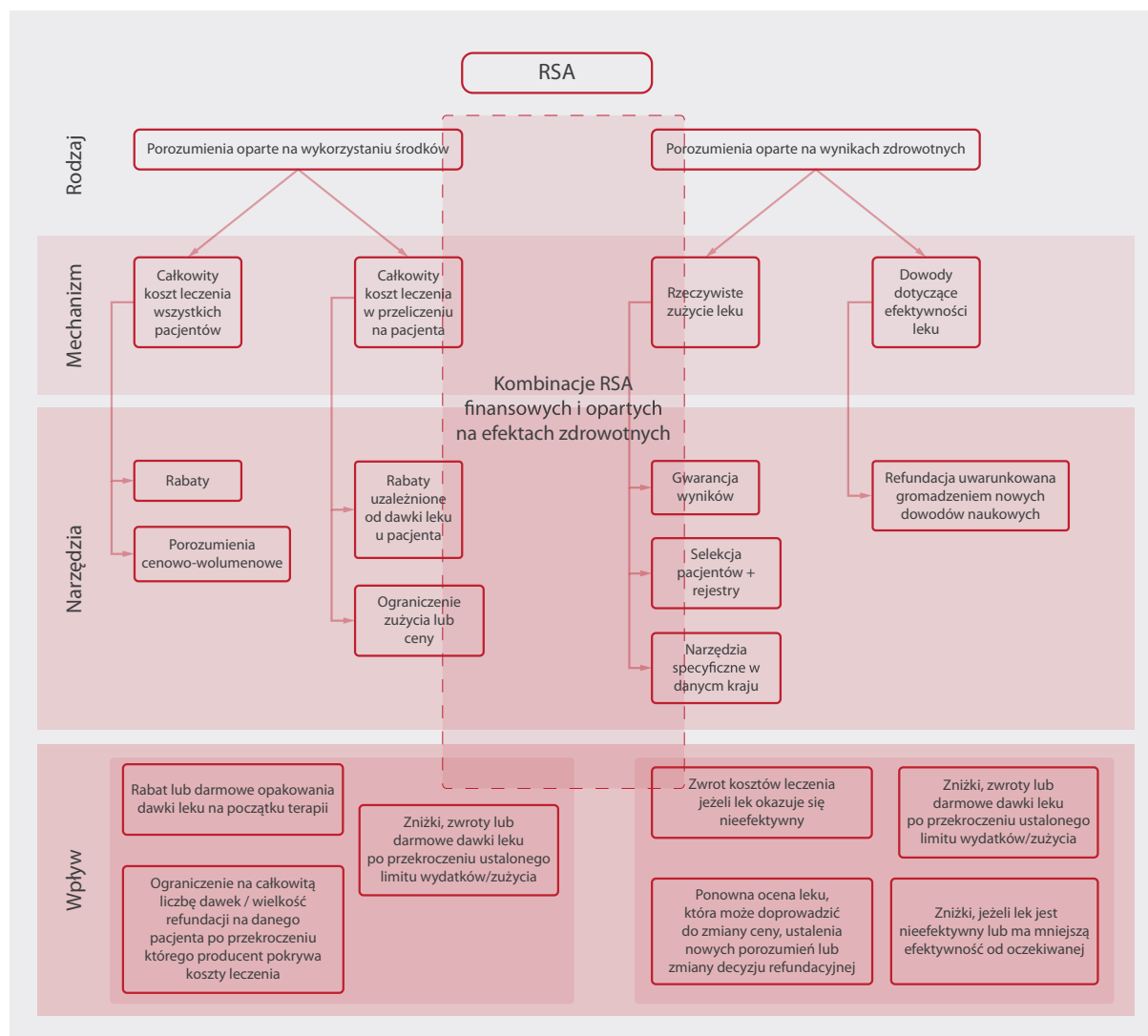
W pracy Ferrario 2013²⁴ została przedstawiona propozycja nowej taksonomii RSA, opracowanej na podstawie przeprowadzonego przeglądu porozumień podziału ryzyka zawieranych w Europie. Omawianą propozycję typologii RSA przedstawiono na schemacie 4 i jest ona zbliżona do klasyfikacji z pracy Carlson 2010²⁵. Zaproponowana systematyka RSA jest czteropoziomowa.

1. Pierwszy poziom obejmuje charakterystykę celu, jaki przyświeca podjęciu danego porozumienia. Na tym poziomie wyróżniono cel finansowy lub związany z wynikami zdrowotnymi, uzyskiwanymi dzięki zastosowaniu danej technologii medycznej. Podobna idea podstawowego podziału RSA stoi za taksonomią przyjętą w dalszej części niniejszego opracowania.
2. Drugi poziom klasyfikacji dotyczy parametrów, które muszą być monitorowane w ramach poszczególnych RSA (np. całkowity koszt terapii, koszt w przeliczeniu na jednego pacjenta, rzeczywiste zużycie leku, dane dotyczące efektywności).
3. Na trzecim poziomie znajdują się wcześniej wylistowane cechy (instrumenty) porozumienia, pozwalające na osiągnięcie założonych celów.
4. Ostatni, czwarty poziom sugerowanej typologii odnosi się do wpływu danego RSA na cenę, refundację oraz ewentualną ponowną ocenę zasadności finansowania leku ze środków publicznych.

²³ Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.

²⁴ Ferrario A, Kanavos P.: Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. London School of Economics and Political Science, 2013.

²⁵ Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.

Schemat 4. Rodzaje RSA – Ferrario 2013²⁶

2.4. Rodzaje RSA

W zaprezentowanych w poprzednim rozdziale klasyfikacjach porozumień podziału ryzyka zauważyć można pewne wzajemne niespójności co do przynależności poszczególnych rodzajów RSA do konkretnych typów. W niniejszym opracowaniu będziemy się posługiwać nieco uproszczonym, aczkolwiek łatwiejszym w odbiorze podziałem porozumień podziału ryzyka. Podział ten został zaproponowany przy uwzględnieniu wszystkich przytoczonych wcześniej typologii i dostosowany do potrzeb tego dokumentu.

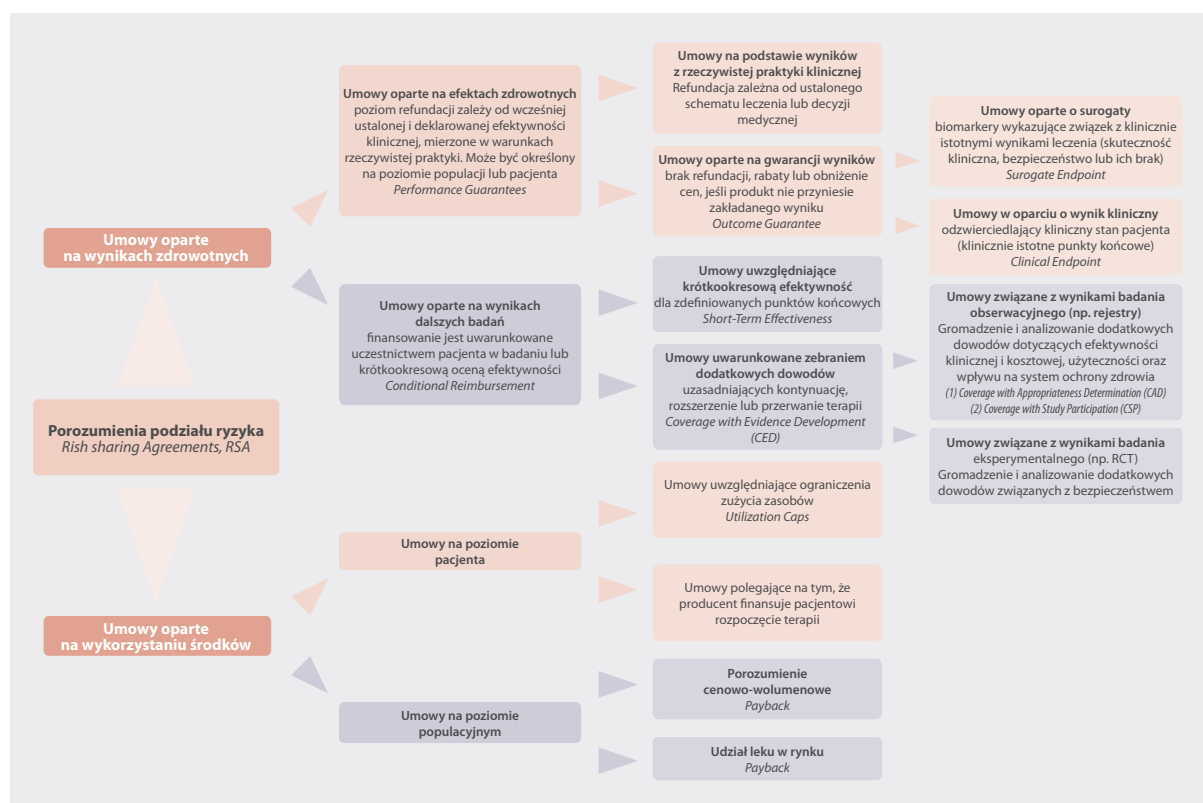
Będziemy wyróżniać dwa podstawowe rodzaje RSA:

- umowy oparte na wykorzystaniu środków oraz
- umowy oparte na wynikach zdrowotnych.

²⁶ Ferrario A, Kanavos P: Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. London School of Economics and Political Science, 2013.

W dalszej części dokumentu przyjrzymy się konkretnym mechanizmom funkcjonującym w ramach każdego z powyższych rodzajów RSA. Zostaną przytoczone również odpowiednie przykłady ich zastosowania.

Schemat 5. Rodzaje i typy RSA



2.5. Typy RSA

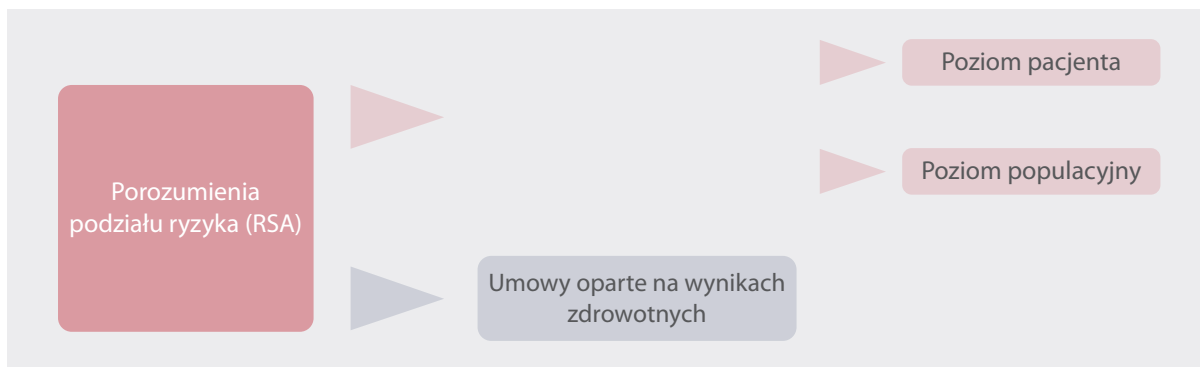
2.5.1. Umowy oparte na wykorzystaniu środków

Cechą charakterystyczną umów opartych na wykorzystaniu środków jest zawarcie porozumienia co do warunków refundacji danej technologii medycznej, akceptowalnych zarówno z punktu widzenia płatnika, jak i producenta, które nie są lub w minimalnym stopniu są zależne od wyników zdrowotnych uzyskiwanych wskutek stosowania danej interwencji. RSA oparte na wykorzystaniu środków mają na celu umożliwienie płatnikowi kontroli i ograniczenia wydatków w ramach określonego wskazania (lub grupy wskazań)²⁷. W ramach działań związanych z porozumieniami podziału ryzyka opartymi na wykorzystaniu środków mogą być wykorzystywane inne mechanizmy pozwalające płatnikowi na utrzymanie dyscypliny budżetowej – leczenie przez wybrane wykwalifikowane ośrodki z określonym wyposażeniem lub doświadczeniem lub przez lekarzy określonej specjalności, i są najczęściej regulatorami kontroli finansowania systemu ochrony zdrowia.

W ramach kolejnych podziałów jest możliwe przedstawienie typów umów zawieranych na poziomie pojedynczego pacjenta oraz dla określonej populacji.

²⁷ Można w tym przypadku mówić o wskazaniu rejestracyjnym wyłącznie wtedy, gdy wskazanie rejestracyjne pokrywa się ze wskazaniem refundacyjnym (często, choć w różnym zakresie, nie jest to spełnione i wskazania refundacyjne istotnie różnią się od wskazań rejestracyjnych, np. w przypadku *soft-label use*).

Schemat 6. Typy umów opartych na wykorzystaniu środków



2.5.1.1. Umowy na poziomie pacjenta

Porozumienia oparte na wykorzystaniu środków zawierane z poziomu indywidualnego pacjenta określamy jako umowy typu **cost-sharing** (stosowane inne nazwy to **rabaty lub cap-y**). Tego rodzaju porozumienia stanowią najprostszą formę RSA. Najczęściej polegają na obniżeniu kosztów terapii daną technologią medyczną w ramach refundacji na poziomie pojedynczego pacjenta. Cechą charakterystyczną tego rodzaju RSA jest brak innych, poza kosztami terapii, czynników warunkujących finansowanie leku ze środków publicznych. Obniżenie kosztów terapii można uzyskiwać na różne sposoby:

- **rabaty gotówkowe (pieniężne)** – obniżenie ceny leku (za opakowanie, określoną liczbę opakowań, koszt terapii miesięcznej itp.);
- **rabaty naturalne (towarowe, rzeczowe)** – gdy przy sprzedaży danego towaru sprzedawca dostarcza kupującemu nieodpłatnie dodatkową ilość towaru w formie swego rodzaju premii za dokonanie zakupu; **primer (starter)** to rabat rzeczowy w postaci opakowania leku podanego pacjentowi w momencie rozpoczynania terapii, czyli koszt pierwszego opakowania leku nie jest uwzględniany w całkowitym koszcie terapii;
- **umowy limitujące zużycie (utilization caps)** – określenie w porozumieniu pomiędzy płatnikiem a producentem odpowiedniego limitu zużycia towaru (np. leku) dla pacjenta, koszty terapii do momentu przekroczenia ustalonego limitu zużycia pokrywa płatnik, po przekroczeniu limitu koszty kontynuacji leczenia ponosi producent.²⁸

Wymiar ekonomiczny rabatu naturalnego jest niemal identyczny z rabatem finansowym, różni się jedynie praktyką rozliczeń podatkowych oraz korzyści uzyskiwanych przez świadczeniodawcę i/lub tylko płatnika.

Tabela 3. Przykład porozumień typu *cost-sharing* na świecie

Producent	Lek	Kraj	Mechanizm	Porozumienie
Novartis	Exjade (deferasirox)	Australia	Rabat pieniężny	Obniżka ceny o 20%
Bayer	Nexavar (sorafenib)	UK	Rabat rzeczowy (darowizna)	Pierwsze opakowanie leku dla każdego pacjenta finansowane przez producenta
Pfizer	Sutent (sunitinib)	UK		Pierwszy cykl leczenia pacjenta na koszt producenta

Umowy typu *cost-sharing* są atrakcyjne dla płatnika publicznego, jak również dla producenta ze względu na ich prostotę, zarówno jeżeli chodzi o poziom zrozumienia ich zasad, jak i łatwość ich zastosowania w praktyce. Tego rodzaju RSA ma również swoje wady. Mianowicie zawarcie umowy typu *cost-sharing* nie daje płatnikowi możliwości usztywnienia na poziomie całego budżetu, np. rocznego, co więcej – istnieje prawdopodobieństwo zawyżenia wyjściowej

²⁸ Landa Pricing.

ceny leku przez producenta. Z kolei na producenta spada zwykle dodatkowa konieczność monitorowania funkcjonowania RSA, które w przypadku porozumienia *cost-sharing* (zwłaszcza w przypadku rabatów rzeczowych) może się wiązać z pewnymi trudnościami – np. z uwagi na potrzebę monitorowania sprzedaży do szpitali lub ewentualnie danych na poziomie pojedynczego pacjenta. Dodatkowo upublicznienie informacji na temat zawarcia w danym kraju umowy cenowej może mieć negatywny wpływ na cenę leku w innych państwach, w związku z tym konieczne z punktu widzenia producenta jest również zadbanie o właściwe rozwiązanie w ramach porozumienia kwestii poufności podjętych ustaleń. Ponieważ zachowanie poufności informacji dotyczących zawartej umowy cenowej leży przede wszystkim w interesie producenta, w sposób naturalny na niego spada konieczność monitorowania funkcjonowania RSA również w tym aspekcie. Mechanizm umów *cost-sharing* może być ponadto wykorzystywany we wszystkich innych typach RSA, także w przypadku porozumień cenowo-wolumenowych czy umów podziału ryzyka opartych na wynikach zdrowotnych.

Schemat 7. Wady i zalety umów typu *cost-sharing*

Producent	
• prostota • możliwość uzyskania refundacji zarówno na bazie rabatów finansowych, jak i rzeczowych (darmowe opakowania) • łatwość zastosowania	• potencjalne trudności z monitorowaniem świadczeniodawców • w przypadku upublicznienia informacji o realnych cenach – negatywny wpływ na cenę w innych państwach
+	–
• prostota i łatwość obliczeń • proporcjonalne, przewidywalne zmniejszenie wydatków na refundację (np. o 15%) • relatywnie prosty system kontroli w oparciu o istniejący system	• brak sztywnego budżetu na refundację (jeżeli <i>cost-sharing</i> stosowany jest bez połączenia z innym typem RSA) • ryzyko zawyżenia ceny początkowej przez producenta – konieczność urealniania ceny w trakcie trwania decyzji
Płatnik	

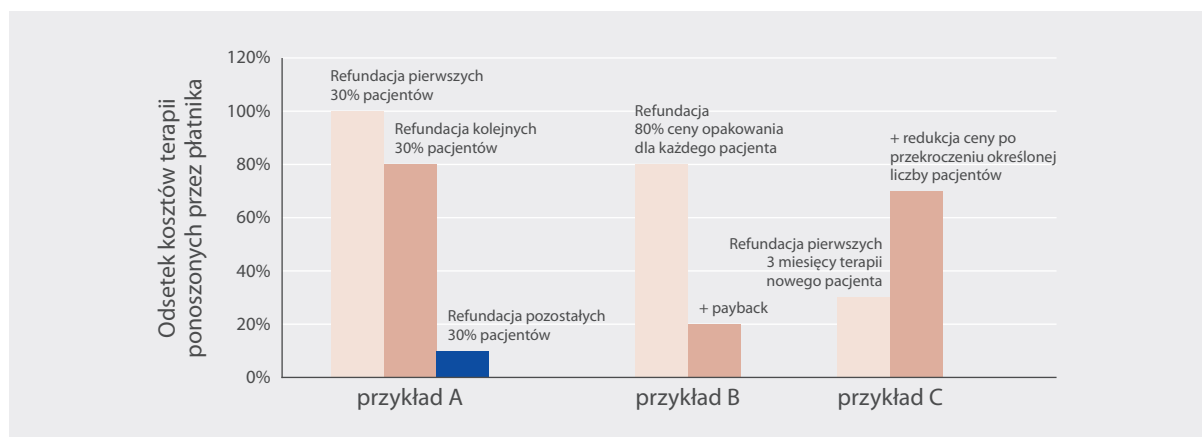
Przykłady podziału ryzyka oparte o *cost-sharing* (rabaty) mogą być związane z różnymi mechanizmami:²⁹

1. Obniżenie ceny jednego opakowania dla pojedynczej terapii w jednym lub kilku wskazaniach:
 - rabat pieniężny – producent obniży o określony % cenę każdego opakowania zużytego i sprawozdawanego przez apteki lub szpitale,
 - rabat rzeczowy – producent dostarczy X opakowań na każde Y zużytych opakowań.
2. Rabat w oparciu o cenę leku alternatywnego – obniżenie w ramach rabatu ceny nowej terapii do poziomu realnej ceny terapii alternatywnej poprzez określenie kwoty zwrotu.

W ramach tych porozumień możliwe jest określenie różnego stopnia złożonych mechanizmów *cost-sharing*.

Na wykresie 3 zaprezentowano graficznie zasady funkcjonowania przykładowych RSA opartych na wykorzystaniu środków.

²⁹ Pharmaceutical Benefits Pricing Authority Policies Procedures and Methods used in the pricing of pharmaceutical products, December 2006: <http://tinyurl.com/c34sa6>

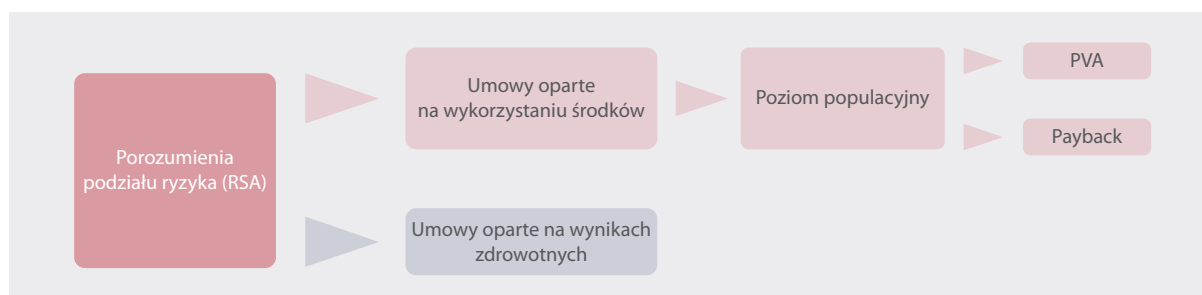
Wykres 3. Przykładowe RSA typu *cost-sharing*

2.5.1.2. Umowy na poziomie populacyjnym

Na poziomie populacyjnym wyróżnia się dwa podstawowe mechanizmy stosowane w ramach umów podziału ryzyka opartych na wykorzystaniu środków:

- porozumienia cenowo-wolumenowe (*price-volume agreement*, **PVA**),
- porozumienia typu **payback**.

Schemat 8. Rodzaje umów opartych na wykorzystaniu środków zawieranych na poziomie populacyjnym



2.5.1.2.1. Porozumienie cenowo-wolumenowe

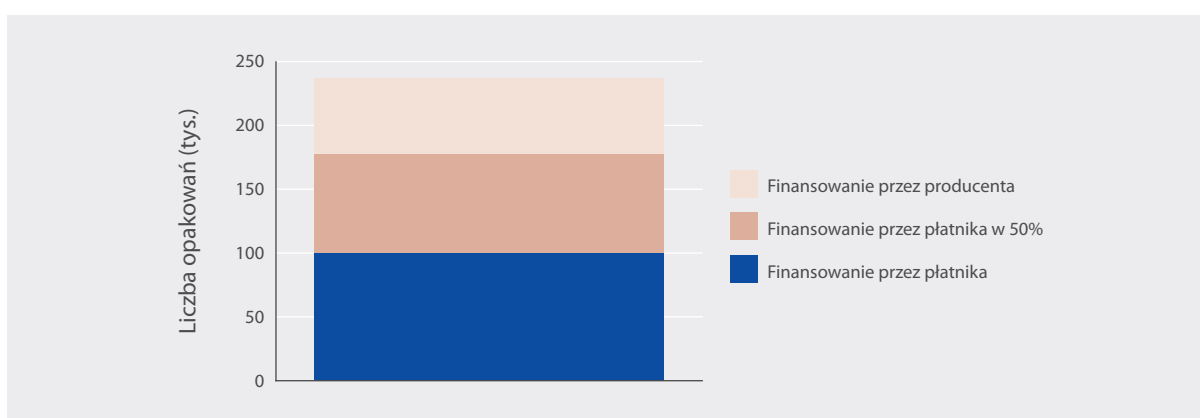
Porozumienia **cenowo-wolumenowe** należą do umów opartych na wykorzystaniu środków i są uzależnione od wielkości sprzedaży. Istotą tego typu porozumień jest rekompensata producenta na rzecz płatnika w zależności od wielkości sprzedaży, która może być uwarunkowana liczbą pacjentów, opakowań, miesięcy leczenia, liczby zabiegów, DOT (*days of treatment*). Warunki tego rodzaju porozumień są określone w odniesieniu do parametrów dotyczących całej populacji pacjentów stosujących daną technologię w ramach systemu refundacyjnego lub przy uwzględnieniu możliwości stosowania terapii we wskazaniach pozarejestacyjnych (*off-label*). Rekompensata proponowana przez producenta może być realizowana poprzez zwrot pieniędzy (całkowity lub częściowy – procentowy), który może przyjmować charakter progresywny lub regresywny. Możliwe jest również dokonywanie zwrotów w formie rabatu rzeczowego na rzecz świadczeniodawców. Całkowite lub częściowe ryzyko finansowe po przekroczeniu ustalonego limitu przerzucone zostaje na producenta – w ramach ustalonych progów (progresywnych lub regresywnych).

Główne ryzyko dotyczące zawierania tego typu umów jest związane nie tylko z niepewnością co do wielkości populacji, lecz także z wielkością dawki stosowanej w praktyce klinicznej, *compliance* pacjentów i innymi parametrami dotyczącymi zużycia leków.

Przykładowo konsekwencjami podmiotu odpowiedzialnego określonymi w porozumieniu typu PVA może być zwrot kosztów kolejnych opakowań leku czy też zmiana (obniżka) ceny danej technologii medycznej. Obniżka może być wyrażona kwotowo lub jako procent wyjściowej ceny leku. Umowy typu PVA stosowane są w przypadku nowych leków innowacyjnych, stosowanych w chorobach charakteryzujących się wysokim rozpowszechnieniem, a co za tym idzie – potencjalnie dużą liczebnością populacji pacjentów mogących stosować dany lek. Umowa cenowo-wolumenowa może opierać się na:

- odsetkowym rabacie na każde opakowanie leku ponad umówiony wolumen,
- zwrocie przez producenta na rzecz płatnika, następującym po przekroczeniu umówionego wolumenu, różnicy między ceną leku objętego RSA a kosztem alternatywnej (tańszej) terapii,
- refundacji leku wyłącznie do momentu przekroczenia ustalonego wolumenu, po jego przekroczeniu lek przestaje być refundowany przez płatnika, koszty ponosi tylko producent.

Wykres 4. Przykład porozumienia cenowo-wolumenowego



Niewątpliwą zaletą porozumień cenowo-wolumenowych jest ich względna prostota zarówno z punktu widzenia producenta, jak i płatnika publicznego. Dodatkowe korzyści producenta mogą wynikać z ograniczenia wydatków związanych z promocją leku. Kolejna zaleta PVA pojawia się w przypadku leku mającego zastosowanie w wielu wskazaniach, gdyż jedna tego rodzaju umowa może obejmować wszystkie zastosowania. Najważniejszym atutem porozumienia cenowo-wolumenowych z punktu widzenia płatnika publicznego jest gwarancja utrzymania sztywnego limitu wydatków na dany lek a więc bezpieczeństwa budżetowego.

Schemat 9. Wady i zalety umów cenowo-wolumenowych

Producent	
• względna prostota (lecz trudniejsze niż <i>cost-sharing</i>) • ograniczenie wydatków na marketing ze względu na kontrolę sprzedaży • możliwość objęcia jedną umową kilku wskazań	• niepewność co do populacji leczonych • nieopłacalne przy bardzo skutecznych technologiach (w zależności od ustalanych progów) • relatywnie trudne do przygotowania przy technologiach z dużym udziałem w rynku • potencjalne zagrożenie stosowania leku poza wskazaniem (<i>off-label</i>) • wymóg niezwykle dokładnego monitoringu poziomu sprzedaży leku • trudne do egzekwowania przy kilku wskazaniach lub dużych populacjach stosujących leki <i>off-label</i>

	
• możliwość dokładnego oszacowania dostępu pacjentów do terapii • sztywny limit całkowitych wydatków na dany lek (w zależności od przyjętych progów) • relatywna prostota koncepcji RSA, brak ryzyka ponoszenia kosztu stosowania leku poza wskazaniem (<i>off-label</i> czy <i>soft-label</i>) • wysokie prawdopodobieństwo utrzymania tajemnicy ceny efektywnej	• przy lekach innowacyjnych trudność w precyzyjnym oszacowaniu liczby pacjentów (opakowań czyli rzeczywistego zużycia) • możliwe oszacowanie dla relatywnie niedużych populacji (im większa populacja, tym wyższe ryzyko popełnienia błędu oszacowania) • wymóg niezwykle dokładnego monitoringu poziomu sprzedaży leku w danym wskazaniu • dopasowanie systemu egzekwowania warunków umowy do konkretnych warunków każdego porozumienia
Płatnik	

Przykłady³⁰ zobowiązań producenta leku po przekroczeniu założonych wielkości sprzedaży (albo refundacji) przedstawiono poniżej:

Rabat pieniężny procentowy – producent udziela odsetkowego rabatu pieniężnego w wysokości 30% ceny od każdego sprzedanego opakowania ponad limit opakowań sprzedanych w ciągu roku (np. 100 tysięcy opakowań).

Rabat rzeczowy – producent udziela odsetkowego rabatu rzeczowego w wysokości 3 opakowań leku na każde 10 opakowań sprzedanych ponad limit określony w wysokości (100 tysięcy opakowań).

Obniżenie ceny – cena zostaje przyjęta tylko do określonego poziomu sprzedaży, np. liczby pełnych miesięcznych terapii w ciągu roku. W przypadku przekroczenia ustalonego limitu następuje obniżenie ceny do poziomu najtańszej alternatywnej terapii.

Finansowanie i monitorowanie leczenia – płatnik zobowiązuje się do pokrycia kosztów monitorowania terapii pierwszych 6 miesięcy leczenia określonej liczby pacjentów (np. 100 tysięcy). W przypadku przekroczenia czasu terapii ponad 6 miesięcy lub określonej liczby pacjentów producent jest zobowiązany do pokrycia jej kosztów w 100%.

Określenie wielkości populacji dla kilku leków we wskazaniu – kilku producentów jest zobowiązanych do zwrotu kosztów leczenia pacjentów w przypadku przekroczenia danego limitu (np. 100 tysięcy pacjentów w zależności od udziałów poszczególnych producentów).

Praktyczne przykłady porozumień cenowo-wolumenowych funkcjonujących w różnych krajach europejskich przedstawiono w tabeli 4.

Tabela 4. Przykłady porozumień cenowo-wolumenowych

Producent	Lek	Kraj	Porozumienie
Roche	Avastin (bewacyzumab)	Włochy	Wydatki na lek nie mogą przekroczyć ustalonej kwoty, po przekroczeniu której koszty terapii ponosi producent
		Szwecja	Refundacja wyłącznie ustalonej ilości sprzedanego leku, dodatkowe opakowania leku ponad limit nie są refundowane
Janssen-Cilag	Stelara (ustekinumab)	UK	Cena dwóch fiolek leku potrzebnych w leczeniu pacjentów o masie ciała przekraczającej 100 kg jest równa cenie jednej fiołki; koszt terapii ponoszony przez płatnika nie jest zależny od masy ciała leczonego pacjenta

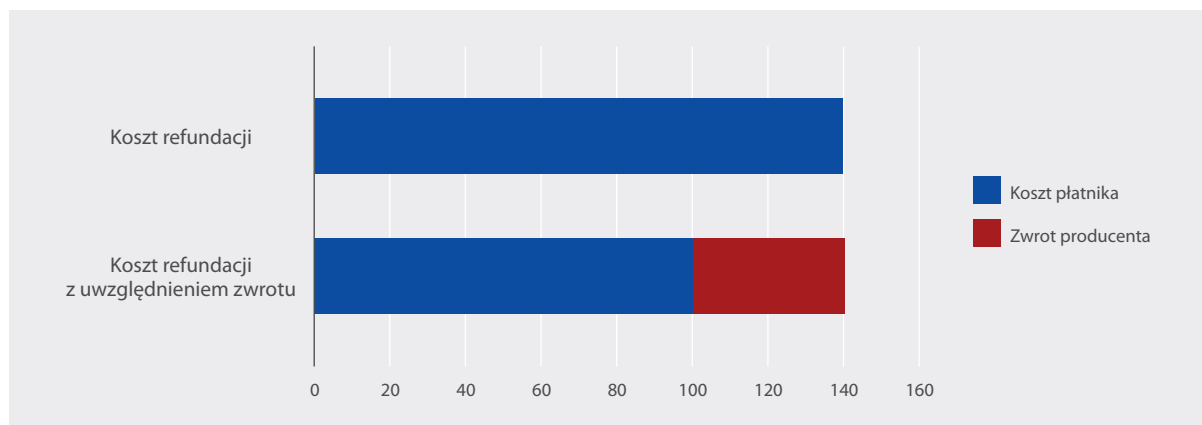
³⁰ Wymienione przykłady zostały zaczerpnięte z opracowania: Australian National Audit Office (ANAO), Performance Audit Pharmaceutical Benefits Scheme PBS: <http://tinyurl.com/dyy556>

2.5.1.2.2. Payback

Payback jest kolejną formą umów opartych na wykorzystaniu środków zawieranych na poziomie populacyjnym w zależności od wartości sprzedaży. Porozumienie tego typu polega na dokonywaniu przez producenta zwrotu na rzecz płatnika publicznego całości lub części tzw. określonej kwoty przekroczenia (bez względu na wielkość populacji). Zwrot dokonywany jest po zakończeniu umownego okresu. Kwotą przekroczenia może być:

- koszt refundacji powyżej poziomu ustalonego w ramach porozumienia,
- nadwyżka ponad określony poziom dochodu producenta ze sprzedaży danego leku.

Wykres 5. Przykład umowy typu *payback*



Niewątpliwą zaletą porozumień typu *payback* jest możliwość funkcjonowania tego rodzaju instrumentu względem pojedynczego leku lub grupy leków, ale również całej sprzedaży danego producenta, a nawet w odniesieniu do całego budżetu płatnika przeznaczonego na refundację w ramach jednego wskazania lub grupy wskazań – zarówno dla jednego, jak i grupy produktów. Jednocześnie tego typu porozumienia mogą obejmować całe portfolio lub określone grupy leków z portfolio firmy.

Umowy typu *payback* mają zalety podobne do PVA, zarówno z punktu widzenia płatnika publicznego, jak i producenta. Możliwość objęcia tego typu umową całkowitego budżetu przeznaczonego na refundację pozwala płatnikowi na teoretyczne osiągnięcie całkowitego bezpieczeństwa finansowego. Praktyczne zastosowanie tak rozbudowanego systemu *payback* może jednak powodować wiele trudności i jest związane z koniecznością szczegółowego monitorowania udziałów w rynku konkretnych leków. W związku z powyższym istnieje wysokie ryzyko popełnienia błędu na poziomie wyliczania wartości zwrotów, co może prowadzić do nierównego obciążania producentów. W wyniku nadmiernego obciążenia podmiotów odpowiedzialnych może nastąpić konieczność renegeacji umów.

Schemat 10. Wady i zalety umów typu *payback*

Producent	
• prostota • od momentu przekroczenia limitu eliminacja kosztów marketingu • możliwość promocji leków wyłączonych czasowo spod mechanizmu zwrotu (np. innowacyjnych) • możliwość szacowania dla dużych populacji, zwłaszcza w lecnictwie otwartym	• trudność w oszacowaniu kosztów refundacji dla nowych, efektywnych leków • ryzyko błędnego wyliczenia procedury zwrotu w wypadku <i>paybacku</i> na poziomie grupy terapeutycznej czy całego budżetu na refundację, co może prowadzić do nierównego obciążania podmiotów odpowiedzialnych • konieczność ścisłego monitorowania rynku

	
• sztywny limit wydatków na dany lek, grupę terapeutyczną, a nawet sztywny budżet na refundację – utrzymywanie dyscypliny budżetowej • możliwość wydatków związanych ze stosowaniem technologii <i>off-label</i> • prostota	• przy lekach innowacyjnych trudność w precyzyjnym oszacowaniu kosztów • ryzyko nadmiernego obciążenia podmiotów odpowiedzialnych i w konsekwencji konieczność renegotiacji umowy • konieczność szczegółowego badania udziału w rynku konkretnych leków • ograniczenie dostępu do terapii lub ograniczenie wielkości populacji • brak możliwości dokładnego monitorowania przy dużych populacjach rzeczywistej liczby leczonych pacjentów (zależnie od systemu kontroli wskazań w lecznictwie otwartym czy zamkniętym)
Płatnik	

Praktyczne przykłady porozumień typu *payback* funkcjonujących w różnych krajach europejskich przedstawiono w tabeli 5.

Tabela 5. Przykłady porozumień typu *payback*

Parametr/Państwo	Belgia	Francja	Portugalia	Węgry	Włochy
Rok	2002	2002	1997	2003	2002
Poziom	Budżet na leki	Grupa produktów (wskazanie)	Budżet na leki	Pojedynczy produkt i budżet na leki	Budżet na leki
Limit	Szacunkowa wartość	Budżet przegłosowany w Parlamencie	Określony względem wzrostu PKB	Określona kwota (12%)	13% budżetu na ochronę zdrowia
Kwota należności	72% wydatków ponad limit	Okolo 50%	69,90%	100%	-
Współpłacenie	Firmy farmaceutyczne (72%), instytucje ubezpieczeniowe (25%)	Firmy farmaceutyczne (zgodnie z wydatkami)	Firmy farmaceutyczne (zgodnie z udziałem w rynku i wpływem na budżet płatnika)	Firmy farmaceutyczne (na podstawie udziału w rynku)	60% firmy farmaceutyczne, 40% poszczególne regiony

Źródło: Espin J. Analysis of differences and commonalities in pricing and reimbursement systems in Europe, 2007.
PKB – produkt krajowy brutto

2.5.2. Umowy oparte na wynikach zdrowotnych

Wyniki zdrowotne, czyli uzyskiwane efekty kliniczne i związane z nimi korzyści zdrowotne, są oceniane w ramach badań klinicznych w oparciu o ich wiarygodność w ramach systemu *evidence based healthcare*. W ramach analiz ekonomicznych dodatkowo jest oceniana opłacalność technologii medycznych w celu umożliwienia podejmowania pozytywnych decyzji refundacyjnych dla najskuteczniejszych i/lub najbardziej opłacalnych interwencji. Proces oceny oparty o dowody naukowe został sformalizowany w ramach oceny technologii medycznych (*health technology assessment*; HTA) i wpisany w reguły refundacyjne wielu krajów, m.in. Polski^{31,32}. Celem wprowadzenia HTA było zmniejszenie obszaru niepewności związanych z podejmowanymi decyzjami. Jednocześnie konieczne jest

³¹ Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA). <http://www.aotm.gov.pl/www/index.php?id=765>

³² Rozporządzenie Ministra Zdrowia z 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu. <http://isap.sejm.gov.pl/DetailsServlet?id=WDU20120000388>

uświadomienie, że niepewność dostarczanych danych i informacji jest różna dla różnych technologii. Niepewność związana z oceną danej technologii może dotyczyć kwestii bezpieczeństwa, skuteczności, kosztów, opłacalności czy wielkości budżetu potrzebnego na refundację. Jakość oceny technologii medycznej związana jest z charakterem dostępnych danych – metodyką ich uzyskiwania, czasem generowania itp. W przypadku wysokiego ryzyka niepewności uzyskiwanych wyników zwiększa się prawdopodobieństwo podjęcia negatywnej decyzji refundacyjnej przez regulatora/płatnika. Przykładowo, w przypadku niepewności dotyczącej występowania ciężkich działań niepożądanych regulator/płatnik, podejmując decyzję refundacyjną, staje przed ryzykiem utraty pozytywnego wizerunku społecznego. W takiej sytuacji negatywne konsekwencje może przynieść podjęcie każdej decyzji refundacyjnej, zarówno pozytywnej (narażanie pacjentów na występowanie działań niepożądanych), jak i negatywnej (utrudnienie dostępu pacjentom do nowej technologii). Wartość progowa dotycząca akceptowalności ryzyka przez regulatora jest zależna od wielu czynników, przede wszystkim:

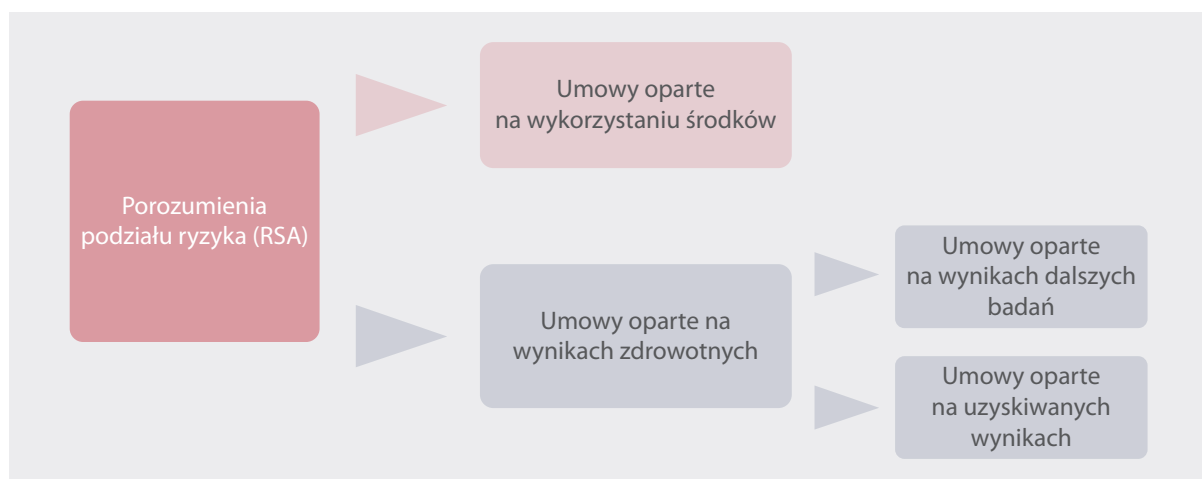
- bieżącej polityki i potrzeb politycznych rządu,
- zarysowanej strategii w polityce zdrowotnej/lekowej państwa,
- bieżącej sytuacji finansowej w ramach środków publicznych,
- podjętych wcześniej decyzji w określonych problemach zdrowotnych,
- wpływu grup interesów lub grup lobbingowych,
- trendów na świecie, dotyczących postępowania z daną technologią (grupą technologii) lub w określonych problemach zdrowotnych,
- możliwości analitycznych instytucji publicznych i umiejętności identyfikowania przez nie problemów,
- wielu innych czynników związanych z sytuacją ekonomiczno-gospodarczą kraju i społeczeństwa, kultury, uwarunkowań historycznych.

W przypadku przekroczenia progowej wartości ryzyka pojawia się wola jego zmniejszenia, czemu może służyć zawarcie RSA pomiędzy płatnikiem a producentem. W sytuacji gdy ryzyko związane jest z niepewnością dotyczącą efektów zdrowotnych generowanych przez ocenianą technologię, do tychże efektów powinny odnosić się warunki porozumienia. Tego rodzaju RSA nazywamy umowami opartymi na wynikach zdrowotnych. RSA oparte na wynikach zdrowotnych pozwalają zmniejszyć ryzyko nie tylko finansowe (budżetowe), lecz także zmniejszyć ryzyka związane z niepewnością oszacowań lub uzyskiwanych danych. W szczególności, przez zawieranie umów opartych na wynikach zdrowotnych, możliwa jest redukcja ryzyka związana z niepewną efektywnością danej technologii i ograniczenie refundacji do zastosowania technologii, która przynosi pożądane korzyści kliniczne.

W zależności od poziomu, na którym dokonywana jest ocena rezultatów terapii, wyróżniamy:

- umowy oparte na wynikach dalszych badań, w których następuje ocena efektów zdrowotnych na poziomie określonej populacji objętej badaniem klinicznym lub rejestrem – **conditional reimbursement**,
- umowy oparte na efektach zdrowotnych, w których oceniane jest uzyskanie określonych rezultatów u pojedynczych pacjentów – **outcome based schemes**.

Schemat 11. Rodzaje umów opartych na wynikach zdrowotnych



2.5.2.1. Umowy oparte na wynikach dalszych badań

Umowy oparte na wynikach dalszych badań (*coverage with evidence development*; CED) stanowią narzędzie systemu warunkowego finansowania. Głównym celem zawierania takich umów jest pobudzenie i wsparcie innowacyjności w medycynie. Umowy tego typu zostały wprowadzone po raz pierwszy w Stanach Zjednoczonych Ameryki Północnej. Do metod podziału ryzyka, które ukierunkowane są na zmniejszenie ryzyka związanego z niepewnością oszacowań, dzięki zgromadzeniu dodatkowych danych w wyniku prowadzenia dalszych badań należą tzw. *Managed Access Schemes* (MAS), a wśród nich: *Coverage with Evidence Development* (CED), *Only in Research* (OIR)³³ oraz *Conditionally Funded Field Evaluation* (CFFE). Metody podziału ryzyka oparte na wynikach dalszych badań bywają też nazywane w języku angielskim *Conditional Coverage and Evidence Development*³⁴ lub *Conditional Coverage with Evidence Development*.

Umowy CED są bezpośrednio związane z ryzykiem niepewności oszacowań dotyczących efektywności i opłacalności stosowania danej technologii medycznej. W wyniku prowadzenia dalszych badań i gromadzenia dodatkowych danych jest możliwa po określonym czasie ponowna weryfikacja zasadności finansowania danego leku i podjęcie kolejnej decyzji refundacyjnej na podstawie szerszego zasobu informacji oraz przy zdecydowanie mniejszej niepewności. Należy zwrócić uwagę, że bez warunkowej refundacji zebranie odpowiednich danych o rzeczywistej efektywności stosowania danego leku, pozwalających na jednoznaczne rozstrzygnięcie w kwestii opłacalności jego stosowania, byłoby utrudnione, a wielu przypadkach wręcz niemożliwe. Z uwagi na swój charakter, umowy typu CED znajdują zastosowanie tylko w przypadku leków innowacyjnych. Istnieje wiele terminów odnoszących się do umów opartych na wynikach dalszych badań:

- Coverage with Evidence Development (CED),
- Conditional Coverage with Evidence Development (CCED),
- Conditionally Founded Field Evaluation (CFFE).

Funkcjonujący w Kanadzie system refundacji warunkowej nosi nazwę *Conditionally Founded Field Evaluation* (CFFE). Cechą charakterystyczną kanadyjskich umów opartych na wynikach dalszych badań jest zbieranie nowych danych dotyczących efektywności warunkowo refundowanej technologii przez instytut naukowy PATH (*Programs for Assessment of Technology in Health*), nie zaś przez podmiot odpowiedzialny. Na podstawie zebranych danych zostaje przeprowadzona aktualizacja opracowanego przed uzyskaniem refundacji raportu oceniającego daną technologię.

³³ bądź *still in research* funkcjonujący we Francji.

³⁴ W chwili obecnej na forum międzynarodowym (w ramach HTA) oraz na płaszczyźnie europejskiej (EUnetHTA) podejmowane są różnego rodzaju inicjatywy, których celem jest unifikacja nomenklatury, współpraca oraz wymiana informacji i doświadczeń w zakresie warunkowego finansowania innowacyjnych technologii medycznych.

Wyniki raportu stanowią podstawę do eliminacji z finansowania publicznego technologii nieefektywnych lub podjęcia decyzji o stałej refundacji, w przypadku leków wykazujących się zadowalającą efektywnością.

Dodatkowe dane na temat efektywności danej interwencji mogą być zbierane w ramach przeprowadzanego badania klinicznego, ale również w oparciu o prowadzony rejestr pacjentów. W związku z tym umowy oparte o wyniki dalszych badań można podzielić na dwa rodzaje ze względu na zobowiązania nakładane przez daną umowę na pacjentów:

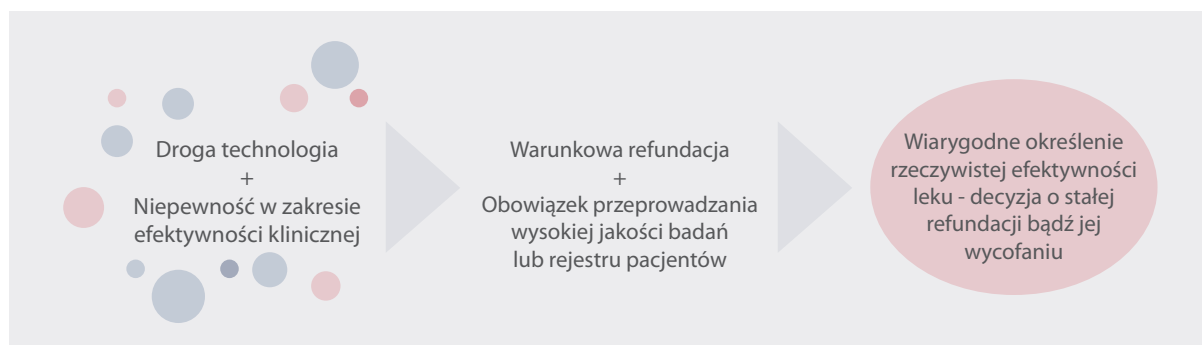
- *Coverage with Appropriateness Determination (CAD)*, w ramach których prowadzony jest rejestr kliniczno-kontrolny, obejmujący wszystkich pacjentów z daną jednostką chorobową (leczonych przy zastosowaniu danego leku i przy użyciu metod opcjonalnych),
- *Coverage with Study Participation (CSP)*, w ramach których leczeni pacjenci uczestniczą w prowadzonym badaniu randomizowanym.

W ramach refundacji warunkowej możliwe jest:

- ograniczenie refundacji wyłącznie do populacji pacjentów biorących udział w badaniu (*only in research*; OIR) lub
- finansowanie terapii wszystkich pacjentów, z których część jest włączana do badania (*only with research*; OWR).

Refundacja warunkowa typu *only in research* jest narzędziem typowym dla Wielkiej Brytanii – stosowanym w przypadku leków innowacyjnych, zwłaszcza w onkologii. W ramach zawarcia tego typu umowy opartej na wynikach dalszych badań producent zobowiązany jest do wykazania efektywności klinicznej i kosztowej nowej technologii w odniesieniu do metod leczenia stosowanych w obecnej praktyce. Dane pozwalające na wiarygodne określenie skuteczności i bezpieczeństwa stosowania warunkowo refundowanego leku powinny pochodzić z zaprojektowanego w tym celu badania klinicznego. Lek stosowany przez pacjentów biorących udział w badaniu finansowany jest przez płatnika, natomiast koszty samego badania może pokrywać płatnik, producent lub obydwie strony zawartej umowy o refundacji warunkowej.

Schemat 12. Schemat warunkowej refundacji typu CED



RSA oparte na wynikach dalszych badań znajdują zastosowanie w przypadku leków innowacyjnych, które charakteryzują się najczęściej bardzo wysokimi kosztami oraz niepewnością związaną z punktami końcowymi, efektywnością rzeczywistą, czasem terapii, rzeczywistą populacją docelową. Pomimo wysokich kosztów leczenia oraz wymienionego szeregu niepewności wprowadzenie danej technologii może być pożądaną z różnych przyczyn:

- dostępne dane kliniczne świadczą o potencjalnie wysokiej efektywności,
- ograniczona liczebność populacji pacjentów z daną jednostką chorobową utrudnia zgromadzenie wystarczająco wiarygodnych danych,
- technologia stosowana jest w jednostce chorobowej zagrażającej życiu pacjentów, zaś jej zastosowanie może prowadzić do wyleczenia/redukcji zagrożenia życia,

- występują wysokie oczekiwania społeczne w zakresie dostępności do danej technologii bądź jakości leczenia określonej jednostki chorobowej.

Warunkowe finansowanie uzyskują głównie nowe technologie medyczne, które dopiero co zostały wprowadzone do obrotu³⁵, bądź te, które od pewnego czasu są w obrocie, ale ich efektywność kliniczna nie została dotychczas dostatecznie zbadana w wiarygodnych badaniach klinicznych. Zawieranie tego typu umów jest korzystne dla producenta, gdyż po pierwsze lek uzyskuje refundację na określony czas (producent uzyskuje przychód ze sprzedaży), po drugie w ramach umowy w niektórych państwach możliwe jest zawarcie porozumienia w zakresie podziału kosztów gromadzenia dodatkowych danych dotyczących budzącej niepewność efektywności leku oraz prowadzenia badań klinicznych. Korzyść płatnika płynąca z zawarcia RSA opartego na wynikach dalszych badań polega na przesunięciu w czasie ostatecznej decyzji refundacyjnej przy jednoczesnym zapewnieniu pacjentom dostępu do nowoczesnych technologii medycznych. Ma to szczególne znaczenie w przypadku jednostek chorobowych charakteryzujących się brakiem opcjonalnych możliwości terapii. Z drugiej strony, zarówno z punktu widzenia płatnika, jak i producenta, umowy oparte na wynikach dalszych badań wydają się być skomplikowane. Warunkowa refundacja bardzo drogiej technologii medycznej, w oderwaniu od potencjalnie wysokich korzyści klinicznych, jakie przynosi jej zastosowanie, związana jest ze znaczącym wpływem na budżet płatnika. Dodatkowym minusem jest konieczność przeprowadzenia powtórnej oceny wniosku refundacyjnego, po zakończeniu okresu warunkowej refundacji. Z punktu widzenia producenta, w przypadku uzyskania tylko warunkowej refundacji, istnieje ryzyko braku pozyskania w wymaganym czasie wystarczających danych o efektywności klinicznej i kosztowej, koniecznych do osiągnięcia bezterminowego finansowania.

Schemat 13. Wady i zalety umów opartych na wynikach dalszych badań

Producent	
- możliwość uzyskania czasowej refundacji dla bardzo drogich, innowacyjnych technologii - możliwość dzielenia z płatnikiem kosztów badań klinicznych IV fazy oraz możliwość dzielenia z płatnikiem kosztów prowadzenia rejestrów pacjentów	- trudność w oszacowaniu kosztów refundacji dla nowych, efektywnych leków - ryzyko błędnego wyliczenia procedury zwrotu w wypadku <i>paybacku</i> na poziomie grupy terapeutycznej czy całego budżetu na refundację, co może prowadzić do nierównego obciążania podmiotów odpowiedzialnych - konieczność ścisłego monitorowania rynku
	
- zapewnienie pacjentom dostępu do innowacyjnych, nowoczesnych technologii, charakteryzujących się potencjalnie wysoką efektywnością (w szczególności ratujących życie pacjentów) - uzupełnienie danych klinicznych, lecz także kosztowych - edukacja klinicystów w zakresie rzeczywistej populacji oraz zakresu zbieranych danych - możliwość finansowania badań ze środków producentów	- skomplikowane procedury - znaczący wydatek w budżecie płatnika w przypadku finansowania badań ze środków publicznych - konieczność posiadania wiedzy z zakresu badań klinicznych i ich oceny - konieczność powtórnej oceny wniosku refundacyjnego po zakończeniu okresu warunkowej refundacji
Płatnik	

Praktyczne przykłady porozumień opartych na wynikach dalszych badań funkcjonujących w różnych krajach przedstawiono w tabeli 6.

³⁵ W uzasadnionych przypadkach dotyczy to technologii jeszcze nie zarejestrowanych, w fazie I-III badań klinicznych.

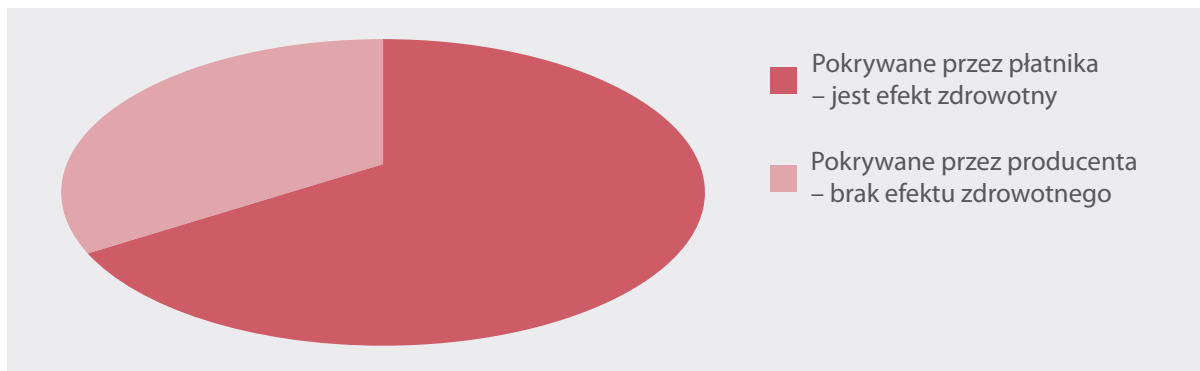
Tabela 6. Przykłady porozumień opartych na wynikach dalszych badań

Kraj	Nazwa RSA	Założenia porozumienia
USA	<i>Coverage with evidence development</i>	Łączy finansowanie terapii i gromadzenie danych prospektywnych, dotyczących efektywności terapii; Medicare aprobuje projekty badań; <i>Off-label use</i> w farmakoterapii raków jelita grubego, implantacja defibrylatorów, FDG-PET w onkologii
Kanada	<i>Conditionally founded field evaluation, Pressure ulcers</i>	Porozumienie obejmuje technologie obiecujące, charakteryzujące się niepewną efektywnością lub opłacalnością. W ramach porozumienia prowadzone są badania IV fazy, rejestry, inne badania obserwacyjne. Zbierane są dane dotyczą kosztu i efektu, do których dostęp mają wszyscy inwestorzy
UK	<i>Coverage with evidence development</i>	Zawarte w 2001 roku porozumienie pomiędzy płatnikiem a firmą Schering-Plough – producentem temozolomidu. W ramach RSA refundacja leku została ograniczona do pacjentów uczestniczących w badaniu
	<i>Only in research</i>	Finansowanie: publiczne, prywatne, mieszane. Rodzaje badań: rejestry, prospektywne badania kohortowe, badania randomizowane. W latach 1997-2009 – 5% rekomendacji typu <i>only in research</i> , np. badanie Avastin vs. Lucentis
Australia	<i>Interim founding</i>	Dotyczy głównie procedur medycznych, które są stosowane bez istnienia dowodów naukowych potwierdzających ich skuteczność i bezpieczeństwo. Zbieranie i przetwarzanie danych dotyczących efektywności procedur jest finansowane z budżetu państwa
	<i>Coverage with evidence development</i>	Actelion Pharmaceuticals – producent leku bosentan – w ramach zawartego w 2004 roku porozumienia zgodził się na połączenie ceny bosentanu z przeżyciem pacjentów włączonych do prowadzonego badania obserwacyjnego
Szwajcaria	<i>Coverage with evidence development</i>	W latach 2001-2007 wydano ponad 30 decyzji o warunkowym finansowaniu, część technologii oceniano w ramach obserwacyjnych badań kliniczno-kontrolnych, część w ramach ogólnoeuropejskiego rejestru, natomiast ocenę jednej przeprowadzono na podstawie wyników randomizowanego badania klinicznego
Dania	<i>Coverage with evidence development</i>	Decyzje o warunkowej refundacji dotyczą m.in. leków sierocych oraz onkologicznych. W oparciu o zebrane dodatkowe dane, po upływie okresu warunkowego finansowania podejmowana jest decyzja o stałym finansowaniu danej technologii bądź zaprzestaniu jej finansowania
Szwecja	<i>Coverage with evidence development</i>	RSA zawarte pomiędzy płatnikiem a producentami leków rosuvastyna i ezetimib (firmami: AstraZeneca AB, Merck Sharp & Dome AB, Schering Plough AB). W ramach porozumienia podmiot odpowiedzialny jest zobowiązany do dostarczenia dodatkowych danych dotyczących zużycia leku w praktyce klinicznej w Szwecji oraz informacji o długoterminowym wpływie terapii na zachorowalność i śmiertelność pacjentów
	<i>Coverage with evidence development</i>	Firma Novartis została zobowiązana w ramach zawartego RSA do dostarczenia dodatkowych danych dotyczących efektywności pimekrolimu
Francja	<i>Coverage with evidence development</i>	RSA zawarte w 2003 roku z firmą Johnson and Johnson dla leku risperidon. Porozumienie polega na wprowadzeniu warunkowej refundacji po wnioskowanej cenie przy konieczności przeprowadzenia przez producenta badań oceniających skuteczność leku pod kątem jego wpływu na pozostawanie pacjentów przy stosowaniu swoich leków. W przypadku braku uzyskania odpowiednich wyników badań producent dokona zwrotu części zysków uzyskanych ze sprzedaży leku

2.5.2.2. Umowy oparte na efektach zdrowotnych

Umowy oparte na uzyskiwanych efektach (*outcome based schemes/performance guarantee*) polegają na uzależnieniu poziomu refundacji od deklarowanej przez producenta efektywności danej technologii medycznej. Efektywność ta jest weryfikowana w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej. W zależności od ustaleń RSA weryfikacja ta następuje na podstawie efektów klinicznych uzyskanych u pojedynczego pacjenta lub na poziomie całej populacji leczonych. Umowy oparte na uzyskiwanych efektach sprowadzają się do zasady „no cure, no pay”. Płatnik ponosi koszty refundacji tylko w przypadku uzyskania deklarowanych efektów (*payment by results*), w przeciwnym wypadku płaci producent. RSA oparte o uzyskiwane efekty mają zastosowanie w sytuacjach, gdy przeprowadzone na podstawie badań klinicznych oszacowanie skuteczności lub poziomu bezpieczeństwa danego leku związane jest ze znaczącą niepewnością. Szczególnie wyraźnym przykładem umowy opartej na efektach zdrowotnych jest stosowana w leczeniu niepłodności metoda „no baby – no pay”. Z uwagi na swój charakter tego typu umowy mają zastosowania wyłącznie do technologii innowacyjnych.

Schemat 14. Schemat umowy opartej na uzyskiwanych efektach



W wyniku przeglądu literatury odnaleziono osiem udokumentowanych przypadków zastosowania płacenia za efekty, zrealizowanych już w latach 90. XX wieku. W Stanach Zjednoczonych w 1994 roku firma Merck-Frosst, posiadająca w swoim portfolio lek finasteryd, stosowany w terapii łagodnego rozrostu gruczołu krokowego, przystąpiła do umowy o podziale ryzyka opartej na wynikach z jednym z amerykańskich płatników i świadczeniodawców usług medycznych. W pierwszym roku funkcjonowania umowy zaproponowanej przez Merck-Frosst przystąpiło do niej 30 szpitali dla weteranów oraz 11 prywatnych ośrodków zdrowotnych. Zapis umowy odnosił się do następujących rejestracyjnych wskazań: łagodzenia objawów, zmniejszenia ryzyka wystąpienia ostrego zatrzymania moczu, zmniejszenia ryzyka konieczności przeprowadzenia leczenia operacyjnego, w tym przezcewkowej resekcji gruczołu krokowego (TURP) i prostatektomii (operacyjne usunięcie gruczołu krokowego). Należy podkreślić, że przed podpisaniem umowy o podziale ryzyka istniały istotne wątpliwości dotyczące efektywności klinicznej leku, wynikające z niewystarczających danych klinicznych, w związku z czym lek nie był dobrze postrzegany na rynku. Dodatkowo firma zaproponowała pokrycie kosztów diagnostyki związanej z oceną zdrowia pacjentów przed terapią lekiem Y oraz po ich leczeniu (*follow-up assesment post-therapy*). Zwrot pieniędzy na rzecz płatnika następował w przypadku braku złagodzenia objawów, które w umowie zostały opisane przy zastosowaniu obiektywnych, mierzalnych wskaźników odpowiedzi klinicznej³⁶.

Z punktu widzenia płatnika zawieranie umów opartych o efekty zdrowotne jest korzystne ze względu na możliwość zapewnienia pacjentom nowoczesnych terapii, przy jednoczesnym zniwelowaniu ryzyka ponoszenia kosztów nieskutecznego leczenia. Taki stan rzeczy z perspektywy płatnika prowadzi do zwiększenia opłacalności finansowania danej technologii medycznej. Ze strony producenta zawarcie umowy opartej o uzyskiwane efekty jest często jedyną możliwością uzyskania refundacji drogich i innowacyjnych technologii, a przez to szansy uzyskania zwrotu z poniesionych inwestycji. W momencie zawierania tego typu RSA producent wykazuje się dużym przekonaniem o skuteczności oferowanej terapii i bierze na siebie ryzyko braku uzyskania odpowiednich wyników w ramach rzeczywistej praktyki klinicznej. W warunkach badań klinicznych zwykle dużo prostsze jest uniknięcie lub zredukowanie błędów lekarskich czy pomyłek stojących po stronie pacjenta, które mają bezpośredni wpływ na uzyskiwane efekty. W związku z powyższym kluczowym aspektem RSA opartego na uzyskiwanych efektach zdrowotnych, zarówno dla płatnika, jak i producenta, jest prawidłowe ustalenie progu pożądanej efektywności. Omawiany rodzaj RSA jest związany z koniecznością prowadzenia bardzo szczegółowego monitorowania prowadzonej terapii, co często generuje bardzo wysokie koszty – najczęściej po stronie producenta. Jednak również ze strony płatnika zawarcie RSA opartego na uzyskiwanych efektach zdrowotnych wiąże się z koniecznością uwzględnienia dodatkowych kosztów administracji i kontroli właściwego funkcjonowania wprowadzanego mechanizmu.

³⁶ Møldrup C. No Cure, no Pay. BMJ, 2005, Vol. 330: 1262-1264.

Schemat 15. Wady i zalety umów opartych na uzyskiwanych efektach zdrowotnych

Producent	
• możliwość uzyskania refundacji dla drogich, innowacyjnych technologii • korzyści w sferze PR, możliwość potwierdzenia razem z płatnikiem skuteczności leczenia • weryfikacja skuteczności rzeczywistej produktu w stosunku do wyników badań klinicznych • usuwanie barier przy wprowadzaniu nowej terapii	• błędnie ustalony próg poszukiwanej efektywności lub niewłaściwie ustalony próg pozytywnej odpowiedzi klinicznej • wysokie koszty monitorowania w przypadku finansowania prowadzenia RSA • możliwe wystąpienie błędów po stronie lekarza i pacjenta, obniżające efektywność kliniczną leku • niedoszacowanie ryzyka związanego ze skutecznością leku (np. związane z charakterystyką pacjentów) • gwarancja zwrotu pieniędzy może być kojarzona z nieskutecznością leku • gwarantowanie skuteczności przy braku wpływu na poprawność wykonywania procedury leczniczej (brak <i>compliance</i>)
	
• zapewnienie pacjentom dostępu do nowoczesnych terapii • brak zagrożenia finansowania nieskutecznych technologii, optymalizowanie zarządzania środkami publicznymi • ocena rzeczywistej skuteczności produktu (<i>effectiveness</i>)	• znaczący, trudny do oszacowania wydatek w budżecie płatnika • błędnie ustalony próg pożądanej efektywności • wysokie koszty monitoringu i administracji • niewłaściwie ustalony próg pozytywnej odpowiedzi klinicznej
Płatnik	

Praktyczne przykłady porozumień opartych na uzyskiwanych efektach funkcjonujących na świecie przedstawiono w tabeli 7.

Tabela 7. Przykład porozumień opartych na uzyskiwanych efektach

Państwo	Lek	Przedmiot umowy	Porozumienie
Stany Zjednoczone	1995	Gwarantowany zwrot pieniędzy w przypadku nieskuteczności (<i>money back guarantee</i>)	Lek A w leczeniu lekoopornej schizofrenii, po niezadowolającej odpowiedzi na co najmniej dwa różne leki przeciwpsychotyczne
Stany Zjednoczone	1998	Zwrot kosztów dla pacjenta i ubezpieczyciela za sześciomiesięczną kurację	W przypadku gdy lek B w połączeniu z dietą nie zmniejszyły stężenia cholesterolu frakcji lipoprotein o małej gęstości (LDL-C)
Stany Zjednoczone	2004	<i>No cure, no pay</i>	Lek C stosowany w ramach akcji „zdrowe ciśnienie krwi”
Dania	2004	<i>No cure, no pay</i>	Schemat wprowadzony niezależnie od programu w Stanach Zjednoczonych. Lek C zastosowany w ramach inicjatywy „140 na 90” związanej z kontrolą ciśnienia tętniczego
Stany Zjednoczone	2004	<i>No cure, no pay</i>	Lek D stosowany w leczeniu dysfunkcji erekcji; pacjenci, którzy nie byli zadowoleni z działania produktu, otrzymywali voucher na wybraną terapię doustną
Dania	2005	<i>Money back guarantee</i>	Guma do żucia dla palaczy (w czterech smakach); jeżeli pacjentowi nie odpowiadał smak, oferowano zwrot pieniędzy
Dania	2005	<i>No cure, no pay</i>	Lek E stosowany przy dysfunkcji wzroku; pacjenci niezadowoleni ze skutków działania otrzymywali zwrot kosztów leku

Państwo	Lek	Przedmiot umowy	Porozumienie
Stany Zjednoczone	2004	<i>No cure, no pay</i>	Lek C stosowany w ramach akcji „zdrowe ciśnienie krwi”
Dania	2004	<i>No cure, no pay</i>	Schemat wprowadzony niezależnie od programu w Stanach Zjednoczonych. Lek C zastosowany w ramach inicjatywy „140 na 90” związanej z kontrolą ciśnienia tętniczego
Dania	2005	<i>No cure, no pay</i>	Lek E stosowany przy dysfunkcji wzroku; pacjenci niezadowoleni ze skutków działania otrzymywali zwrot kosztów leku

NHS – National Health Service

Źródło: Møldrup C. No Cure, no Pay. BMJ, 2005, Vol. 330: 1262-1264.

3. Zastosowanie RSA na świecie

3.1. Zestawienie wykorzystywania RSA na świecie

Najnowszym i najbardziej obszernym źródłem informacji na temat zastosowania RSA na świecie jest publikacja Ferrario 2013³⁷, w ramach której przeprowadzono przegląd dostępnych źródeł danych dotyczących porozumień podziału ryzyka zawieranych w państwach Unii Europejskiej i Norwegii. Dodatkowo informacje zgromadzone w Ferrario 2013 pochodzą ze zrealizowanego internetowego badania ankietowego oraz wywiadów przeprowadzonych ze wszystkimi środowiskami zaangażowanymi w tworzenie i realizację RSA w poszczególnych państwach (decydentów, producentów oraz pacjentów). Odnalezione w ramach przeglądu Ferrario 2013 porozumienia podziału ryzyka zostały sklasyfikowane zgodnie z zaproponowaną w tej pracy typologią przedstawioną w rozdziale 0.

W ramach systematycznego przeglądu literatury opisanego w publikacji Ferrario 2013 odnaleziono 43 pozycje z informacjami na temat zawieranych RSA. W 27 pracach znajdowały się wyłącznie dane dotyczące liczby oraz rodzaju zawieranych porozumień. W 19 źródłach pojawiały się bardziej szczegółowe informacje o charakterze jakościowym i ilościowym. W jednej publikacji odnaleziono wyłącznie dane o charakterze ilościowym. Wyniki przeprowadzonego przeglądu literatury różnią się w niektórych przypadkach od rezultatów zrealizowanego badania ankietowego i wywiadów z poszczególnymi interesariuszami. W przypadku kilku państw, dla których w badaniu uzyskano informację o zastosowaniu RSA, nie odnaleziono opublikowanych danych na ten temat. Z drugiej strony dla niektórych państw odnaleziono publikowane źródła danych, jednak państwa te nie brały udziału w badaniu ankietowym. Dodatkowo brak spójności pomiędzy wynikami badania ankietowego i przeglądu literatury w pewnych przypadkach nie pozwolił na porównanie między sobą wyników uzyskanych za pomocą obu metod. Jednakże dla krajów, w przypadku których takie porównanie było możliwe, nie stwierdzono rozbieżności pomiędzy uzyskanymi rezultatami. Zestawienie wyników przeglądu systematycznego oraz badania ankietowego prezentowanych w publikacji Ferrario 2013 przedstawiono w tabeli 8.

Tabela 8. Porównanie wyników przeglądu literatury z rezultatami badania ankietowego – Ferrario 2013

Państwo	Liczba RSA zidentyfikowanych w ramach przeglądu literatury	Liczba RSA zidentyfikowanych na podstawie badania ankietowego
Belgia	Całkowita liczba RSA: NA System zwrotów (payback) w latach 2002-2006 zastąpiony fundusz świadczeń w 2006 roku	Całkowita liczba RSA: 8
Cypr	0	5
Czechy	0	21
Dania	Całkowita liczba RSA: 2 (oparte na gwarancji uzyskanych wyników zdrowotnych)	0

³⁷ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. London School of Economics and Political Science, 2013.

Państwo	Liczba RSA zidentyfikowanych w ramach przeglądu literatury	Liczba RSA zidentyfikowanych na podstawie badania ankietowego
Anglia i Walia	Całkowita liczba RSA: 43 15 PAS opisanych w wytycznych NICE 13 porozumień lokalnych w tym 4 PAS nie uwzględnionych w wytycznych NICE 11 wytycznych NICE w tym rekomendacji refundacji warunkowej typu „only in research” 2 inne RSA	15 PAS w 18 raportach NICE (niektóre z porozumień dotyczą leków stosowanych w różnych wskazaniach)
Francja	Całkowita liczba RSA: 7 PVA (1), Payback (2), CED (4)	Całkowita liczba RSA: NA Stosowane są PVA, umowy nakładające limit na maksymalny koszt dziennej terapii oraz CED
Niemcy	Całkowita liczba RSA: 15 PVA (3), limit zużycia (1), limit kosztów (1), rabaty (1), gwarancja uzyskanych wyników zdrowotnych (4), programy zarządzania chorobą (5)	NA
Węgry	Całkowita liczba RSA: NA W 2003 roku odnotowano porozumienie typu payback	NA
Włochy	Całkowita liczba RSA: 78 porozumień ze współdziałającymi rejestrami Stosowane są również porozumienia typu PVA	Całkowita liczba RSA: 227 • ograniczenia preskrypcji (32), • rejestry (78) – mogą się ograniczać do zbierania danych, jednak mogą również uwzględniać umowy bazujące na podziale kosztów lub refundacji uzależnionej od uzyskanych wyników zdrowotnych, • plany terapeutyczne (ponad 350 produktów zebranych w 32 kategoriach) • PVA (85)
Litwa	Całkowita liczba RSA: NA Stosowane są porozumienia typu PVA	Całkowita liczba RSA: 35 PVA (26), refundacja uzależniona od uzyskanych wyników zdrowotnych (9)
Malta	NA	1 porozumienie dotyczące limitu stosowanej dawki leku
Holandia	45	39 CED
Polska^{a)}	Zgodnie z danymi prezentowanymi przez NFZ ³⁸ , które odzwierciedlają liczebność realizowanych w praktyce RSA w Polsce – w 2013 r. instrumenty dzielenia ryzyka zostały zawarte dla ok. 280 kodów EAN	
Portugalia	Całkowita liczba RSA: NA Stosowane są porozumienia typu PVA	Całkowita liczba RSA: 84 PVA (74), CED (2), PVA + CED (8)
Szkocja	Całkowita liczba RSA: 14 Rabaty (8), darmowe dawki leku (4), gwarancja uzyskanych wyników zdrowotnych (1), NA (1)	NA
Hiszpania	Całkowita liczba RSA: 2 (gwarancja uzyskanych wyników) Stosowane są również porozumienia typu PVA	NA
Szwecja	18 CED	15 CED

a) brak danych dla Polski w badaniu, liczba RSA określona na podstawie danych NFZ

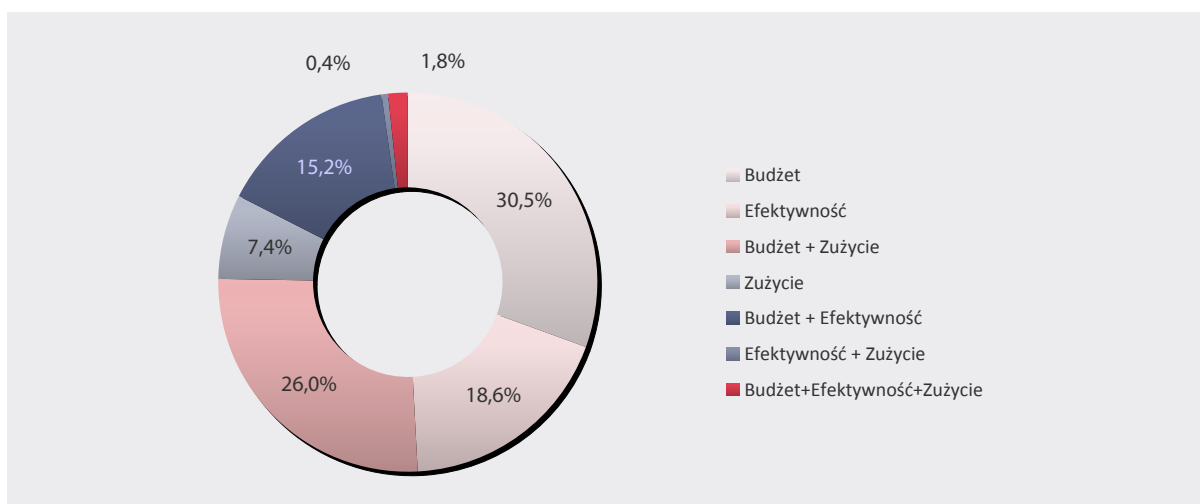
Przeprowadzone w Ferrario 2013 badanie ankietowe pozwala na bardziej szczegółową analizę zastosowania RSA w poszczególnych państwach. Wyniki ankiety wskazują, że różnego rodzaju porozumienia zawierane są głównie w następujących celach:

- ograniczenia wpływu na budżet,
- poprawy efektywności kosztowej,
- ograniczenia zużycia leków,
- zwiększenia dostępu do leków.

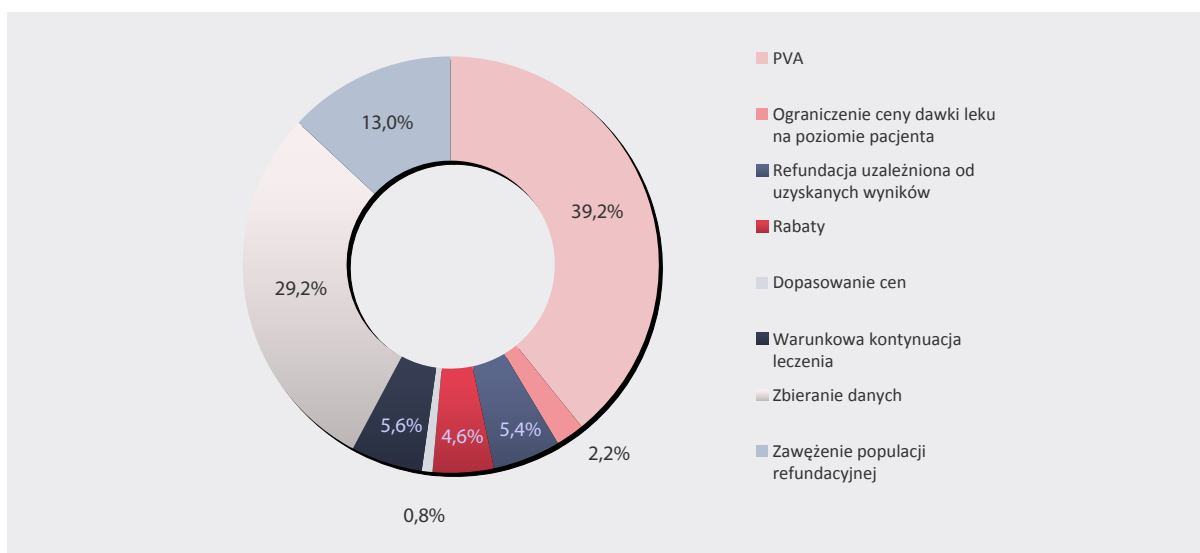
38 Dane Narodowego Funduszu Zdrowia zaprezentowane podczas Międzynarodowej Konferencji Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego ISPOR POLAND 2013, która odbyła się 5 grudnia 2013 r. w Warszawie.

Zgodnie z wynikami badania 73,5% wszystkich porozumień podziału ryzyka w uwzględnionych państwach ma na celu ograniczenie wpływu na budżet płatnika publicznego finansowania nowej technologii. 30,5% porozumień dotyczy wyłącznie wskazanego powyżej celu, podczas gdy 26%, 15,2% oraz 1,8% porozumień cele budżetowe łączy z zamiarem odnoszącym się odpowiednio do zużycia leku, efektywności kosztowej lub obu z tych czynników. Na poziomie poszczególnych państw są widoczne wyraźne trendy w typach zawieranych RSA. W państwach takich jak Portugalia, Litwa, Czechy czy Belgia głównym z realizowanych celów jest ograniczenie wpływu na budżet płatnika. We Włoszech 43% wszystkich zawieranych porozumień odnosi się do celów budżetowych, jednak za główny cel przyświecający zawieraniu RSA w tym kraju można uznać poprawę jakości stosowania leków. W innych państwach takich jak Szwecja, Holandia i Wielka Brytania porozumienia podziału ryzyka podejmowane są głównie z zamiarem zwiększenia efektywności kosztowej danej technologii medycznej.

Schemat 16. Cele zawierania RSA – Ferrario 2013



Schemat 17. Najczęściej występujące elementy RSA – Ferrario 2013



Z kolei najczęściej stosowanymi narzędziami w ramach porozumień podziału ryzyka, zawieranych w państwach objętych badaniem ankietowym opisanym w publikacji Ferrario 2013, są umowy cenowo-wolumenowe, konieczność zbierania danych dotyczących stosowania leku oraz ograniczony dostęp do określonej populacji pacjentów. Porozumienia typu PVA są szeroko stosowane w takich państwach jak Włochy, Portugalia i Litwa, natomiast zbieranie

danych jest najczęstszym wymaganiem we Włoszech, Holandii, Czechach oraz Szwecji. Ponadto we Włoszech, Czechach i Belgii często stosowanym zabiegiem mającym na celu ograniczenie zużycia leku, a więc pośrednio wpływu jego refundacji na budżet płatnika publicznego, jest ograniczenie dostępu do populacji pacjentów spełniających określone kryteria.

W ramach innego systematycznego przeglądu RSA opartych na efektach zdrowotnych³⁹, funkcjonujących w latach 1998-2009, odnaleziono informacje na temat 58 tego typu porozumień:

- 34 umów opartych na wynikach dalszych badań (CED),
- 10 umów opartych na warunkowej kontynuacji leczenia (CTC),
- 14 umów opartych na uzyskiwanych efektach zdrowotnych⁴⁰.

Informacje dotyczące zawieranych CED odnaleziono w publikacjach dotyczących pięciu państw: Szwecji (15 tego typu porozumień), Wielkiej Brytanii (10), Stanów Zjednoczonych Ameryki Północnej (7), Francji (1) i Australii (1). W USA i Wielkiej Brytanii stwierdzono najczęstsze stosowanie umów typu „only in research”. Warunkowa refundacja dotyczyła zarówno pacjentów objętych badaniem klinicznym, jak i odpowiednim rejestrem. W pozostałych państwach stosuje się raczej CED w formule „only with research”, ze szczególnym naciskiem na zbieranie danych dotyczących długoterminowej efektywności klinicznej i kosztowej oraz rzeczywistego zużycia zasobów, jak również wpływu refundacji na aktualną praktykę kliniczną. Większość CED w USA dotyczy stosowanych w medycynie urządzeń, co może być spowodowane mniejszą dostępnością dowodów naukowych dla tego typu technologii medycznych w momencie ich wprowadzania na rynek. W pozostałych państwach umowy oparte na wynikach dalszych badań dotyczyły leków, co prawdopodobnie wiąże się z większą koncentracją w państwach europejskich na finansowaniu ze środków publicznych leków efektywnych kosztowo, niż ma to miejsce w USA.

Tabela 9. Umowy oparte na wynikach dalszych badań (CED) – Carlson 2010⁴¹

Państwo/rok	Produkt	Producent	Założenia
UK, 2000	Taksany	Kilku producentów	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w randomizowanym badaniu klinicznym
USA, 2001	Angioplastyka i stentowanie	Kilku producentów	Refundacja w ściśle określonej populacji docelowej, pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w zaakceptowanym badaniu klinicznym
UK, 2001	Temozolomid	Schering-Plough	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w badaniu klinicznym
UK, 2002	Oksaliplatyna i irinotekan	Sanofi-Aventis and Pfitzer	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w badaniu klinicznym
UK, 2002	Imatynib	Novartis	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w badaniu klinicznym
UK, 2003	Interferon beta lub octan glatirameru	Biogen, Schering, Teva/Aventis, Serono	Leczeni pacjenci pod stałą obserwacją przez okres 10 lat, uzyskiwane efekty kliniczne weryfikowane co 2 lata. Cena leku obniżona do poziomu pozwalającego na uzyskanie opłacalności kosztowej określonej przez wskazaną wysokość współczynnika kosztów-opłacalności
Szwecja, 2003	Insulina glargine	Sanofi-Aventis	Wymagane dane dotyczące efektywności kosztowej zastosowania preparatu wśród pacjentów z cukrzycą typu drugiego
Szwecja, 2003	Orlistat i sibutramina	Roche i Abbott laboratories	Wymagane dane dotyczące aktualnego zużycia leków w Szwecji
Szwecja, 2003	Androgel	Bayer	Wymagane dane dotyczące aktualnego zużycia leków w Szwecji

³⁹ Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.

⁴⁰ Klasyfikacja RSA zgodna z przedstawioną w publikacji źródłowej.

⁴¹ Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.

Państwo/rok	Produkt	Producent	Założenia
UK, 2003	Rytuksymab	Roche	Refundacja w ściśle określonej populacji docelowej pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w badaniu klinicznym
UK, 2003	Terapia fotodynamiczna	Kilku producentów	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w badaniu klinicznym zaprojektowanym w sposób pozwalający na zgromadzenie użytecznych informacji dotyczących efektywności terapii
Szwecja, 2003	Rosuwestyna i ezetymib	AstraZeneca AB, Merck Sharp & Dome AB, Schering Plough AB	Podmiot odpowiedzialny zobowiązany jest do dostarczenia dodatkowych danych dotyczących zużycia leku w praktyce klinicznej w Szwecji oraz informacji o długoterminowym wpływie terapii na zachorowalność i śmiertelność pacjentów
Francja, 2003	Risperidon	Johnson and Johnson	Warunkowa refundacja po wnioskowanej cenie przy konieczności przeprowadzenia przez producenta badań oceniających skuteczność leku pod kątem jego wpływu na pozostawanie pacjentów przy stosowaniu swoich leków. W przypadku braku uzyskania odpowiednich wyników badań producent dokona zwrotu części zysków uzyskanych ze sprzedaży leku
Australia, 2004	Bosentan	Actelion Pharmaceuticals	Producent zgodził się na połączenie ceny bosentanu z przeżyciem pacjentów włączonych do prowadzonego badania obserwacyjnego
USA, 2004	FDG-PET scan	Kilku producentów	Refundacja w ściśle określonej populacji docelowej pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w zaakceptowanym badaniu klinicznym
UK, 2004	Glucophage	Kilku producentów	Z uwagi na niepewność odnośnie efektywności stosowania leku w kontroli glikemii, jego zastosowanie jest ograniczone do badań klinicznych
Szwecja, 2004	Insulina detemir	Novo Nordisk Scandinavia AB	Firma musi dostarczyć dodatkowe dane dotyczące związku pomiędzy liczbą nocnych hipoglikemii oraz jakością życia pacjentów, a także długoterminowej efektywności terapii
Szwecja, 2004	Efalizumab	Roche	Wymagane są dodatkowe dane dotyczące jakości życia pacjentów oraz efektywności stosowania w rzeczywistej praktyce klinicznej
Szwecja, 2004	Risperidon	Johnson and Johnson	Wymagane są dodatkowe dane dotyczące jakości życia pacjentów oraz liczby hospitalizacji w rzeczywistej praktyce klinicznej
USA, 2005	Implant ślimakowy	Kilku producentów	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w zaakceptowanym badaniu klinicznym
USA, 2005	FDG-PET scan	Kilku producentów	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w zaakceptowanym badaniu klinicznym
USA, 2005	Kardiowerter defibrylator	Kilku producentów	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w zaakceptowanym badaniu klinicznym lub rejestrze
USA, 2005	Pooperacyjna chemioradioterapia	Kilku producentów	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w zaakceptowanym badaniu klinicznym
USA, 2005	Oksaliplatyna, irinotekan, cetuksymab, bewacyzumab	Sanofi-Aventis, BMS, Pfizer, Genentech	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w zaakceptowanym badaniu klinicznym
Szwecja, 2005	Pimekrolimus	Novartis	Firma jest zobowiązana do dostarczenia dodatkowych danych dotyczących efektywności
USA, 2006	Domowe leczenie tlenem	Kilku producentów	Refundacja w ściśle określonej populacji docelowej pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w zaakceptowanym badaniu klinicznym finansowanym ze środków państwowych
Szwecja, 2006	Insulina do inhalacji	Pfizer AB	Firma powinna dostarczyć dodatkowe dane potwierdzające efektywność kosztową stosowania insuliny do inhalacji w warunkach szwedzkiej praktyki klinicznej
Szwecja, 2006	Rimonabant	Sanofi Aventis AB	Firma jest zobowiązana do dostarczenia danych o długoterminowej efektywności klinicznej oraz kosztowej w warunkach szwedzkiej praktyki klinicznej

Państwo/rok	Produkt	Producent	Założenia
Szwecja, 2006	Rasagilina	H. Lundbeck AB	Firma powinna dostarczyć dodatkowe dane dotyczące efektywności kosztowej w porównaniu z lekami entakapon i selegilina
Szwecja, 2007	Liofilizat	ALK Sverige AB	Firma jest zobowiązana do dostarczenia dodatkowych danych dotyczących długoterminowej efektywności oraz przeprowadzenia nowej oceny ekonomicznej w oparciu o koszty i efekty medyczne określone na podstawie zastosowania leku w rzeczywistej praktyce klinicznej
Szwecja, 2007	Wareniklina	Pfizer AB	Firma powinna dostarczyć dodatkowe dane dotyczące długoterminowej efektywności leku
Szwecja, 2007	Memantina	H. Lundbeck A/S	Refundacja pod warunkiem uczestnictwa pacjentów w odpowiednio zaprojektowanym badaniu klinicznym
Szwecja, 2007	Czterowalentna szczepionka przeciw HPV	Sanofi Pasteur MSD	Firma jest zobowiązana do dostarczenia dodatkowych danych dotyczących trwających i planowanych badań w celu określenia efektywności kosztowej z długoterminowej perspektywy
Szwecja, 2007	Rotygotyna	Schwarz Pharma	Firma powinna dostarczyć dodatkowe dane dotyczące efektywności leku w codziennej praktyce w Szwecji

Umowy podziału ryzyka typu CTC, polegające na kontynuacji refundacji leczenia z zastosowaniem danej technologii uzależnionej od osiągnięcia określonych umową krótkoterminowych celów terapeutycznych, dają pewność pozostawiania na leczeniu wyłącznie pacjentów odnoszących korzyści terapeutyczne. Informacje o stosowaniu tego typu rozwiązań odnaleziono w publikacjach dotyczących 5 państw (łącznie 10 mechanizmów). W dwóch schematach producent był zobowiązany do całkowitego lub częściowego pokrycia kosztów początkowego okresu leczenia. Warunkiem istnienia możliwości zawierania tego typu umów jest dostępność wiarygodnej miary krótkoterminowej efektywności danej technologii medycznej, akceptowalnej z punktu widzenia obu stron umowy.

Tabela 10. Umowy oparte na warunkowej kontynuacji leczenia (CTC) – Carlson 2010⁴²

Państwo/rok	Produkt	Producent	Założenia
USA, 1997	Środki stymulujące erytropoezę	Amgen, Ortho, Biotech	Płatnik ponosi koszty terapii do czasu osiągnięcia u danego pacjenta poziomu hemoglobiny 20 gramów na decylitr
Australia, 2003	Imatinib	Novartis	Imatinib podlega refundacji warunkowej uzależnionej od oceny krótkoterminowej efektywności leku, sprawdzanej po 18 miesiącach terapii. Refundacja będzie kontynuowana u pacjentów, u których lek wykazał wystarczającą efektywność
Australia, 2004	Adalimumab, etanercept, infliksimab, anakinra	Amgen, Wyeth, Johnson and Johnson	Etanercept podlega refundacji warunkowej opartej na ocenie krótkoterminowej efektywności leku. Refundacja będzie kontynuowana u pacjentów, u których lek okazał się efektywny
Kanada, 2005	Galantamina, donepezil, rywastygrmina	Pfizer, Novartis, Johnson and Johnson	Terapia pacjentów będzie refundowana przez okres pierwszych 3 miesięcy leczenia. Po tym okresie refundacja będzie kontynuowana wyłącznie u pacjentów, u których w trakcie leczenia nie nastąpiła progresja choroby
Australia, 2005	Etanercept, infliksimab	Johnson and Johnson	Leki podlegają czasowej refundacji warunkowej. Refundacja będzie kontynuowana u pacjentów, u których terapia jest efektywna
UK, 2007	Bortezomib	Johnson and Johnson	Producent dokona zwrotu (pieniężnego lub rzeczowego) na rzecz płatnika stanowiącego równowartość kosztów poniesionych na terapię pacjentów, którzy nie uzyskali odpowiedzi na leczenie (miara efektywności (obniżenie o 50% poziomu białka M w surowicy) po czterech cyklach leczenia. Odpowiadający pacjenci otrzymują kolejne cztery cykle terapii

⁴² Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.

Państwo/rok	Produkt	Producent	Założenia
Włochy, 2007	Leki stosowane w chorobie Alzheimera	Kilku producentów	W ciągu 3 miesięcy u pacjentów rozpoczynających farmakoterapię pod kątem choroby Alzheimera oceniana jest krótkoterminowa efektywność leczenia. Koszty leków w tym czasie pokrywa producent. Jeżeli po 3 miesiącach zostanie osiągnięty określony cel terapeutyczny, terapia jest kontynuowana przez okres maksymalnie 2 lat, a koszty leku pokrywane są przez płatnika publicznego
Włochy, 2007	Sunitynib i sorafenib	Pfizer, Bayer	W trakcie pierwszych 2-3 miesięcy terapii stosowany jest rabat szpitalny o wysokości 50%. W przypadku pacjentów odpowiadających na leczenie następuje refundacja terapii, a rabat przestaje obowiązywać
UK, 2009	Bortezomib	Johnson and Johnson	Producent dokona zwrotu (pieniężnego lub rzeczowego) na rzecz płatnika, stanowiącego równowartość kosztów poniesionych na terapię pacjentów, którzy nie uzyskali odpowiedzi na leczenie (miara efektywności: obniżenie o 50% poziomu białka M w surowicy) po czterech cyklach leczenia. Odpowiadający pacjenci otrzymują kolejne cztery cykle terapii
Włochy, 2009	Nilotinib	Novartis	Producent pokrywa koszty terapii nilotinibem u każdego pacjenta, u którego nie zostanie osiągnięty ustalony poziom odpowiedzi hematologicznej po 1 miesiącu leczenia

Stosowanie umów opartych na uzyskiwanych efektach zdrowotnych stwierdzono w pięciu państwach. Łącznie odnaleziono informacje dotyczące 14 zawartych porozumień podziału ryzyka, z których 6 pochodziło z Wielkiej Brytanii, 4 z USA, 2 z Niemiec oraz po jednym z Australii i Włoch. Zgodnie z wynikami przeszukania można stwierdzić, że umowy oparte na uzyskiwanych efektach zdrowotnych najczęściej stosowane są w odniesieniu do leków. Tylko jedna z odnalezionych umów dotyczyła technologii nielekowej. Narzędziami stosowanymi w konsekwencji niespełnienia określonych wymogów dotyczących uzyskiwanych efektów zdrowotnych są najczęściej rabaty lub zwroty pieniężne ponoszone przez producenta na rzecz płatnika.

Tabela 11. Umowy oparte na uzyskiwanych efektach zdrowotnych – Carlson 2010⁴³

Państwo/rok	Produkt	Producent	Założenia
USA, 1998	Symwastatyna	Merck	Producent pokrywa koszty maksymalnie 6 miesięcy terapii, jeżeli stosowanie symwastatyny w połączeniu z dietą nie będzie wiązało się z obniżeniem cholesterolu LDL u pacjentów do poziomu wskazanego przez lekarza prowadzącego terapię
UK, 2000	Statyny	Park Davis (Pfizer)	Producent zgadza się na obniżkę ceny leku na rzecz płatnika, jeżeli w wyniku stosowania statyn w zdefiniowanej populacji docelowej nie zostanie osiągnięty niski poziom cholesterolu LDL (< 3 mmol/l)
UK, 2003	Interferon beta lub octan glatirameru	Biogen, Schering, Teva/Aventis, Serono	Leczeni pacjenci pod stałą obserwacją przez okres 10 lat, uzyskiwane efekty kliniczne weryfikowane co 2 lata. Cena leku obniżona do poziomu pozwalającego na uzyskanie opłacalności kosztowej określonej przez wskazaną wysokość współczynnika kosztów-opłacalności
Australia, 2004	Bosentan	Actelion Pharmaceuticals	Cena bosentanu uzależniona od przeżycia pacjentów objętych badaniem obserwacyjnym
UK, 2007	Bortezomib	Johnson and Johnson	Producent dokona zwrotu (pieniężnego lub rzeczowego) na rzecz płatnika stanowiącego równowartość kosztów poniesionych na terapię pacjentów, którzy nie uzyskali odpowiedzi na leczenie (miara efektywności: obniżenie o 50% poziomu białka M w surowicy) po czterech cyklach leczenia. Odpowiadający pacjenci otrzymują kolejne cztery cykle terapii

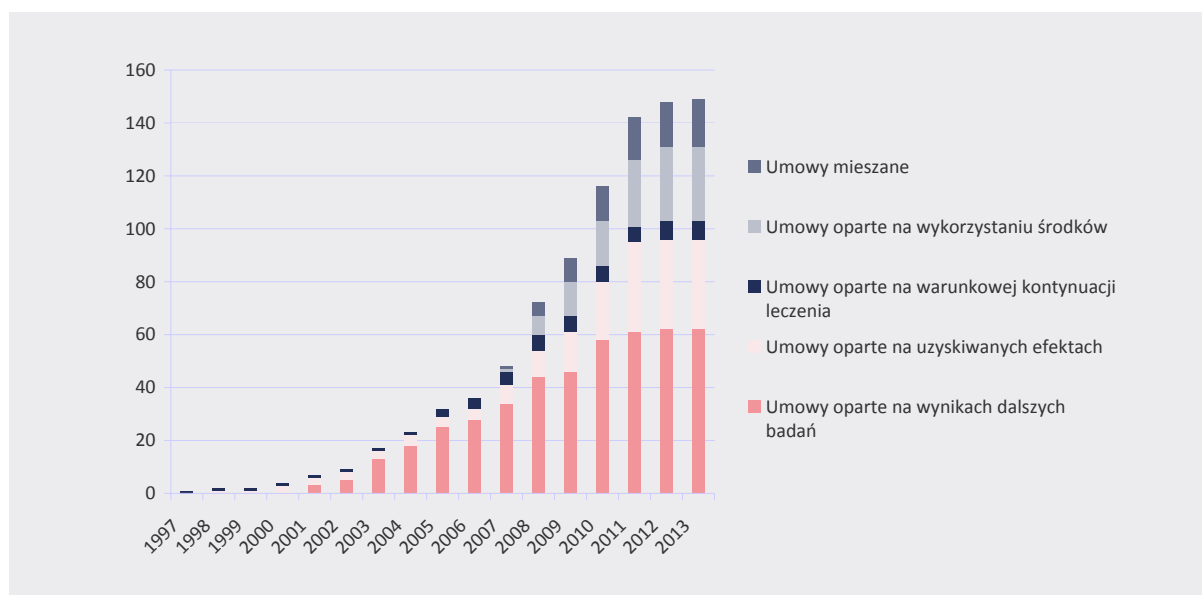
⁴³ Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.

Państwo/rok	Produkt	Producent	Założenia
USA, 2007	OncotypeDx	Genomic Health	Refundacja w okresie 18 miesięcy, w trakcie których następuje monitorowanie efektów leczenia zarówno ze strony płatnika, jak i producenta. Jeżeli liczba kobiet otrzymujących chemioterapię przekracza ustalony próg, płatnik będzie negocjował obniżenie ceny leku
Niemcy, 2007	Kwas zoledronowy	Novartis	Producent pokryje koszty leku dla każdego pacjenta, który doświadczy złamania w ciągu 1 roku od rozpoczęcia leczenia z zastosowaniem kwasu zoledronowego. W zamian za to płatnik zgadza się na leczenie pacjentów z zastosowaniem tego leku, zapewniając producentowi odpowiedni udział w rynku
UK, 2007	Omalizumab	Novartis	Producent oferuje szpitalom zamienny produkt dla odpowiednio zdiagnozowanych pacjentów, którzy nie osiągają docelowej odpowiedzi klinicznej
Niemcy, 2008	Sandimmun optoral, Myfortic lub Certican	Novartis	Producent zobowiązuje się do zwrotu kosztów cyklosporyny, kwasu mykofenolowego lub ewerolimusu w przypadku utraty przeszczepionej nerki
UK, 2008	Cetuksymab	Merck	Rabat za fiołki leku zastosowane u pacjentów, u których nie osiągnięto ustalonej wcześniej odpowiedzi klinicznej po maksymalnym okresie 6 tygodni (przy zastosowaniu maksymalnie 3200 mg leku)
UK, 2008	Bortezomib	Johnson and Johnson	Producent dokona zwrotu (pieniężnego lub rzeczowego) na rzecz płatnika stanowiącego równowartość kosztów poniesionych na terapię pacjentów, którzy nie uzyskali odpowiedzi na leczenie (miara efektywności: obniżenie o 50% poziomu białka M w surowicy) po czterech cyklach leczenia. Odpowiadający pacjenci otrzymują kolejne cztery cykle terapii
USA, 2009	Sitagliptyna sitagliptyna + metformina	Merck	Koszt ponoszony za terapię lekami objętymi porozumieniem uzależniony jest od poziomu kontroli cukru we krwi osiągniętego przez pacjentów
USA, 2009	Ryzedronian sodu	Proctor & Gamble, Sanofi-Aventis	Producenci zgodzili się pokryć koszty złamań związanych z leczeniem
Włochy, 2009	Nilotinib	Novartis	Producent pokrywa koszty terapii nilotinibem u każdego pacjenta, u którego nie zostanie osiągnięty ustalony poziom odpowiedzi hematologicznej po 1 miesiącu leczenia

W aktualizacji przeglądu RSA, którego wyniki przedstawiono powyżej, dokonano przeszukania dostępnych źródeł danych na temat zawieranych w latach 1993-2013 porozumień podziału ryzyka.⁴⁴ Podobnie jak wcześniej, skupiono się na mechanizmach opartych na wynikach zdrowotnych. W ramach przeszukania odnaleziono informacje dotyczące 148 RSA, które sklasyfikowano zgodnie z taksonomią zaproponowaną we wcześniejszej pracy⁴⁵. Większość porozumień stanowiły umowy oparte na wynikach dalszych badań (65). Dwadzieścia z odnalezionych RSA związanych było z mechanizmem warunkowej kontynuacji leczenia, 54 porozumienia to umowy oparte na uzyskiwanych efektach zdrowotnych, natomiast 42 RSA zawierało elementy umów opartych na wykorzystaniu środków. Rodzaj stosowanego RSA dostosowywany był za każdym razem do podstawowego źródła niepewności występującej w momencie wchodzenia danej technologii medycznej na rynek. W ciągu analizowanych 20 lat stwierdzono spójny pomiędzy państwami trend do zawierania umów podziału ryzyka, minimalizujących ciężar administracyjny związany z ich zawarciem i funkcjonowaniem. Większość spośród RSA pochodzi z lat 2007-2011. W ostatnich latach zaobserwowano mniejszy przyrost popularności stosowania RSA, niemniej jednak wciąż liczba zawieranych na świecie porozumień wzrasta. Na podstawie odnalezionych danych trudno jednak jednoznacznie wnioskować na temat trendów. Najpewniej informacje dotyczące wielu zawartych porozumień podziału ryzyka nie zostały odnalezione z uwagi na ich poufność lub różnego rodzaju bariery dostępu, również językowe.

⁴⁴ Carlson J, Gries K, Yeung K. Current Status and Trends in Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Between Healthcare Payers and Medical Product Manufacturers. *Applied Health Economics and Health Policy*, 2014.

⁴⁵ Carlson J, Sullivan D, Garrison L. Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. *Health Policy*, 2010.

Wykres 6. Umowy podziału ryzyka zawierane w latach 1993-2013 – Carlson 2014⁴⁶

Klasyfikacja RSA zgodna z zastosowaną w publikacji źródłowej. Z uwagi na jakość wykresu zawartego w publikacji źródłowej, przedstawiony wykres może zawierać pewne niedokładności

3.2. Zastosowanie RSA na przykładzie wybranych państw

W tym rozdziale przedstawiono RSA zawierane w konkretnych państwach, w kontekście funkcjonujących w rzeczywistości systemów ochrony zdrowia. Konieczność zachowania formalnego charakteru zawieranych pomiędzy płatnikiem a producentem porozumień podziału ryzyka sprawia, iż decydującą rolę w zawieraniu i wdrażaniu RSA odgrywają zasady, a wraz z nimi procesy obowiązujące w danym systemie. W związku z tym nie sposób poznać szczegółów funkcjonowania RSA, cech poszczególnych rozwiązań oraz barier związanych z ich wprowadzaniem w oderwaniu od koniecznego do przejścia procesu oceny, uzgadniania oraz wprowadzania tego rodzaju porozumień. Z uwagi na to w dalszej części raportu poddano analizie podstawy prawne oraz przebieg procesu zawierania RSA w wybranych państwach, a także przedstawiono najczęściej stosowane tam porozumienia. Do analizy wybrano Włochy, jako państwo, dla którego uzyskano informacje o największej liczbie zawartych RSA, oraz Wielką Brytanię, dla której dostępnych jest najwięcej opublikowanych informacji, szczegółowo opisujących zasady zawierania RSA, jak również funkcjonujące porozumienia.

3.2.1. Wielka Brytania

3.2.1.1. Podstawy prawne i przebieg procesu zawierania RSA

W Anglii i Walii organem odpowiedzialnym za ocenę klinicznej i kosztowej efektywności różnego rodzaju technologii medycznych jest National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE). NICE może zostać poproszony o ocenę technologii medycznej z wielu powodów, na przykład w sytuacjach, kiedy jej dostępność różni się w poszczególnych regionach. Ograniczenia w dostępności do technologii medycznej mogą być spowodowane lokalnymi preferencjami dotyczącymi preskrypcji, polityką refundacyjną lub niepewnością co do efektywności interwencji. Po przeprowadzeniu przeglądu dostępnych danych dotyczących klinicznej i kosztowej efektywności NICE wydaje rekomendację na temat stosowania danej technologii. Możliwe jest wydanie przez NICE następujących rekomendacji:

⁴⁶ Carlson J, Gries K, Yeung K. Current Status and Trends in Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Between Healthcare Payers and Medical Product Manufacturers. Applied Health Economics and Health Policy, 2014.

1. technologia rekomendowana do stosowania,
2. technologia rekomendowana do stosowania w zawężonej populacji pacjentów,
3. technologia rekomendowana do stosowania wyłącznie w ramach badań klinicznych,
4. technologia nierekomendowana⁴⁷.

National Health Service (NHS) w Anglii jest od 2002 roku prawnie zobowiązany do finansowania technologii medycznych rekomendowanych do stosowania przez NICE⁴⁸. W 2009 roku przyjęty został *Pharmaceutical Price Regulation Scheme* (PPRS), regulujący system kontroli cen leków, który wprowadził tzw. *Patient Access Schemes* (PAS)⁴⁹. Stanowią one swego rodzaju porozumienia podziału ryzyka pomiędzy płatnikiem a producentem, które mają na celu poprawę efektywności kosztowej interwencji poddawanej ocenie przez NICE. W pierwszej kolejności PAS musi zostać poddany ocenie przez NICE, a jego zawarcie wymaga pozytywnej rekomendacji do stosowania w zawężonej populacji pacjentów, a więc co najmniej drugiej kategorii spośród wylistowanych powyżej. W 2009 roku w ramach PPRS wprowadzone zostało pojęcie oraz zasady opracowywania i wdrażania PAS. Przed 2009 rokiem zawarto kilka umów, które można zakwalifikować jako porozumienia podziału ryzyka, niemniej nie istniały ramy prawne pozwalające na ich regulację i wdrażanie. Po wprowadzeniu PPRS brytyjski Departament Zdrowia (DH) zlecił NICE utworzenie jednostki odpowiedzialnej za doradztwo w zakresie propozycji PAS składanych przez producentów (*Patient Access Scheme Liaison Unit*; PASLU). PASLU sprawdza wniosek złożony przez producenta pod kątem jego zgodności z funkcjonującym systemem zdrowotnym i stanowi organ doradczy dla producentów rozważających zaproponowanie PAS. PAS są oceniane przez Panel Ekspertów na planowanych co miesiąc spotkaniach. Wnioski są rozpatrywane na posiedzeniu Panelu minimum 8 tygodni po ich otrzymaniu przez PASLU. PASLU przedstawia swoje stanowisko Departamentowi Zdrowia w ciągu 4 tygodni od spotkania Panelu Ekspertów.

Proces tworzenia PAS został przedstawiony na schemacie 18. Jak wynika ze schematu, PAS musi być zawsze poprzedzone propozycją producenta leku (brak zastosowania PAS do technologii nielekowych)⁵⁰.

Głównym celem zawieranych dotychczas PAS było umożliwienie dostępu pacjentów do leków, które w przypadku braku wprowadzenia takiego rozwiązania mogłyby nie uzyskać pozytywnej rekomendacji NICE – ze względu na niską efektywność kosztową lub kliniczną albo niepewność związaną z kosztami terapii (na przykład w razie braku ścisłego określenia czasu leczenia). PAS z reguły nie są nastawione na generowanie dodatkowych dowodów służących lepszemu określeniu efektywności czy kosztów terapii. Przyczyną rzadkiego zbierania danych innych niż normalnie wytwarzane w systemie są trudności związane z funkcjonowaniem tego typu umów, zwłaszcza z punktu widzenia personelu medycznego (tworzenie dodatkowej dokumentacji na potrzeby PAS)⁵¹.

Poza inicjowaniem procesu zawierania umów podziału ryzyka ocenianych przez NICE firmy farmaceutyczne mają możliwość zawierania takich porozumień z lokalnymi oddziałami NHS niezależnie od rekomendacji wydawanych przez NICE. Tego typu porozumienia mogą funkcjonować, jeśli tylko nie są one sprzeczne z PPRS. W Wielkiej Brytanii odnotowuje się istnienie umów podziału ryzyka zawieranych dla leków, które nie były oceniane lub uzyskały negatywną rekomendację NICE. Przykładowo erlotynib w leczeniu podtrzymującym zaawansowanego lub przerzutowego niedrobnokomórkowego raka płuc został odrzucony przez NICE z powodu za wysokiej efektywności kosztowej⁵², jednak lek ten jest dostępny lokalnie dzięki odpowiednim porozumieniom pomiędzy płatnikiem (NHS Devon) a producentem⁵³. Decyzje refundacyjne dotyczące leków, które nie zostały poddane ocenie przez NICE,

⁴⁷ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

⁴⁸ Exploring the impact of NICE technology appraisals. <https://www.nice.org.uk/proxy/?sourceurl=http://www.nice.org.uk/newsroom/features/exploringtheimpactofnicetechnologyappraisals.jsp>

⁴⁹ Aktualnie obowiązuje Pharmaceutical Price Regulation Scheme 2014 przyjęty w grudniu 2013 r.

⁵⁰ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

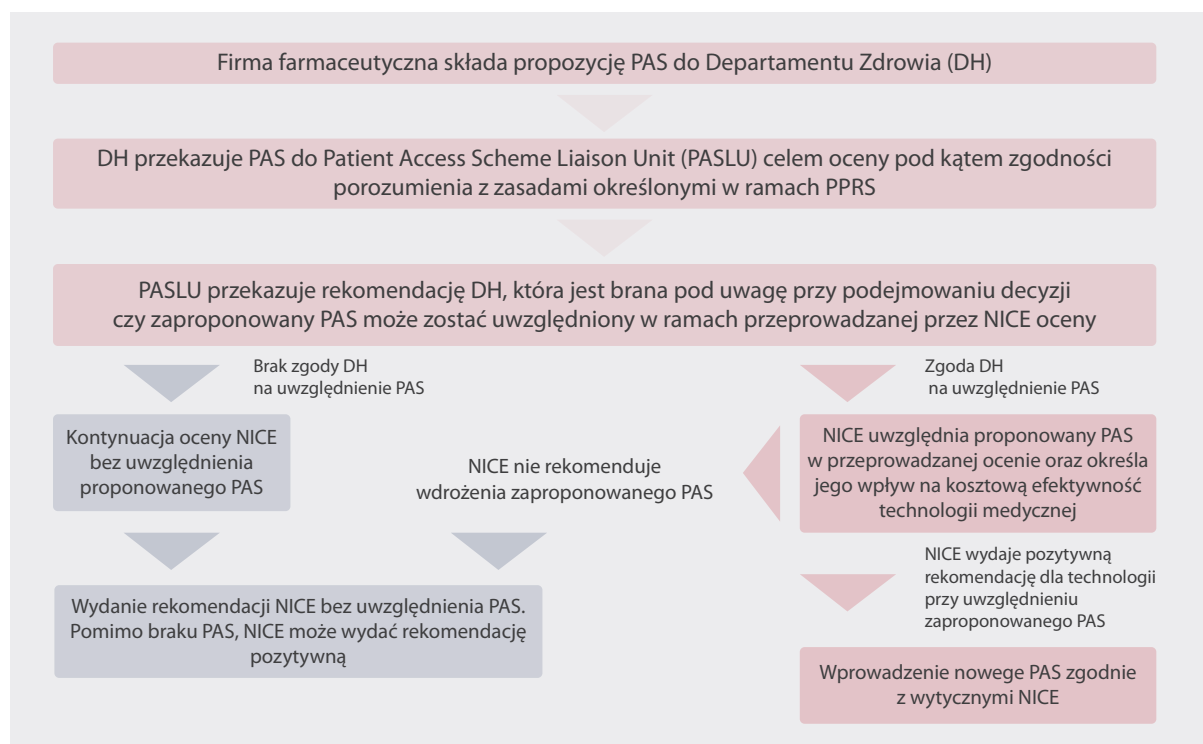
⁵¹ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

⁵² National Institute for Health and Clinical Excellence, NICE. 2011. Erlotinib monotherapy for maintenance treatment of non-small-cell lung cancer. In NICE technology appraisal guidance 227.

⁵³ NHS Devon. 2011. Risk Sharing Schemes (RSS) and Patient Access Schemes (PAS).

podejmowane są na szczeblu lokalnych oddziałów NHS. Przykładem leku dostępnego lokalnie dla pacjentów, który nie był przedmiotem oceny NICE, jest degareliks, stosowany w leczeniu zaawansowanego hormonozależnego raka gruczołu krokowego. Regionalna umowa pomiędzy NHS Devon a producentem leku degareliks jest 5-letnim porozumieniem, mającym na celu usunięcie barier finansowych w dostępie to tego leku w ramach podstawowej opieki zdrowotnej przez wprowadzenie rabatu w wysokości 30%. W wyniku zastosowania tego poziomu obniżki koszt terapii z zastosowaniem leku degareliks stał się zbliżony do finansowanych interwencji opcjonalnych. Rabat rozliczany jest przez dokonywanie zwrotu przez producenta na rzecz jednostek podstawowej opieki zdrowotnej⁵⁴.

Schemat 18. Proces tworzenia PAS



Za Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013 na podstawie Bowden, H. 2011. Patient Access Schemes. Presentation at the EU meeting on MEAs in Rome (14.11.2011)

Jedną z możliwości, jaką dysponuje NICE przy ocenie technologii medycznych, jest wydanie rekomendacji do stosowania jej wyłącznie w ramach badań klinicznych (*only in research*; OIR), gdzie samo badanie może być finansowane zarówno przez płatnika, jak i przez podmiot odpowiedzialny⁵⁵. Nie jest jednoznacznie dookreślone, czy finansowanie leku na podstawie tego typu rekomendacji powinno się kwalifikować jako rodzaj porozumienia podziału ryzyka. Wydaje się jednak, że taka forma refundacji może zostać skategoryzowana jako forma umowy opartej na wynikach dalszych badań (CED). Jeżeli jednak wymagalibyśmy formalnego zaistnienia porozumienia w ramach CED w przypadku rekomendacji OIR – takowe porozumienie nie ma miejsca. Istnieją jednak przykłady leków, których refundacja została rozszerzona po wydaniu pozytywnej rekomendacji NICE wynikającej z dostępności dodatkowych danych zebranych w ramach refundacji leku OIR. Przykładowo w 2000 roku docetaksel został zarekomendowany przez NICE do stosowania wyłącznie w ramach badań klinicznych w terapii adjuwantowej kobiet chorujących na raka piersi. W 2006 roku, po złożeniu przez producenta docetakselu dodatkowych danych klinicznych, świadczących o klinicznej i kosztowej efektywności tego leku, uzyskał on pozytywną rekomendację NICE⁵⁶.

⁵⁴ NHS Devon. 2011. Risk Sharing Schemes (RSS) and Patient Access Schemes (PAS).

⁵⁵ Chalkidou K, Hoy A, Littlejohns P. Making a decision to wait for more evidence: when the National Institute for Health and Clinical Excellence recommends a technology only in the context of research, JRS, 2007.

⁵⁶ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

Celem PAS w Anglii jest sprostanie niepewności związanej z kliniczną i kosztową efektywnością leków oraz polepszenie dostępu pacjentów do technologii kosztowo efektywnych. Istnieją obawy dotyczące nadmiernego obciążenia administracyjnego dla NHS w związku z zawieraniem PAS. W związku z tym nacisk się kładzie na wprowadzanie schematów finansowych opartych przede wszystkim o rabaty lub limity zużycia, bez konieczności dodatkowego monitorowania uzyskiwanych efektów zdrowotnych, co ma miejsce w przypadku bardziej skomplikowanych porozumień. PPRS umożliwia zawieranie umów opartych na wynikach zdrowotnych, jednak takowe porozumienia rozważane są w wyjątkowych okolicznościach. Przykładowym PAS, w którym uwzględniono ocenę efektów terapii, może być bortezomib w leczeniu szpiczaka mnogiego⁵⁷.

W przypadku bortezomibu występowała niepewność co do danych o efektywności, a jednocześnie z powodu niezaspokojonych potrzeb tej populacji i poszukiwania możliwości stworzenia dostępu pacjentów do terapii zaproponowano PAS. Zasadny wydawał się podział ryzyka związanego z niepewnością dotyczącą efektywności rzeczywistej leku pomiędzy NHS a producentem. Gwarancja zwrotu pieniędzy zależała od odpowiedzi pacjenta. Producent zobowiązany został do monitorowania i zbierania danych dotyczących funkcjonowania PAS.

Problemy:

- Trudności ze spełnianiem przez niektórych pracowników służby zdrowia wszystkich wymagań, pozwalających na dokonanie zwrotu za pacjentów bez odpowiedzi (z powodu znaczącego stopnia skomplikowania kwestionariuszy).
- Relatywnie długi czas potrzebny do osiągnięcia efektywnego poziomu monitorowania i implementacji PAS dla bortezomibu.
- Obawy związane z administracją i monitorowaniem prawidłowej realizacji porozumienia. Zaangażowanie farmaceutów w zarządzenie.
- Koszty administracji PAS w dużym stopniu zmniejszają wartość samego porozumienia.

Ze względu na wskazane doświadczenia związane z PAS m.in. dla bortezomibu (szczegóły dotyczące PAS dla bortezomibu zostały opisane w podrozdziale 3.2.1.2) jako jednego z pierwszych outcome based schemes w UK wskazano na istotne problemy związane z implementacją złożonych umów podziału ryzyka. Istotnym elementem zawierania PAS jest poszukiwanie i wdrażanie względnie prostych zasad ich funkcjonowania, którymi administrowanie nie będzie przysparzać zbyt wiele dodatkowej pracy i nie okaże się nadmiernym dodatkowym problemem, także dla personelu szpitala.

Są trzy możliwości zaproponowania PAS przez producenta. Chcąc zaproponować PAS, w pierwszej kolejności producent musi uzyskać zgodę Departamentu Zdrowia (DH), zanim jego propozycja zostanie przedstawiona PASLU w NICE. W ciągu około 12 tygodni PASLU przekazuje rekomendację do DH, w której określa, czy zaproponowane rozwiązanie jest wykonalne z punktu widzenia NHS. W zależności od etapu oceny danej technologii, na którym zostanie zaproponowany PAS, jego wprowadzenie związane jest z określonymi konsekwencjami:

- zaproponowanie PAS przed rozpoczęciem oceny przez NICE pokazuje dobrą wolę ze strony producenta, zwiększając prawdopodobieństwo uzyskania pozytywnej rekomendacji, przez co umożliwia przyspieszony dostęp pacjentów do leku; jednakże w przypadku początkowo negatywnej rekomendacji NICE producent musi liczyć się z koniecznością zaproponowania dalszej obniżki ceny;
- zaproponowanie PAS w odpowiedzi na tzw. appraisal consultation document oznacza, że producent jest skłonny wprowadzić PAS przy udziale komisji oceniającej NICE; jednakże takie postępowanie opóźnia proces oceny technologii, nie ma również gwarancji uzyskania pozytywnej rekomendacji w konsekwencji zawarcia PAS;

⁵⁷ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

- zaproponowanie PAS po dokonaniu ostatecznej oceny przez NICE pozwala producentowi na uzależnienie swojego postępowania od rodzaju uzyskanej rekomendacji; jeśli wstępna ocena była pozytywna, to w proponowanym PAS producent może rozszerzyć wskazania danego produktu i dostępność dla pacjentów; jeżeli jednak decyzja była negatywna, wprowadzenie leku do refundacji opóźni się do czasu wypracowania przez producenta rozwiązania pozwalającego na uzyskanie przez lek kosztowej efektywności⁵⁸.

Schemat 19. Etapy oceny NICE, na których istnieje możliwość zaproponowania PAS przez producenta



Źródło: Spoors J. Patient access schemes in the new NHS. British Journal of Healthcare Management, 2012.

3

3.2.1.2. Najczęściej stosowane RSA

W latach 2000-2011 zidentyfikowano w Wielkiej Brytanii 29 zawartych umów podziału ryzyka, z czego ponad połowę stanowiły porozumienia dotyczące leków onkologicznych. W 13 umowach można było odnaleźć elementy typowe dla porozumień opartych na wykorzystaniu środków, 10 spełniało cechy umów opartych na wynikach dalszych badań, natomiast w kolejnych 10 umowach występowały komponenty typowe dla porozumień opartych na uzyskiwanych efektach zdrowotnych. W związku z powyższym zauważyć można, iż część z zawieranych RSA stanowiły umowy mieszane, łączące różnego rodzaju mechanizmy podziału ryzyka. Ponadto na przykładzie Wielkiej Brytanii można zaobserwować trend odchodzenia od bardziej skomplikowanych porozumień na rzecz prostych umów, opartych na wykorzystaniu środków. Odzwierciedla to fakt, iż ostatnie 17 PAS polegało na wprowadzeniu zwyczajnych poufnych rabatów. Rabatowe PAS pozwalają na zabezpieczenie potrzeb płatnika w zakresie ograniczenia wydatków na refundację oraz podniesienie kosztowej efektywności finansowanej interwencji. Z punktu widzenia producenta tego typu narzędzia umożliwiają szybkie wprowadzenie leku na rynek. Jednakże rozwiązania polegające wyłącznie na wprowadzaniu obniżek nie zapewniają stosowania i finansowania technologii u pacjentów, którzy odnoszą faktyczne korzyści terapeutyczne. W szczególności rabatowe PAS nie odnoszą się do niepewnej efektywności leków lub procedur medycznych, jak również nie skłaniają producentów do zwiększania rzeczywistej skuteczności oferowanych preparatów. Złotym środkiem wydają się być porozumienia, które wykorzystują istniejące narzędzia systemowe, uwzględniając przy tym szczególnie istotne przesłanki kliniczne. Przykładem takiego rozwiązania może być zawarta w Wielkiej Brytanii umowa dla gefitynibu w leczeniu pacjentów z miejscowo zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca. W ramach tej umowy gefitynib jest dostarczany po stałej cenie wynoszącej 12 200 £ na pacjenta, niezależnie od długości terapii. Jednakże faktyczny koszt terapii jest ponoszony przez płatnika dopiero w momencie, gdy dany pacjent przebywać będzie na leczeniu gefitynibem co najmniej 3 miesiące. W przypadku pacjentów leczonych krócej, koszty ponosi producent. Czas trwania terapii mierzony użytą ilością preparatu staje się na potrzeby zawartego porozumienia miernikiem skuteczności leczenia. Zawarcie tego

⁵⁸ Spoors J. Patient access schemes in the new NHS. British Journal of Healthcare Management, 2012.

typu umowy podziału ryzyka gwarantuje płatnikowi z jednej strony utrzymanie stałych kosztów terapii, natomiast z drugiej finansowanie terapii wyłącznie u pacjentów z minimalną korzyścią kliniczną.⁵⁹

Pierwszym RSA w Wielkiej Brytanii była zawarta w 2002 roku umowa podziału ryzyka w leczeniu stwardnienia rozsianego. Umowę tą zawarto po wydaniu przez NICE negatywnej rekomendacji dla interferonu beta oraz octanu glatirameru. W opublikowanym przez NICE dokumencie zawierała się ponadto rekomendacja, mająca skłonić producentów oraz brytyjski DH do wypracowania wspólnego rozwiązania, które pozwoliłoby na objęcie wspomnianych leków finansowaniem w ramach NHS, jednak przy zachowaniu odpowiednich granic efektywności kosztowej. Zawarty w 2002 roku MSRSS (multiple sclerosis risk sharing scheme) jest umową pomiędzy DH a czterema producentami leków modyfikujących przebieg choroby dla stwardnienia rozsianego (Schering-Plough, Serono, Teva i Biogen). W ramach zawartego porozumienia firmy farmaceutyczne obniżyły ceny swoich preparatów w sposób pozwalający na uzyskanie kosztowej efektywności na podstawie wyników modelu ekonomicznego stosowanego przy pierwotnej ocenie NICE. Na potrzeby MSRSS przyjęto stosunkowo wysoki próg opłacalności na poziomie 35 000 £. Dodatkowo w ramach zawartego porozumienia planowano zebranie danych dotyczących występowania progresji choroby dla około 10 000 pacjentów. W ten sposób zebrane dane miały pozwolić na weryfikację czy korzyści zdrowotne, na których uzyskiwanie wskazywały wyniki badań klinicznych, uzyskiwane są w rzeczywistej praktyce. Dane te miały być co 3 lata poddawane analizie, w której brano pod uwagę punkty końcowe uwzględnione w ramach ocenianej analizy ekonomicznej. Jeżeli zaobserwowana efektywność była niższa od oczekiwanej, ceny leków były dostosowywane do uzyskania kosztowej efektywności, przy uwzględnieniu danych rzeczywistych. W takim przypadku producent zobowiązywał się do obniżenia rzeczywistej ceny leku do wartości, której uwzględnienie w ramach analizy ekonomicznej wraz z rzeczywistymi danymi o efektywności klinicznej doprowadzi do uzyskania opłacalności. Zgodnie z zawartym porozumieniem, proces zbierania danych i ich analizy miał być prowadzony przez niezależny akademicki zespół badaczy. Rolę administratora MSRSS posiada MS Trust⁶⁰ – brytyjska organizacja charytatywna działająca na rzecz pacjentów ze stwardnieniem rozsianym. Organizacja ta nadzoruje działanie zespołu badaczy oraz proces zbierania i analizy danych na potrzeby RSA, a także zarządza finansowaniem tegoż instrumentu. Dane z dwuletniego okresu funkcjonowania MSRSS wykazały szereg problemów związanych z przyjętą metodologią RSA oraz niepewnością związaną ze statystycznymi założeniami. Po dwóch latach niezależny zespół badaczy, nadzorujący proces zbierania danych w ramach MSRSS, we współpracy z innymi ekspertami dokonał pewnych usprawnień w zasadach funkcjonowania omawianego instrumentu. Została stworzona i zastosowana nowa baza danych dotyczących naturalnego przebiegu choroby oraz opracowano nowy model Markova⁶¹. Obecnie analizowane są dane z okresu 6-letniego funkcjonowania MSRSS przy zastosowaniu nowej metodologii. Pierwsze wyniki zostały opublikowane na początku 2015 r.⁶² Jednocześnie wciąż zbierane są nowe dane w ramach tego RSA.

Opisany powyżej MSRSS nie stanowił umowy typu PAS, gdyż w 2002 roku nie istniała jeszcze odpowiednia podstawa prawna do zawierania tego rodzaju umów. Jeden z pierwszych formalnych PAS ocenianych przez NICE dotyczył bortezomibu w leczeniu szpiczaka mnogiego (rok 2007). W przypadku bortezomibu istniało przekonanie, wyrażane przez największą w Wielkiej Brytanii organizację charytatywną poświęconą problemowi leczenia szpiczaka mnogiego (Myeloma UK), iż lek przyniesie korzyści kliniczne pacjentom. Wiadomo było jednak, że dane dotyczące efektywności bortezomibu są niepewne (głównie ze względu na sposób zaprojektowania głównego badania klinicznego jako cross-over i przedłożonego do oceny) i mogą okazać się niewystarczające do pełnej oceny klinicznej przez NICE⁶³. Z uwagi na niepewność dotyczącą efektywności rzeczywistej leku, najlepszym rozwiązaniem był podział związanego z nią ryzyka pomiędzy NHS a producentem. Uzgodniony z udziałem organizacji Myeloma UK podział ryzyka polegał zasadniczo na gwarancji zwrotu pieniędzy w zależności od typu odpowiedzi pacjenta. Jeżeli pacjen-

⁵⁹ Carlson J, Gries K, Yeung K. Current Status and Trends in Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Between Healthcare Payers and Medical Product Manufacturers. *Applied Health Economics and Health Policy*, 2014.

⁶⁰ <http://www.mstrust.org.uk/research/risksharingscheme/>

⁶¹ Palace J M. UK multiple sclerosis risk-sharing scheme: a new natural history dataset and an improved Markov model. *BMJ Open* 2014;4:e004073.

⁶² Palace J. et al., Effectiveness and cost-effectiveness of interferon beta and glatiramer acetate in the UK Multiple Sclerosis Risk Sharing Scheme at 6 years: a clinical cohort study with natural history comparator, *The Lancet Neurology*, Volume 14, No. 5, p. 497–505, May 2015

⁶³ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. *The London School of Economics and Political Science*, 2013.

ci nie uzyskiwali przynajmniej częściowej odpowiedzi (co najmniej 25-procentowej redukcji białka M w surowicy), leczenie było przerywane i producent zwracał na rzecz NHS koszty leku. Jeżeli pacjenci uzyskali odpowiedź częściową po czterech cyklach terapii, leczenie było kontynuowane do maksymalnie 8 cykli, a całkowity koszt terapii pokrywał NHS⁶⁴. Biorąc pod uwagę oczekiwaną efektywność leku, producent spodziewał się, że w wyniku wprowadzenia proponowanej umowy podziału ryzyka rzeczywisty koszt leczenia bortezomibem będzie niższy z perspektywy NHS o co najmniej 15%. W praktyce klinicznej liczba pacjentów osiągających częściową odpowiedź po bortezomibie była o wiele wyższa niż prognozowano na podstawie danych klinicznych. Prawdopodobnie powodem tego zjawiska było stosowanie bortezomibu w praktyce klinicznej w kombinacji z innymi lekami (deksametazon, cyklofosfamid), czego nie robiono w badaniach. Dodatkowe leki, przy swojej niskiej cenie, zwiększały odsetek pacjentów uzyskujących odpowiedź z około 30% do 60%.

W ramach zawartej umowy dla bortezomibu to producent zobowiązany był do monitorowania i zbierania danych dotyczących funkcjonowania PAS. Początkowo występowały trudności z wypełnianiem przez niektórych pracowników personelu medycznego wszystkich wymagań pozwalających na dokonanie zwrotu kosztów za pacjentów bez odpowiedzi (z powodu długości i znaczącego stopnia skomplikowania kwestionariuszy). Funkcjonowanie umowy podziału ryzyka dla bortezomibu wzbudziło obawy dotyczące biurokracji związanej z administracją i monitorowaniem prawidłowej jego realizacji. Największą trudnością było zaangażowanie farmaceutów w zarządzanie porozumieniem, podczas gdy nie byli oni bezpośrednio związani z leczeniem pacjentów i oceną uzyskania przez nich odpowiedzi na leczenie. Trudnością w ramach PAS dla bortezomibu było również śledzenie przebiegu leczenia pacjentów oraz zapewnienie przerwania leczenia po stwierdzeniu braku uzyskania odpowiedzi⁶⁵. PAS dla bortezomibu, zgodnie z przedstawioną w raporcie z 2009 roku oceną na podstawie badania ankietowego przeprowadzonego wśród farmaceutów, przez nikogo nie został oceniony jako dobry. 60% respondentów biorących udział w tym badaniu oceniło PAS dla bortezomibu jako zły lub bardzo zły, 40 jako przeciętny⁶⁶. Głównym powodem negatywnej oceny tego PAS były trudności związane z jego administracją. Rozbudowana administracja PAS przekłada się na zwiększenie kosztów jego implementacji. Osiągnięcie efektywnego poziomu monitorowania i implementacji PAS dla bortezomibu wymagało relatywnie długiego czasu.

Jest jasne, że gdy koszty administracji PAS w dużym stopniu zmniejszają wartość samego porozumienia, rozwiązanie to nie jest odpowiednie do utrzymania w przyszłości. W związku z powyższym, najbardziej pożądane jest zawieranie PAS o prostych zasadach funkcjonowania, których administracja nie będzie przysparzać zbyt wiele dodatkowej pracy i nie będzie problemem z punktu widzenia szpitala pod względem zarządzania i jego kosztami. Wprowadzenie najprostszych rozwiązań nie zawsze jest jednak możliwe z przyczyn formalnych i często ich zastosowanie wymagałoby zmian systemowych. W praktyce oznacza to, że prostsze do wprowadzenia są paradoksalnie rozwiązania bardziej skomplikowane.

W odniesieniu do PAS dla bortezomibu, pomimo trudności związanych z jego funkcjonowaniem należy stwierdzić, że wprowadzenie tego porozumienia umożliwiło uzyskanie pozytywnej rekomendacji NICE, uwarunkowanej koniecznością gromadzenia dodatkowych danych, a przez to dało szerszy dostęp do tego leku pacjentom ze szpiczakiem mnogim. Bez podziału ryzyka związanego z niepewnością co do skuteczności leku, bortezomib nie spełniałby kryteriów NICE dotyczących efektywności kosztowej. Ponadto PAS umożliwił producentowi leku wprowadzenie rabatów bez zmian oficjalnych cen widniejących na wykazach oraz zwiększenie w ten sposób opłacalności stosowanej terapii⁶⁷. Koszt uzyskania dodatkowego QALY w wyniku zastosowania bortezomibu (bez zastosowania PAS) wynosił 33,5 tys. funtów i wiązał się z wysokim ryzykiem niepewności oszacowań. Po uwzględnieniu zasad proponowanego przez producenta PAS wykazano spadek ICER do wartości 30,8 tys. funtów, przy 71% prawdopodobieństwie opłacalności stosowania bortezomibu (dla progu opłacalności 35 tys. funtów). Obniżona wartość kosztu uzyskania dodatkowego QALY w wyniku uwzględnienia założeń wynikających z PAS została zaakceptowana przez NICE⁶⁸.

⁶⁴ NICE, Summary of VELCADE® Response Scheme.

⁶⁵ Williamson S. A Report into the Uptake of Patient Access Schemes in the NHS. British Oncology Pharmacy Association. London, 2009.

⁶⁶ Williamson S. A Report into the Uptake of Patient Access Schemes in the NHS. British Oncology Pharmacy Association. London, 2009.

⁶⁷ Spoors J. Patient access schemes in the new NHS. British Journal of Healthcare Management, 2012.

⁶⁸ NICE, Summary of VELCADE® Response Scheme.

W tabeli 12 zostały zestawione leki, dla których zaproponowane PAS uzyskały pozytywną rekomendację NICE.

Tabela 12. Przykłady leków, dla których zaproponowane PAS uzyskały pozytywną rekomendację NICE

Cząsteczka (Nazwa handlowa)	Wskazanie	Warunki porozumienia
Abatacept (Orencia®)	Reumatoidalne zapalenie stawów po niepowodzeniu terapii konwencjonalnymi lekami modyfikującymi przebieg choroby	Producent zapewni obniżkę ceny abataceptu uzgodnioną w ramach PAS. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną. Producent jest zobowiązany do przekazywania szczegółów związanych z oferowanymi obniżkami odpowiednim organizacjom NHS
Abiraterone (Zytiga®)	Oporny na kastrację, przerzutowy rak gruczołu krokowego leczony wcześniej z zastosowaniem docetakselu	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Afatinib (Goltrif®)	Lokalnie zaawansowany lub przerzutowy niedrobnokomórkowy rak płuc z mutacją receptora nabłonkowego czynnika wzrostu	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Aflibercept (Eylea®)	Postać mokra zwyrodnienia plamki żółtej związanego z wiekiem	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Aflibercept (Eylea®)	Zaburzenia widzenia spowodowane obrzękiem plamki wtórnym do naczyń żylnych siatkówki	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Aflibercept (Zaltrap®)	Przerzutowy rak jelita grubego, po progresji na uprzedniej chemioterapii opartej na oksaliplatynie	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Amifampridine (Firdapse®)	Leczenie objawowe zespołu Lamberta-Eatona	Koszt leczenia pojedynczego pacjenta w ciągu roku, objętego proponowanym PAS, zostanie zlimitowany do maksymalnej wysokości równej co do wartości kosztowi 14 opakowań leku. W przypadku zużycia 14 opakowań leku przed upływem 12 miesięcy kolejne opakowania dostarczane są pacjentowi za darmo, do czasu zakończenia roku terapii. Tylko pacjenci zarejestrowani będą mogli czerpać korzyści wynikające z zawartego PAS. Pacjenci powinni zostać zarejestrowani w rejestrze Healthcare at Home, w ramach którego będzie się odbywać administracja porozumienia oraz monitorowanie terapii pojedynczych pacjentów
Azacitidine (Vidaza®)	Syndrom mielodysplastyczny, przewlekła białaczka szpikowa, ostra białaczka szpikowa	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Bortezomib (Velcade®)	Nawrotowy szpiczak mnogi	PAS jest przewidziany wyłącznie dla pacjentów leczonych bortezomibem po pierwszym nawrocie choroby. Jeżeli pacjent po 4 cyklach leczenia nie uzyska częściowej lub całkowitej odpowiedzi, schemat pozwala na refundację maksymalnie 16 fiolek leku po 3,5 mg. Producent zwraca na rzecz NHS całkowity koszt leczenia pacjentów, którzy nie uzyskali odpowiedniej odpowiedzi na leczenie. U pacjentów z wystarczającą odpowiedzią po 4 cyklach leczenia terapia jest kontynuowana na koszt NHS. Wszelkie roszczenia muszą zostać zrealizowane w ciągu 60 dni od określenia niezadowolającej odpowiedzi przez ich zgłoszenie w ramach specjalnego formularza. Dopuszczalne są zwroty rzeczowe w formie not kredytowych lub pełnego zwrotu środków pieniężnych
Bosutinib (Bosulif®)	Wcześniej leczona przewlekła białaczka szpikowa	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną

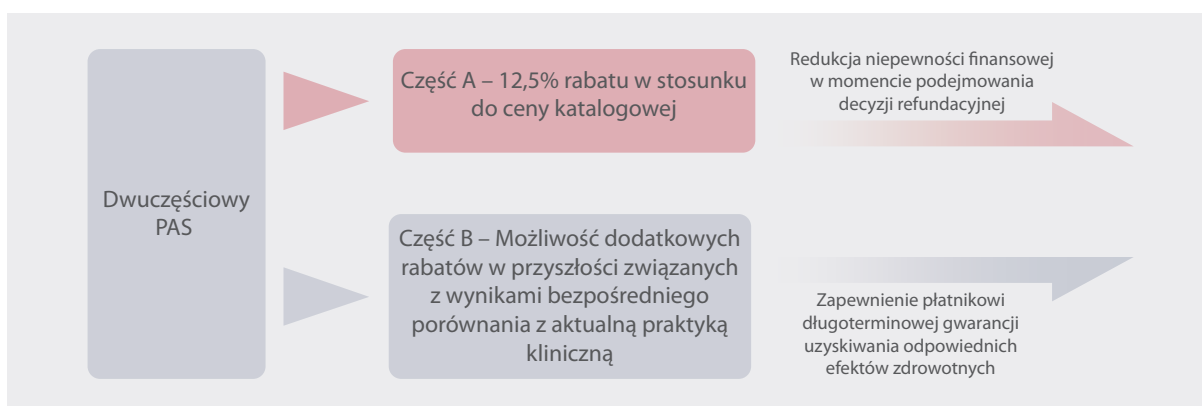
Cząsteczka (Nazwa handlowa)	Wskazanie	Warunki porozumienia
Certolizumab pegol (Cimzia®)	Reumatoidalne zapalenie stawów	Producent pokrywa koszty 12 pierwszych tygodni leczenia każdego pacjenta rozpoczynającego leczenie w ramach proponowanego PAS, co stanowi równowartość 10 strzykawek leku. Lek dostarczany jest przez uzgodnioną firmę zajmującą się opieką domową. Jeżeli lek okaże się nieskuteczny po darmowym początkowym okresie terapii, pacjent przerywa leczenie bez żadnych dodatkowych obciążeń producenta
Cetuximab (Erbix®)	Pierwsza linia leczenia przerzutowego raka jelita grubego	Proponowany PAS dopuszcza 16% rabat dla dostawców leku na każdego pacjenta stosującego cetuximab zgodnie z zaleceniami NICE (w kombinacji z FOLFOX). Każdy pacjent oraz dostawca leku musi znaleźć się w odpowiednich rejestrach. Dostawcy zobowiązani są do przeprowadzania miesięcznych podsumowań zużycia leku i wnioskowania do producenta o zwrot 16% fiolek preparatu zużytych w danym okresie. Istnieje opcja dokonywania zwrotów przez producenta w formie not kredytowych lub środków pieniężnych. Jeżeli przy wyznaczaniu 16% zużycia uzyskany wynik nie daje pełnych fiolek, zwrot nalicza się do najbliższej całkowitej liczby fiolek
Colistimethate sodium DPI (Colobreathe®)	Infekcja płuc pałeczką ropy błękitnej w mukowiscydozie	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Crizotinib (Xalkori®)	Kolejna linia leczenia niedrobnokomórkowego raka płuc związanego z genem fuzyjnym kinazy chłoniaka anaplastycznego	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Degarelix (Firmagon®)	Zaawansowany hormonozależny rak gruczołu krokowego	W ramach PAS producent proponuje 30% rabat na lek wypłacany na rzecz ośrodków podstawowej opieki zdrowotnej, wyliczany na podstawie ponoszonych wydatków. Ideą PAS jest zlikwidowanie barier w dostępie do leku, występujących w ramach podstawowej opieki zdrowotnej. PAS będzie realizowany na podstawie umów z ośrodkami, które będą występować z wnioskami o dokonanie zwrotu na ich rzecz przez producenta co 3, 6 lub 12 miesięcy
Denosumab (Xgeva®)	Zapobieganie zdarzeniom kostnym u dorosłych z przerzutami do kości	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Eltrombopag (Revolade®)	Przewlekła immunologiczna (idiopatyczna) plamica	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Enzalutamide (Xtandi®)	Przerzutowy nawrotowy rak gruczołu krokowego, leczony wcześniej z zastosowaniem docetakselu	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Erlotinib (Tarceva®)	Pierwsza linia leczenia lokalnie zaawansowanego lub przerzutowego niedrobnokomórkowego raka płuc z mutacją EGFR-TK	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną
Fingolimod (Gilenya®)	Ustępująco-nawracająca postać stwardnienia rozsianego o dużej aktywności	Producent w ramach PAS zobowiązuje się do pokrycia kosztów pierwszego miesiąca terapii
Fluocinolone acetonide intravitreal implant (Iluvien®)	Przewlekły cukrzycowy obrzęk plamki żółtej po niewystarczającej odpowiedzi	Producent w ramach PAS zgadza się na obniżenie ceny leku. Wielkość oferowanego rabatu pozostaje informacją poufną

Źródło: strona internetowa NICE

Z biegiem czasu PAS zaczęły odgrywać istotną rolę i stały się niemal stałym elementem oceny technologii medycznych w Wielkiej Brytanii. W miarę wzrostu popularności kluczowe stało się uwzględnienie w ramach PAS dwóch podstawowych elementów: poufności oraz dążenia do zmniejszenia niepewności oszacowań wyników. Jedną z kluczowych zasad funkcjonowania PAS jest dopuszczalne przez NICE zachowanie poufności proponowanych przez producenta obniżek cen. Firmy farmaceutyczne nie pozwalają przede wszystkim swoim konkurentom na wgląd w wysokość rabatów proponowanych płatnikom publicznym⁶⁹.

Szczególnym przypadkiem umowy pomiędzy płatnikiem a producentem był dwuczęściowy PAS zaproponowany przez GlaxoSmithKline (GSK) w odniesieniu do pazopanibu, stosowanego w leczeniu nowotworu nerek. Część A zaproponowanego schematu stanowi czystą obniżkę ceny leku, co odpowiada aktualnym trendom zawieranych PAS. Natomiast część B odnosi się do braku wystarczającego zakresu danych klinicznych w momencie oceny przez NICE. W tej części producent zobowiązuje się do zapewnienia pewnego rodzaju gwarancji finansowych w przypadku, gdy lek nie okaże się odpowiednio skuteczny w realizowanym badaniu klinicznym⁷⁰.

Schemat 20. Schemat PAS dla pazopanibu w leczeniu nowotworu komórek nerkowych



Źródło: Spoors J. Patient access schemes in the new NHS. British Journal of Healthcare Management, 2012

Niewątpliwą zaletą zaproponowania PAS przez GSK było umożliwienie dzięki niemu przeprowadzenia oceny NICE przy zastosowaniu przyspieszonej procedury. Między innymi ze względu na takie możliwości w związku z proponowaniem przez producenta w trakcie oceny danej technologii różnego rodzaju rozwiązań, mających na celu podział pomiędzy nim a płatnikiem publicznym ryzyka związanego z rozważanym rozpoczęciem refundacji, PAS stały się jednym z elementów strategii refundacyjnej firm farmaceutycznych.⁷¹

3.2.2. Włochy

3.2.2.1. Podstawy prawne i zawierane RSA

Ceny leków refundowanych przez Narodową Służbę Zdrowia (*Servizio Sanitario Nazionale, SSN*) są ustalane w drodze negocjacji prowadzonych pomiędzy Włoską Agencją Leków (*Agenzia Italiana del Farmaco; AIFA*) oraz firmami farmaceutycznymi, zgodnie z ustawą nr 326 z dnia 24 listopada 2003 roku i ustawą Interministerialnego Komitetu Planowania Ekonomicznego (*Comitato Interministeriale per la Programmazione Economia; CIPE*) z dnia 1 lutego 2001 roku. Celem powyższych kroków legislacyjnych jest regulacja czasowej redefinicji marż oraz ustalenie nowej pozytywnej listy refundacyjnej na bazie kosztów i efektywności, przy zapewnieniu całkowitej zgodności z kryteriami Regulacji Cen Farmaceutycznych⁷².

⁶⁹ Spoors J. Patient access schemes in the new NHS. British Journal of Healthcare Management, 2012.

⁷⁰ Spoors J. Patient access schemes in the new NHS. British Journal of Healthcare Management, 2012.

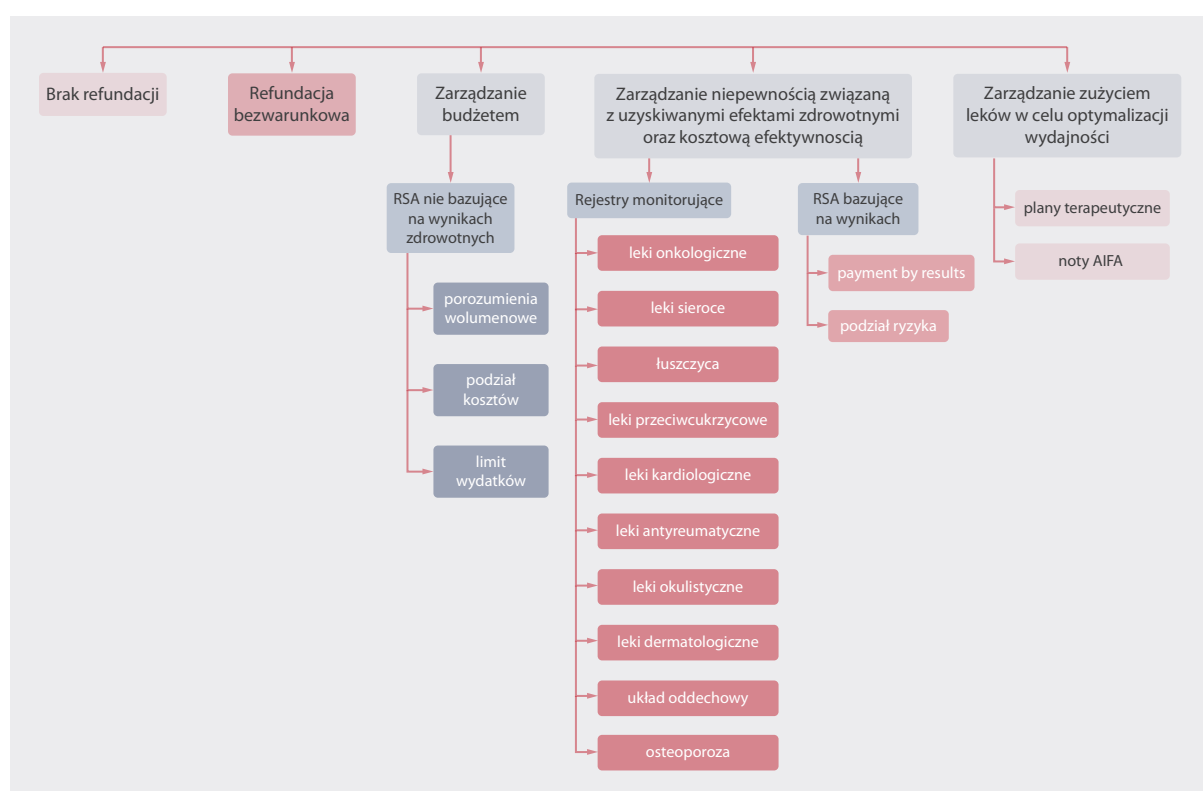
⁷¹ Spoors J. Patient access schemes in the new NHS. British Journal of Healthcare Management, 2012.

⁷² AIFA. Wycena i refundacja. <http://www.agenziafarmaco.gov.it/en/content/pricing-and-reimbursement> (13.08.2014).

Ocena ekonomiczna produktów jest przeprowadzana przez Wydział Refundacji Cen i Marketingu, wspomagany przez bazy danych dotyczące konsumpcji i wydatków farmaceutycznych prowadzone przez OsMED (*Osservatorio Nazionale sull'impiego dei Medicinali*) – Centrum Monitorowania Użytkowania Leków. Ocena jest przeprowadzana dla Komitetu Cen i Refundacji (*Comitato Prezzi e Rimborso*), wchodzącego w skład AIFA, składającego się z ekspertów posiadających wiedzę oraz ekspertyzy w różnych dziedzinach; ocena dotyczy aplikacji składanych przez producentów w celu uzyskania refundacji produktu leczniczego⁷³.

Zawieranie umów podziału ryzyka nie jest we Włoszech uwarunkowane prawnie; umowy te są częścią procedury negocjacji cen i refundacji leków⁷⁴. We Włoszech są dostępne następujące progi refundacyjne: brak refundacji, refundacja bezwarunkowa oraz refundacja w ramach RSA. W obrębie RSA są dostępne różne rodzaje instrumentów, które służą do kontroli nad budżetem, kwestiami niepewności oszacowań – zarówno pod względem klinicznym, jak i ekonomicznym – czy choćby rzeczywistą użycia leków⁷⁵.

Schemat 21. Stopnie refundacji we Włoszech



RSA we Włoszech są nastawione głównie na identyfikację wartości nowych produktów leczniczych oraz grup pacjentów, w których leki te są najbardziej efektywne, jak również na podział kosztów tego procesu z producentami. W szczególności w przypadku leków onkologicznych w wielu wypadkach efektywność nowych terapii nie jest przewidywalna, a satysfakcjonująca odpowiedź kliniczna osiągana jest przez ograniczoną liczbę pacjentów przy jednoczesnych bardzo wysokich kosztach leczenia. Z tego względu SSN szuka porozumień z producentami, na podstawie których część kosztów oceny leków w praktyce klinicznej przenoszona jest na ich producentów.

⁷³ AIFA. Wycena i refundacja. <http://www.agenziafarmaco.gov.it/en/content/pricing-and-reimbursement> (13.08.2014).

⁷⁴ Espin J, Rovira J, Garcia L. Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011. Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 2012, 8:198.

⁷⁵ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

Oczekiwanym rezultatem jest finansowanie jedynie najbardziej efektywnych terapii w ramach wykazu leków refundowanych (*Prontuario Farmaceutico Nazionale; PFN*) oraz obniżenie kosztów ponoszonych przez SSN⁷⁶.

Obecnie we Włoszech oprócz RSA ustalanych indywidualnie dla poszczególnych substancji obowiązuje również ustalony limit wydatków na refundację leków. W 2012 roku limit dla wydatków na leki stosowane w podstawowej opiece zdrowotnej wynosił 13,1% całkowitych wydatków SSN oraz 2,4% całkowitych wydatków SSN na leki stosowane w leczeniu szpitalnym. Limity wydatków na leki w 2013 roku wynosiły 11,35% i 3,5%, odpowiednio dla leków stosowanych w podstawowej opiece zdrowotnej i dla leków stosowanych w leczeniu szpitalnym⁷⁷.

3.2.2.2. Przebieg procesu zawierania RSA

Firmy farmaceutyczne mogą ubiegać się o refundację leków dopuszczonych do obrotu na terenie Włoch. We Włoszech istnieją 3 klasy refundacji leków:

- klasa A uwzględnia leki w pełni refundowane przez SSN, które stosowane są w chorobach przewlekłych,
- klasa H zawiera leki w pełni refundowane w ramach leczenia szpitalnego,
- klasa C uwzględnia inne produkty, które nie kwalifikują się do klasy A⁷⁸.

W przypadku ubiegania się o refundację cena leku jest ustalana w drodze negocjacji cenowych. Regulacja prawna nr 326 z dnia 24 listopada 2003 roku przewiduje, że od 1 stycznia 2004 roku wszystkie ceny leków refundowanych przez SSN są określane w drodze negocjacji między AIFA i firmami farmaceutycznymi. Przebieg procesu negocjacji cenowych jest określony w ustawie CIPE z dnia 1 lutego 2001 roku. Procedura negocjacyjna rozpoczyna się po złożeniu wniosku przez producenta. Czas określony na przeprowadzenie negocjacji cenowych wynosi 90 dni. W tym okresie procedura może być jednokrotnie przerwana w celu uzupełnienia dodatkowych informacji lub może zostać zawieszona na wniosek producenta. Na każdym etapie postępowania firma farmaceutyczna jest informowana o jego statusie⁷⁹.

W ramach zakończonego procesu negocjacyjnego cena jest ustalana na podstawie informacji zawartych we wniosku, z uwzględnieniem np.:

- wolumenu sprzedaży,
- rabatów dla szpitali,
- wolumenu i cen innych produktów wnioskodawcy⁸⁰.

W zawartej umowie cena może zostać uzależniona od wolumenu sprzedaży. Konieczne jest ponadto uregulowanie postępowania w okolicznościach wystąpienia odchyleń od warunków obowiązujących podczas negocjacji. Postępowanie to może obejmować:

- zmianę ceny lub innych negocjowanych elementów związanych z produktem,
- zwrot kwoty przekroczenia ponad prognozowane wartości,
- wykluczenie z refundacji⁸¹.

⁷⁶ Pugatch M, Healy P, Chu r. Sharing the Burden: Could risk-sharing change the way we pay for healthcare? The Stockholm Network, 2010.

⁷⁷ AIFA. Regulacja cen leków. <http://www.agenziafarmaco.gov.it/content/la-regolazione-dei-prezzi-dei-farmaci> (13.08.2014).

⁷⁸ Refundacja we Włoszech: <http://www.ispor.org/HTARoadMaps/Italy.asp> (19.11.2014).

⁷⁹ Ustawa CIPE z dnia 1 lutego 2001, nr 3. Kryteria negocjacji cen leków. http://www.edizionieuropee.it/data/html/48/zn86_02_183.html (13.08.2014).

⁸⁰ Ustawa CIPE z dnia 1 lutego 2001, nr 3. Kryteria negocjacji cen leków. http://www.edizionieuropee.it/data/html/48/zn86_02_183.html (13.08.2014).

⁸¹ Ustawa CIPE z dnia 1 lutego 2001, nr 3. Kryteria negocjacji cen leków. http://www.edizionieuropee.it/data/html/48/zn86_02_183.html (13.08.2014).

Proces negocjacji kończy się zawarciem umowy między stronami, w ramach której następuje ustalenie ceny danej technologii medycznej. Umowa może zostać zdefiniowana jako funkcjonalny związek między ceną a zakresem zmienności wielkości sprzedaży. W umowie musi zostać zawarty obowiązek monitorowania rocznej sprzedaży i przychodów oraz zgłaszania wszelkich rozbieżności. Ustalona cena obowiązuje przez 2 lata. Dodatkowo określone zostają przypadki, w których występowanie odchyłeń pociąga za sobą ponowne otwarcie negocjacji cenowych, nawet przed wcześniej określonym terminem⁸².

Ustalona cena jest ceną maksymalną w odniesieniu do szpitali oraz Azienda Sanitaria Locale, od której są naliczane wynegocjowane rabaty. W przypadku zmian wskazań terapeutycznych lub dawkowania, które mogą przyczynić się do wzrostu zużycia leku, procedura negocjacyjna może być ponownie zainicjowana przez każdą ze stron. Umowa zostaje automatycznie przedłużona o kolejne 2 lata, jeżeli żadna ze stron w ustalonym terminie nie zgłosi chęci renegotjacji warunków⁸³.

3.2.2.3. Najczęściej stosowane RSA

We Włoszech są zawierane głównie 3 rodzaje umów podziału ryzyka: podział kosztów (ang. *cost sharing procedures*), podział ryzyka (ang. *risk sharing procedures*) oraz *payment by results* (nazwy funkcjonujące regionalnie, odbiegające od klasyfikacji RSA przyjętej na potrzeby niniejszego opracowania). Każdy z powyższych modeli podziału ryzyka zawiera odniesienie do uzyskanego wyniku zdrowotnego. Kontynuacja leczenia jest uwarunkowana uzyskaniem określonej w umowie odpowiedzi na leczenie. Główna różnica pomiędzy trzema wymienionymi powyżej rodzajami refundacji warunkowej polega na różnym podejściu finansowym do zawieranych umów. Podział kosztów zakłada ogólne rabatowanie dla wszystkich pacjentów kwalifikujących się do terapii na początku leczenia (do zdefiniowanego czasu sprawdzenia odpowiedzi), podczas gdy zarówno podział ryzyka, jak i *payment by results* stosują mechanizmy zwrotu w celu kompensacji kosztów leczenia u pacjentów niereagujących na terapię. W przypadku podziału ryzyka jest naliczany rabat, który jest zwracany przez producenta do SSN, zaś w przypadku *payment by results* pełne koszty terapii pacjentów, którzy nie uzyskali odpowiedzi na leczenie, są zwracane do SSN przez producentów. W zakresie implementacji system naliczania początkowego rabatu dla wszystkich pacjentów kwalifikujących się do terapii jest prostszy w administrowaniu od systemu zwrotu kosztów terapii w przypadku braku odpowiedzi na leczenie⁸⁴. Zazwyczaj w przypadku umów podziału kosztów jest naliczany rabat wielkości 50% początkowych kosztów terapii, w przypadku umów podziału ryzyka rabat 50% kosztów terapii dla nieodpowiadających pacjentów, natomiast w przypadku umowy *payment by results* – całkowity zwrot kosztów terapii u pacjentów nieodpowiadających na leczenie. Niektóre schematy zawierają dodatkowo limity cenowe. Przykładowo, w przypadku bewacyzumabu stosowanego w leczeniu raka jelita grubego koszty terapii nie mogą przekroczyć €25 941 na rok⁸⁵.

⁸² Ustawa CIPE z dnia 1 lutego 2001, nr 3. Kryteria negocjacji cen leków.
http://www.edizionieuropee.it/data/html/48/zn86_02_183.html (13.08.2014).

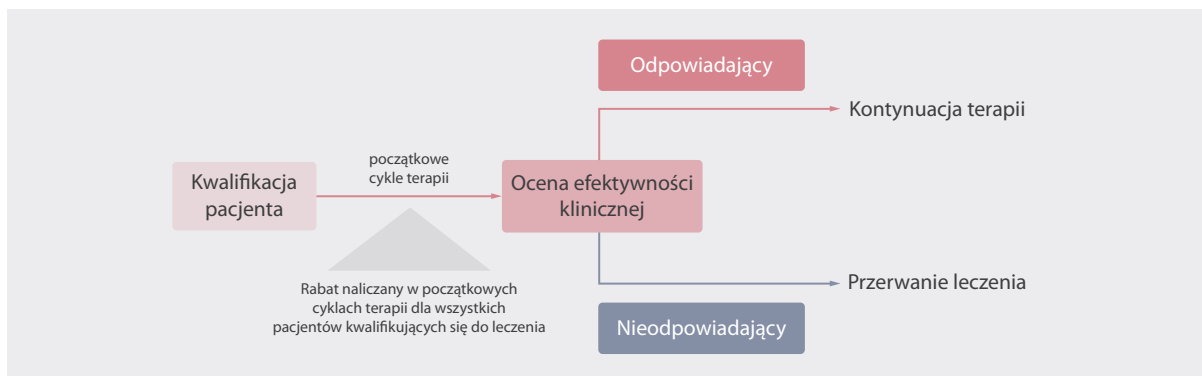
⁸³ Ustawa CIPE z dnia 1 lutego 2001, nr 3. Kryteria negocjacji cen leków.
http://www.edizionieuropee.it/data/html/48/zn86_02_183.html (13.08.2014).

⁸⁴ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

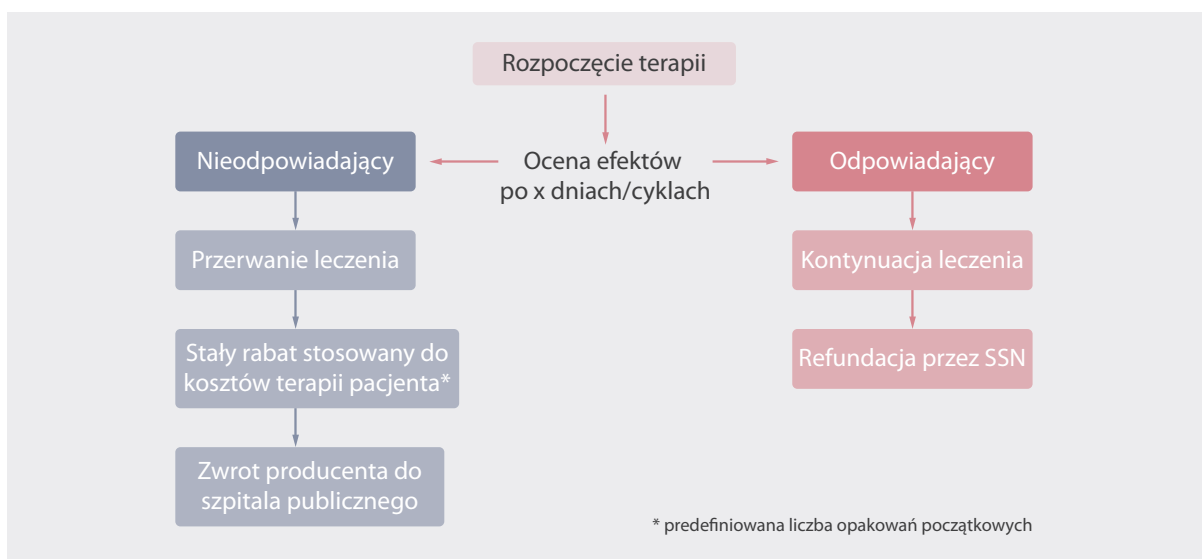
⁸⁵ Pugatch M, Healy P, Chu r. Sharing the Burden: Could risk-sharing change the way we pay for healthcare? The Stockholm Network, 2010.

Poniżej przedstawiono ilustracje dotyczące schematu stosowanych przez AIFA modeli RSA.

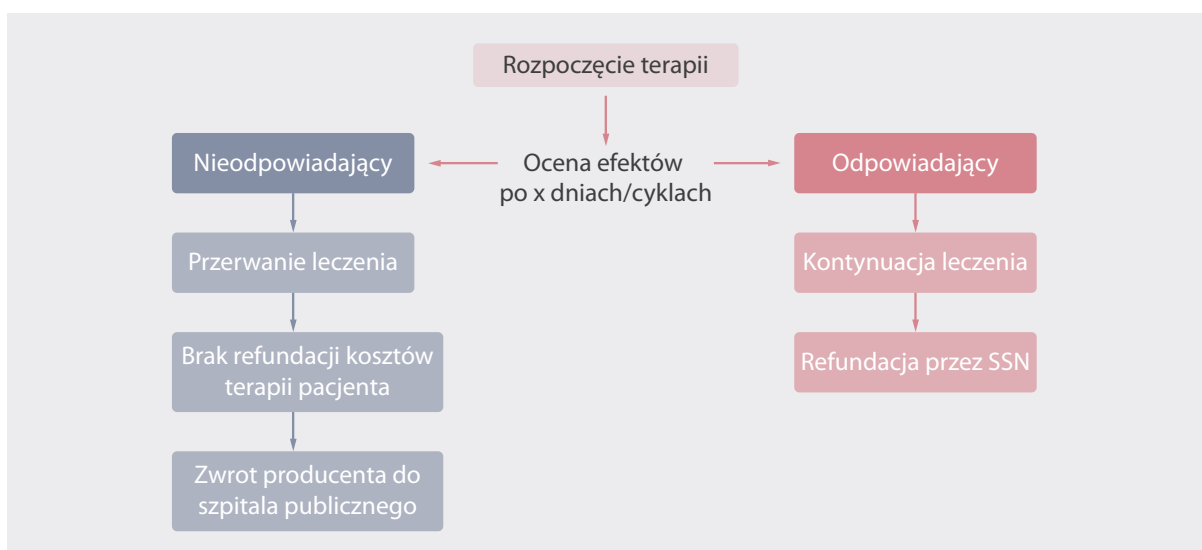
Schemat 22. AIFA – procedura podziału kosztów



Schemat 23. AIFA – procedura podziału ryzyka



Schemat 24. AIFA – procedura *payment by results*



Jednym z najważniejszych instrumentów stosowanych we Włoszech są rejestry monitorujące wyniki leczenia. Rejestry mają na celu dostęp i śledzenie kwalifikacji pacjentów do leczenia, ocenę użycia leków w praktyce klinicznej, zbieranie danych epidemiologicznych, włączając informacje dotyczące profilu bezpieczeństwa oraz zbieranie dodatkowych danych, które nie były dostępne w pierwszym etapie ewaluacji. Takie postępowanie powinno zagwarantować właściwe stosowanie leków zgodnie ze wskazaniami rejestracyjnymi oraz dostarczyć ważnych informacji dotyczących tolerancji nowego leku oraz poprawności preskrypcji⁸⁶.

Rejestry prowadzone są we Włoszech poprzez aplikację internetową (dostępną pod adresem <https://www.agenziafarmaco.gov.it/registri/>). Formularze dotyczące poszczególnych pacjentów są wypełniane przez lekarzy online. Dane zawarte w rejestrach są własnością AIFA, natomiast koszty utrzymania rejestrów są ponoszone przez producentów leków⁸⁷. W rejestrach są zbierane informacje dotyczące kwalifikacji pacjentów do terapii (diagnoza oraz charakterystyka początkowa pacjentów) oraz dane dotyczące przebiegu leczenia (dawkowanie i podanie leków, ocena odpowiedzi na leczenie, niepowodzenie leczenia/zakończenie leczenia, tolerancja leczenia, działania niepożądane)⁸⁸.

Zgodnie ze stanem z grudnia 2011 roku schematem monitorowania objętych było 78 wskazań terapeutycznych dotyczących 66 aktywnych cząsteczek. Spośród leków – 30 to leki przeciwnowotworowe, 14 należy do grupy leków sierocych, 1 projekt dotyczy leczenia łuszczycy, 1 leku kardiologicznego, po 2 dla leków: okulistycznych, stosowanych w reumatoidalnym zapaleniu stawów, przeciwcukrzycowych, dermatologicznych oraz stosowanych w chorobach układu oddechowego, 1 dla leku stosowanego w leczeniu osteoporozy oraz 2 projekty dotyczące stwardnienia rozsianego oraz zespołu nadpobudliwości psychoruchowej z deficytem uwagi. Spośród 78 wskazań terapeutycznych objętych rejestracją, 28 zostało również objętych schematami refundacji warunkowej, obejmującymi: podział kosztów (12 wskazań), podział ryzyka (schematy rabatowania) (2 wskazania) oraz *payment by results* (14 wskazań)⁸⁹.

Zestawienie przykładowych RSA zawartych we Włoszech przedstawiono w tabeli 13.

Tabela 13. Przykłady RSA – Włochy

Cząsteczka (Nazwa handlowa) [Producent]	Wskazanie terapeutyczne	Status RSA	Szczegóły RSA	Szczegóły dot. rejestrów	Typ RSA
Azacetydyna (Vidaza®) [Celgene] ⁸⁸	Leczenie zespołów mielodysplastycznych, przewlekłej białaczki mielomonocytovej i ostrej białaczki szpikowej	Schemat rozpoczęty we wrześniu 2011	Zwrot 11% kosztów pierwszych 3 cykli terapii wszystkich pacjentów. Pierwsza ocena po 6 cyklach terapii	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Podział kosztów
Dazatynib (Sprycel®) [Bristol-Myers Squibb] ⁸⁹	Leczenie nowo zdiagnozowanych pacjentów z przewlekłą białaczką szpikową (PBSz) Ph+ w fazie chronicznej; PBSz w fazie chronicznej, akceleracji lub kryzy blastycznej w przypadku oporności lub nietolerancji na uprzednie leczenie; ostra białaczka limfoblastyczna Ph+ oraz z limfoblastyczną postacią przełomu blastycznego PBSz w przypadku oporności lub nietolerancji wcześniejszej terapii	Schemat rozpoczęty w styczniu 2012	Zwrot 50% kosztów pierwszych 3 miesięcy terapii wszystkich pacjentów	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Podział kosztów

⁸⁶ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

⁸⁷ Aggarwal R. Risk-sharing Agreements: Country Experiences and Challenges. INSEAD Healthcare Management Initiative, 2014.

⁸⁸ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

⁸⁹ Ferrario A, Kanavos P. Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. The London School of Economics and Political Science, 2013.

Cząsteczka (Nazwa handlowa) [Producent]	Wskazanie terapeutyczne	Status RSA	Szczegóły RSA	Szczegóły dot. rejstru	Typ RSA
Lenalidomid (Revlimid®) [Celgene] ⁹⁰	Szpiczak mnogi	Schemat rozpoczęty w marcu 2008	Zwrot 50% kosztów pierwszych 2 cykli terapii wszystkich pacjentów. Pierwsza ocena po 8 tygo- dniach terapii	Założony rejestr monitorowania (<i>Registro farmaci oncologici</i>)	Podział kosztów
Nilotinib (Tasigna®) [Novartis] ⁹¹	Leczenie nowo zdiagnozowanych pacjentów w fazie przewlekłej PBSz Ph+	Schemat rozpoczęty w czerwcu 2012	Zwrot 50% kosz- tów pierwszych 3 miesięcy/cykli terapii wszystkich pacjentów	Założony rejestr monitorowania (<i>Registro farmaci oncologici</i>)	Podział kosztów
Ofatumumab (Arzerra®) [GlaxoSmithKline] ⁹²	Leczenie przewlekłej białaczki limfocytowej u pacjentów opornych na fludarabinę i alemtuzumab	Schemat rozpoczęty we wrześniu 2011	Zwrot 50% kosztów całkowitych terapii (12 infuzji) wszyst- kich pacjentów	Założony rejestr monitorowania (<i>Registro farmaci oncologici</i>)	Podział kosztów
Sorafenib (Nexavar®) [Bayer] ⁹³	Leczenie zaawansowanego raka nerkowokomórkowego	Schemat rozpoczęty w grudniu 2006	Zwrot 50% kosztów pierwszych 3 mie- sięcy terapii wszyst- kich pacjentów	Założony rejestr monitorowania (<i>Registro farmaci oncologici</i>)	Podział kosztów
Temsirolimus (Torisel®) [Pfizer] ⁹⁴	Leczenie dorosłych z nawrotowym/ opornym chłoniakiem z komórek płaszczka	Schemat rozpoczęty w czerwcu 2012	Zwrot kosztów pierwszych 6 folek za każdego pacjenta	Założony rejestr monitorowania (<i>Registro farmaci oncologici</i>)	Podział kosztów
Erlotinib (Tarceva®) [Roche] ⁹⁵	Niedrobnokomórkowy rak płuca	2006-2011	50-procentowa redukcja ceny przez pierwsze 2 cykle leczenia	Założony rejestr monitorowania	Podział kosztów
Sunitynib (Sutent®) [Pfizer]	Leczenie zaawansowanego raka nerkowokomórkowego	2006-2011	50-procentowa redukcja ceny przez pierwsze 3 miesiące leczenia	Założony rejestr monitorowania	Podział kosztów
Bewacyzumab (Avastin®) [Roche] ⁹⁶	Rak jelita grubego, rak piersi, rak płuc, rak nerki, rak jajnika, rak jajowodu, zaawansowany pierwotny rak otrzewnej	2008	50% zwrotu kosz- tów po 6 tygo- dniach leczenia. Dla odpowiadających: pełna cena po 15 cyklach (10 mg/kg co 2 tygodnie) lub 11 cyklach (15 mg/ kg co 3 tygodnie)	Założony rejestr monitorowania	Podział kosztów
Bortezomib (Velcade®) [Janssen-Cilag] ⁹⁷	Szpiczak mnogi	2009-2011	Zwrot 50% kosztów leczenia za pierwszy cykl terapii (6 tygo- dniu) u wszystkich pacjentów	Założony rejestr monitorowania	Podział kosztów
Panitumumab (Vectibix®) [Amgen] ⁹⁸	Przerzutowy rak jelita grubego	2008-2012	Zwrot 50% kosztów leczenia pacjentów nieodpowiadają- cych na terapię (ocena skuteczności po 2 miesiącach leczenia)	Założony rejestr monitorowania	Podział ryzyka
Cetuksymab (Erbix®) [Merck] ⁹⁹	Rak jelita grubego	2009	X	Założony rejestr monitorowania	Podział ryzyka
Brentuksymab vedotin (Adcetris®) [Takeda] ¹⁰⁰	Leczenie dorosłych z nawracającym lub opornym na leczenie chłoniakiem ziarniczym (chłoniakiem Hodgkina) CD30+	Schemat nie zакtywowany	Zwrot kosztów pierwszego mie- siąca leczenia za pacjentów nieodpo- wiadających	Założony rejestr monitorowania (<i>Registro farmaci oncologici</i>)	<i>Payment by results</i>

Cząsteczka (Nazwa handlowa) [Producent]	Wskazanie terapeutyczne	Status RSA	Szczegóły RSA	Szczegóły dot. rejstru	Typ RSA
Dazatynib (Sprycel®) [Bristol-Myers Squibb] ¹⁰¹	Ostra białaczka limfoblastyczna Ph+ z limfoblastyczną postacią przełomu blastycznego PBSz, PBSz w fazie kryzy blastycznej	Schemat aktywny w okresie od czerwca 2010 do grudnia 2011	Zwrot kosztów pierwszego miesią- ca terapii pacjentów nieodpowiadają- cych na leczenie lub u których zakończono terapię (ocena po 4 tygodniach)	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Payment by results
Nilotinib (Tasigna®) [Novartis] ¹⁰²	Leczenie fazy przewlekłej I akceleracji PBSz Ph+ w przypadku oporności lub nietolerancji wcześniejszego leczenia, w tym imatynibu	Schemat rozpoczęty w listopadzie 2009	Zwrot kosztów 1 miesiąca terapii pacjentów nieod- powiadających na leczenie lub u któ- rych zakończono terapię (ocena po 4 tygodniach)	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Payment by results
Pleryksafor (Mozobil®) [Genzyme] ¹⁰³	Wskazany w kombinacji z G-CSF do zwiększenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych we krwi obwodowej	Schemat rozpoczęty w grudniu 2013	Producent zwraca całkowite koszty leczenia w przypad- ku niepowodzenia terapii. Kryteria niepowodzenia terapii: $\geq 2 \times 10^6$ CD34+ komórek/ kg. Efektywność oceniana jedynie u pacjentów, którzy zażyli przynajmniej 2 dawki w kolejnych dniach	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Payment by results
Sorafenib (Nexavar®) [Bayer] ¹⁰⁴	Leczenie raka wątrobowokomórkowego	Schemat rozpoczęty w sierpniu 2011.	Zwrot kosztów dwumiesięcznej terapii pacjentów nieodpowiadają- cych na leczenie lub którzy zakończyli terapię (ocena po 2 miesiącach le- czenia)	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Payment by results
Temsirolimus (Torisel®) [Pfizer] ¹⁰⁵	Leczenie zaawansowanego raka nerkowokomórkowego	Schemat rozpoczęty w kwietniu 2011.	Zwrot kosztów dwumiesięcznej terapii pacjentów nieodpowiadają- cych na leczenie lub którzy zakończyli terapię (ocena po 8 tygodniach le- czenia)	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Payment by results
Trabectedyna (Yondelis®) [PharmaMar] ¹⁰⁶	Leczenie zaawansowanego mięsaka tkanek miękkich	Schemat rozpoczęty w październiku 2011	Zwrot kosztów pierwszych dwóch cykli terapii (cykl długości 3 tygodni) u pacjentów nie- odpowiadających na terapię (ocena po 8 tygodniach leczenia)	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Payment by results

Cząsteczka (Nazwa handlowa) [Producent]	Wskazanie terapeutyczne	Status RSA	Szczegóły RSA	Szczegóły dot. rejstru	Typ RSA
Trabectedyna (Yondelis®) [PharmaMar] ¹⁰⁷	Leczenie raka jajnika	Schemat rozpoczęty w październiku 2011	Zwrot kosztów 3 pierwszych cykli terapii (długość cyklu 3 tygodnie) u pacjentów nieod- powiadających na leczenie (po ukoń- czeniu trzeciego cyklu)	Założony rejestr monitorowania (Registro farmaci oncologici)	Payment by results
Pegaptanib (Macugen®) [Pfizer] ¹⁰⁸	Neowaskularna postać zwyrodnienia plamki żółtej związanego z wiekiem	2009	X	Założony rejestr monitorowania	Payment by results
Ranibizumab (Lucentis®) [Novartis] ¹⁰⁹	Neowaskularna postać zwyrodnienia plamki żółtej związanego z wiekiem	2009	X	Założony rejestr monitorowania	Payment by results
Lapatinib (Tyverb®) [GlaxoSmithKline] ¹¹⁰	Zaawansowany rak piersi	2009	X	Założony rejestr monitorowania	Payment by results

⁹⁰ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

⁹¹ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

⁹² Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

⁹³ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

⁹⁴ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

⁹⁵ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

⁹⁶ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

⁹⁷ Espin J, Rovira J, Garcia L. Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011.

⁹⁸ Jommi C. Conditional pricing / reimbursement in Italy. 8grudnia 2009 – Paryż. Dostępne na: http://www.emaud.org/Doc/Jommi_1.pdf.

⁹⁹ Espin J, Rovira J, Garcia L. Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011.

¹⁰⁰ Espin J, Rovira J, Garcia L. Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011.

¹⁰¹ Espin J, Rovira J, Garcia L. Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011.

¹⁰² Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

¹⁰³ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

¹⁰⁴ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

¹⁰⁵ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

¹⁰⁶ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

¹⁰⁷ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

¹⁰⁸ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

¹⁰⁹ Morel T, Arickx F, Befrits G, i in. Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.

Umowy RSA zawierane we Włoszech, poza dwoma wyjątkami (dla panitumumabu i cetuksymabu), nie są rzeczywistymi umowami podziału ryzyka. SSN nie ponosi ryzyka związanego z brakiem skuteczności leczenia ze względu na kształt zawieranych umów – producent płaci pełne koszty terapii u pacjentów, u których leczenie było nieskuteczne, zaś SSN płaci za leczenie, które okazało się być u pacjentów skuteczne. Inaczej jest w przypadku schematów rabatowania i zmniejszania ceny – w takim przypadku niezależnie od skuteczności leczenia koszty są ponoszone wspólnie przez SSN i producentów leków. Takie schematy mogą być rozważane jako rzeczywście dzielące ryzyko nieskutecznego leczenia między płatnika i producentów ¹¹³.

¹¹⁰ Espin J, Rovira J, Garcia L. Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011.

¹¹¹ Espin J, Rovira J, Garcia L. Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011.

¹¹² Espin J, Rovira J, Garcia L. Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011.

¹¹³ Pugatch M, Healy P, Chu r. Sharing the Burden: Could risk-sharing change the way we pay for healthcare? The Stockholm Network, 2010.

4. RSA w Polsce – stan obecny

4.1. Wstęp

Wraz ze zwiększeniem nakładów na ochronę zdrowia po 2004 roku nastąpił istotny wzrost wydatków na leki finansowane ze środków publicznych¹¹⁴. Organy administracji publicznej stanęły przed koniecznością znalezienia rozwiązań mających na celu zapewnienie stabilności budżetu płatnika publicznego, przy jednoczesnym zwiększaniu dostępności pacjentów do kolejnych terapii. Wynikało to z faktu pojawiania się nowych terapii na rynku oraz wzrostu oczekiwań świadczeniobiorców przy relatywnie niewielkich nakładach na ochronę zdrowia, w tym na leki – publiczne wydatki na leki na receptę w 2011 roku w Polsce wynosiły 0,6% PKB¹¹⁵. Wraz z rozwojem współpracy międzynarodowej, będącej skutkiem przystąpienia do Unii Europejskiej i koniecznością dostosowania przepisów prawa polskiego regulujących finansowanie leków ze środków publicznych do standardów unijnych¹¹⁶, Ministerstwo Zdrowia zaczęło coraz uważniej przyglądać się nowoczesnym rozwiązaniom, które rozwijano w tym samym czasie w innych państwach członkowskich.

Działania te zbiegły się w czasie ze znaczącym wzrostem zainteresowania terapiami dla chorób rzadkich, które w coraz większej liczbie i przy coraz wyższej cenie zaczęły być dopuszczane do obrotu na terytorium Unii Europejskiej w związku z obowiązującym rozporządzeniem w sprawie sierocych produktów leczniczych¹¹⁷. Wraz z pojawieniem się komunikatu Komisji Europejskiej¹¹⁸ oraz zaleceń Rady Unii Europejskiej¹¹⁹ znacząco zwiększyło się zapotrzebowanie na działania w tym obszarze. Ich efektem było objęcie refundacją przez ministra zdrowia kilku terapii, które ze względu na swoją charakterystykę zostały ujęte w porozumieniach mających na celu zapewnienie pacjentom dostępu do świadczeń. Porozumienia te miały charakter nieformalnych ustaleń w formie instrumentów typu finansowego (rzeczowych) – nie były uzależnione od wyników terapii. Doświadczenia organów zdobyte przy ich realizacji wpłynęły w istotny sposób na obecny kształt instrumentów dzielenia ryzyka, które zostały wprowadzone do polskiego systemu prawnego 1 stycznia 2012 roku.

W dalszych podrozdziałach raportu opisane zostały instrumenty podziału ryzyka w kontekście podstaw prawnych ich funkcjonowania oraz dostępne statystyki dotyczące ich stosowania od 2012 roku. Szczegółowo został opisany również proces ich zawierania oraz wdrażania i realizacji na poziomie poszczególnych instytucji publicznych i innych interesariuszy. Celem tego rozdziału jest przedstawienie obecnego zakresu funkcjonowania instrumentów, który został poddany szczegółowej analizie w ramach prac prowadzonych w czasie trwania projektu.

¹¹⁴ Uzasadnienie rządowego projektu ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych – druk sejmowy nr 3491.

¹¹⁵ Bogusławski S, Smaga A, Falkiewicz B, Kielczewski T, Burliński P, Matczak M, Czarnuch M, Piekłak M, Łajszczak Sz.: Wpływ ustawy o refundacji leków na dostęp pacjenta do farmakoterapii, budżet NFZ oraz branżę farmaceutyczną. Ocena skutków regulacji. INFARMA. Warszawa 2014.

¹¹⁶ Dyrektywa Rady Nr 89/105/EWG z dnia 21 grudnia 1988 r. dotyczącej przejrzystości środków regulujących ustalanie cen na produkty lecznicze przeznaczone do użytku przez człowieka oraz włączenia ich w zakres krajowego systemu ubezpieczeń zdrowotnych (Dz.U. UE L 40 z 11.02.1989, str. 8), zwana dalej również „dyrektywą przejrzystości”.

¹¹⁷ Rozporządzenie nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie sierocych produktów leczniczych (Dz. U. UE L 18 z 22.1.2000, str. 1).

¹¹⁸ Communication from the Commission to the European Parliament, The Council, The European Economic Committee and the Committee of the Regions on Rare Diseases: Europe's challenges [COM (2008) 679] – http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf

¹¹⁹ Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases (2009/C 151/02) – <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>

Zebrane w nim informacje stanowią punkt wyjścia dla dalszych rozważań na temat przyszłości oraz kierunków rozwoju instrumentów dzielenia ryzyka i przedstawionych w ostatniej części raportu rekomendacji.

4.2. RSA w świetle obowiązujących przepisów

Instrumenty dzielenia ryzyka zostały wprowadzone Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (dalej zwaną ustawą o refundacji)¹²⁰. Rozwiązanie takie było konieczne w świetle kompleksowej zmiany systemu refundacji, który dotychczas opierał się na rozporządzeniach ministra zdrowia. Zawierane uprzednio porozumienia miały charakter *gentleman's agreement* – nie były regulowane żadnym zapisem formalnym lub umową stron w formie pisemnej. Utrzymanie takiego stanu rzeczy nie byłoby możliwe w nowym stanie prawnym, gdzie o refundacji produktu minister zdrowia decyduje w drodze administracyjnej.

Obecnie minister zdrowia po zakończeniu postępowania o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla produktów (leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych), wszczętego na wniosek strony, wydaje decyzję administracyjną (zwaną potocznie decyzją refundacyjną), w której określa warunki finansowania produktu ze środków publicznych, w tym wskazując instrument dzielenia ryzyka, jeżeli został przyjęty.

Ustawa o refundacji określa nie tylko kompetencje do ustalania instrumentów dzielenia ryzyka, ale również zakres instrumentów, jakie mogą być zawarte w decyzji oraz sposób ich procedowania. Wprowadziła także otwarty zakres rozwiązań, które mogą zostać przyjęte przez ministra zdrowia jako instrumenty dzielenia ryzyka. Jednocześnie ich regulacja prawna zawarta w ustawie o refundacji ma charakter szkieletowy. Wskutek powyższego – dla pełnej oceny możliwości wdrażania poszczególnych rozwiązań i sposobu ich realizacji jest konieczne posiłkowanie odrębnymi aktami prawnymi regulującymi poszczególne dziedziny, np. zamówienia publiczne, przetwarzanie danych osobowych i innymi.

Poniżej przedstawione zostały zagadnienia dotyczące instrumentów dzielenia ryzyka uregulowane bezpośrednio w ustawach i innych aktach prawa wydanych na ich podstawie, a także wskazane najważniejsze inne przepisy ustaw, które – choć nie odnoszą się wprost do instrumentów dzielenia ryzyka – znajdują swoje zastosowanie w określonych sytuacjach.

Ustawa o refundacji

Ustawa o refundacji wskazuje, iż wydając decyzję refundacją minister zdrowia może zawrzeć w niej instrument dzielenia ryzyka, który polega na:

- uzależnieniu wielkości przychodu wnioskodawcy od uzyskiwanych efektów zdrowotnych (porozumienia oparte na uzyskiwanych efektach),
- uzależnieniu wysokości urzędowej ceny zbytu od zapewnienia przez wnioskodawcę dostaw po obniżonej ustalonej w negocjacjach cenie leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobu medycznego (porozumienia rabatowe),
- uzależnieniu wysokości urzędowej ceny zbytu od wielkości obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobem medycznym (porozumienia cenowo-wolumenowe),
- uzależnieniu wysokości urzędowej ceny zbytu od zwrotu części uzyskanej refundacji podmiotowi zobowiązanemu do finansowania świadczeń ze środków publicznych (porozumienia typu payback) lub

¹²⁰ Dz.U. z 2011 r., Nr 122, poz. 696, z późn. zm.

- ustaleniu innych warunków refundacji mających wpływ na zwiększenie dostępności do świadczeń gwarantowanych lub obniżenie kosztów tych świadczeń¹²¹.

Powyższa lista w zasadzie odpowiada rodzajom instrumentów powszechnie spotykanym w innych państwach. Szczególnie istotny jest punkt ostatni, świadczący o tym, iż istnieje dowolność w doborze typu/charakteru RSA, zaś w praktyce jego przyjęcie będzie zależało od Ministerstwa Zdrowia, jeśli będzie on odpowiadał celom w nim wskazanym.

Przyjęcie dla instrumentów dzielenia ryzyka formy jednego z elementów decyzji refundacyjnej wydawanej przez ministra zdrowia niesie za sobą daleko idące konsekwencje praktyczne. O ile bowiem podstawą do zawarcia instrumentu i jego włączenia do decyzji refundacyjnej jest wniosek podmiotu złożony w postępowaniu refundacyjnym, o tyle będący jego skutkiem instrument nie ma charakteru umowy cywilnoprawnej. Wydając decyzję refundacyjną, minister zdrowia działa w zakresie swojego uznania, przy zachowaniu jednak określonej przepisami ustawy procedury i na podstawie ustawowo określonych przesłanek, z zachowaniem zasad określonych w ustawie z dnia 14 czerwca 1960 r. – Kodeks postępowania administracyjnego¹²² (w szczególności powinien się kierować m.in. zasadą budowania zaufania do organu). Jednocześnie istotny jest fakt, że sama decyzja podlega kontroli wyłącznie w ramach postępowania administracyjnego (co w praktyce oznacza, iż zajmuje się nią ten sam organ) oraz w postępowaniu sądowo-administracyjnym.

Ustawa o refundacji przewiduje również dodatkowe zapisy, które mogą stanowić istotną zachętę dla wnioskodawcy, by zaproponował on ustalenie instrumentu dzielenia ryzyka. Skutkiem zawarcia instrumentu w decyzji jest wyłączenie strony tej decyzji spod obowiązkowego partycypowania w zwracanej Narodowemu Funduszu Zdrowia kwocie przekroczenia (tzw. paybacku ogólnym), w przypadku gdyby w trakcie realizacji planu finansowego NFZ doszło do przekroczenia całkowitego budżetu na refundację¹²³. O ile do chwili obecnej taka sytuacja nie miała jeszcze miejsca, o tyle rozwiązanie to pozwala wnioskodawcy na bardziej precyzyjnie oszacowanie skutków finansowych wydanych na ich rzecz decyzji refundacyjnych, w szczególności poprzez uniezależnienie ich skutków od działalności podejmowanej przez podmioty konkurencyjne – posiadające leki finansowane ze środków publicznych w ramach tych samych grup limitowych.

Jednocześnie ustawa o refundacji przewiduje wyłączenie wnioskodawcy spod zakazu stosowania korzyści majątkowych lub osobistych dla świadczeniobiorców oraz osób uprawnionych (lekarzy i innych osób mogących wystawić recepty)¹²⁴. Tym samym pozwala ona np. na wprowadzenie instrumentów polegających na obniżeniu ceny leku nabywanego przez świadczeniobiorcę w aptece poprzez udzielenie rabatu finansowego od zapłaconej przez niego ceny.

Ustawa o refundacji nie określa ani formy (wzoru) wniosku refundacyjnego w zakresie instrumentu dzielenia ryzyka czy zakresu informacji, jakie mają być ministrowi zdrowia przekazane dla jego rozpatrzenia, ani jakiegokolwiek szczególnej procedury dla rozpatrywania propozycji instrumentów dzielenia ryzyka złożonych we wniosku refundacyjnym. Wskazuje jednakże, iż powinny one być brane pod uwagę na wszystkich etapach postępowania, w szczególności:

- propozycja jest uwzględniana w rekomendacji prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (w oparciu o stanowisko Rady Przejrzystości)¹²⁵;
- szczegółowe warunki instrumentu są negocjowane przez wnioskodawcę z Komisją Ekonomiczną.

Ustawa przewiduje, iż w przypadku niedotrzymania przez wnioskodawcę postanowień instrumentu zawartych w decyzji minister zdrowia jest uprawniony do nałożenia na niego kary administracyjnej w wysokości dwukrotnej wartości poniesionych przez Narodowy Fundusz Zdrowia kosztów refundacji związanych z niedotrzymaniem postanowień decyzji. Kara ta nakładana jest decyzją administracyjną w odrębnym postępowaniu prowadzonym przez ministra zdrowia z urzędu, na podstawie informacji otrzymanych od Narodowego Funduszu Zdrowia¹²⁶.

¹²¹ Art. 11 ust. 5 ustawy o refundacji.

¹²² Dz.U. z 2013 r., poz. 267, z późn. zm.

¹²³ Art. 4 ust. 11 ustawy o refundacji.

¹²⁴ Art. 49 ust. 5 w zw. z art. 2 pkt 14 ustawy o refundacji.

¹²⁵ Art. 35 ust. 7 pkt 2 lit. e ustawy o refundacji.

¹²⁶ Art. 51 ustawy o refundacji.

Inne akty prawne

Zgodnie z przepisami Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych¹²⁷ (zwanej dalej „ustawą o świadczeniach”) Narodowy Fundusz Zdrowia jest powołany do zawierania umów ze świadczeniodawcami i rozliczania oraz finansowania świadczeń opieki zdrowotnej. Mając powyższe na uwadze, najważniejszym z nowych uprawnień jest kompetencja prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia uprawniająca do monitorowania, nadzorowania i kontrolowania realizacji instrumentów dzielenia ryzyka oraz komunikacji z ministrem zdrowia w przypadku niewypełnienia przez podmiot odpowiedzialny jego postanowień¹²⁸. Razem z powyższymi uprawnieniami prezes Narodowego Funduszu Zdrowia uzyskał prawo do odpowiedniego realizowania instrumentów, w przypadku gdy wymagają one szczególnych działań, np. w zakresie określania umów zawieranych ze świadczeniodawcami na udzielanie świadczeń, które są objęte instrumentami¹²⁹. Na podstawie przepisów tej ustawy wydawane są również zarządzenia prezesa NFZ, które bezpośrednio regulują stosunki wewnętrzne NFZ (w tym zakres procedury, narzędzi), w szczególności w ramach zawierania umów ze świadczeniodawcami, a więc pośrednio wpływając również na realizację instrumentów w lecnictwie zamkniętym.

Jak już jednak wskazano, poza przepisami powyższych dwóch ustaw oraz rozporządzeń wydanych na ich podstawie dla realizacji instrumentów dzielenia ryzyka istotne znaczenie mają rozliczne inne akty prawne, w szczególności rangi ustawowej. Jak już wskazano w raporcie, ustawodawca zdecydował o pozostawieniu regulacji w zakresie instrumentów dzielenia ryzyka w formie względnie otwartej i stosunkowo prostej – tj. nie wprowadzającej zbyt wielu rozwiązań szczególnych w stosunku do innych przepisów prawa powszechnie obowiązującego. Skutkiem tego o rzeczywistym zakresie instrumentów dzielenia ryzyka, które w danym czasie mogą być zawarte w decyzjach refundacyjnych przez ministra zdrowia i następnie skutecznie implementowane i realizowane, decydują akty prawne, które szczegółowo regulują materie z nimi powiązane. Poniżej zostały wyliczone najważniejsze ustawy, które należy mieć na uwadze, przygotowując propozycję instrumentu dzielenia ryzyka, później ją negocjując, przyjmując i wprowadzając w życie, wraz ze wskazaniem odpowiednich obszarów. W dalszej części tego rozdziału oraz w rozdziale dotyczącym rekomendacji zawarto szczegółowe odniesienia do tych dokumentów.

Do ustaw tych należą:

- Ustawa z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia¹³⁰, określająca organizację i zasady działania systemu informacji w ochronie zdrowia, w którym przetwarzane są dane niezbędne do prowadzenia polityki zdrowotnej państwa, podnoszenia jakości i dostępności świadczeń opieki zdrowotnej oraz finansowania zadań z zakresu ochrony zdrowia – w szczególności regulującej funkcjonowanie Rejestru Usług Medycznych Narodowego Funduszu Zdrowia oraz rozwijanych systemów, takich jak System Informacji Medycznej, oraz tworzenie rejestrów medycznych, które mogą zostać w przyszłości wykorzystane do realizacji instrumentów opartych na wynikach;
- Ustawa z dnia 6 listopada 2008 r. o prawach pacjenta i rzeczników praw pacjenta¹³¹, określająca nie tylko prawa pacjenta, ale w szczególności zasady gromadzenia, przetwarzania i udostępniania dokumentacji medycznej, a więc danych potrzebnych do realizacji instrumentów opartych na wynikach – w szczególności mając na uwadze, iż zgodnie z obecnymi planami dokumentacja medyczna od 2017 roku ma być gromadzona wyłącznie w postaci elektronicznej¹³² i zbierana w ramach centralnego Systemu Informacji Medycznej należącego do ministra zdrowia;
- Ustawa z dnia 29 sierpnia 1997 r. o ochronie danych osobowych¹³³, która reguluje zasady zbierania i przetwarzania danych osobowych, w tym w szczególności danych dotyczących stanu zdrowia, objętych ze względu na swoją wrażliwość szczególnym rygiorem prawnym, a także określa wymagania dla podmiotów zbierających

¹²⁷ Dz.U. z 2008 r., Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.

¹²⁸ Art. 102 ust. 5 pkt 32 ustawy o świadczeniach.

¹²⁹ Art. 136 pkt 2a ustawy o świadczeniach.

¹³⁰ Dz.U. z 2011 r., Nr 113, poz. 657, z późn. zm.

¹³¹ Dz.U. z 2012 r., poz. 159, z późn. zm.

¹³² Art. 24 ust. 1a ustawy wejdzie w życie z dniem 1 sierpnia 2017 r.

¹³³ Dz.U. z 2014 r., poz. 1182, z późn. zm.

i przetwarzających te dane – ustawa ta może mieć istotne znaczenie w przyszłości, w przypadku wprowadzenia instrumentów dzielenia ryzyka opartych na refundacji warunkowej, w których dane medyczne zbierane byłyby przez podmioty prywatne w celu prowadzenia badań;

- Ustawa z dnia 29 stycznia 2004 r. – Prawo zamówień publicznych¹³⁴, która reguluje zasady oraz procedury nabywania towarów i usług przez podmioty publiczne lub finansowane czy kontrolowane ze znacznym udziałem środków publicznych celem zapewnienia konkurencyjności prowadzonych przez nie postępowań o dostawę towarów i usług – ustawa ta jest niezwykle istotna w przypadku instrumentów opierających się na udzielaniu świadczeniodawcom rabatu towarowego (np. darmowych opakowań leku), o ile ustawa ta nie dotyczy wszystkich świadczeniodawców, jednakże ich zdecydowanej większości,
- Ustawa z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej¹³⁵, która reguluje dostęp do informacji o stanie spraw publicznych – mająca istotne znaczenie dla kwestii poufności instrumentów;
- Ustawa z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji¹³⁶, która reguluje czyny nieuczciwej konkurencji, a więc działania sprzeczne z prawem lub dobrymi obyczajami, które zagrażają lub mogą naruszać interes innego przedsiębiorcy lub klienta – określająca m.in. ochronę oraz skutki naruszenia tajemnicy przedsiębiorstwa.

4.3. RSA – dotychczasowa praktyka

Wprowadzenie instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce w ustawie o refundacji miało służyć osiągnięciu kilku celów szczególnych¹³⁷ (zgodnie z uzasadnieniem w ustawie o refundacji):

- umożliwieniu dostępu nowych technologii medycznych w koszcie odpowiadającym możliwościom płatnika publicznego;
- zwiększeniu dostępnego wachlarza narzędzi służących do ograniczenia wydatków publicznych na ochronę zdrowia w ramach prowadzonych przez Komisję Ekonomiczną negocjacji z wnioskodawcami;
- ograniczeniu negatywnych skutków powszechnego stosowania przez państwa członkowskie Unii Europejskiej systemów cen referencyjnych, opartych na cenach produktów poprzez ich porównywanie pomiędzy poszczególnymi krajami – ceny w Polsce należą do najniższych w Europie, co stanowi istotny argument wnioskodawców przeciwko dalszemu obniżaniu cen urzędowych, gdyż skutkowałoby to efektem domina – obniżeniem cen w innych państwach i pogorszeniem sytuacji związanej z eksportem równoległym¹³⁸).

Dotychczasowa praktyka ministra zdrowia pokazuje, iż instrumenty są stosowane głównie w celu ograniczenia wydatków publicznych przy możliwie pełnej kontroli nad budżetem NFZ przeznaczonym na finansowanie nowych terapii. Efektem takiego postępowania jest szerokie stosowanie instrumentów o charakterze finansowym, polegających na ustalaniu cen dla świadczeniodawców niższych niż wskazane w obwieszczeniu ministra zdrowia lub zwrocie części uzyskanej refundacji (tym samym obniżając rzeczywisty koszt dla Narodowego Funduszu Zdrowia). Po części pozwoliło to na osiągnięcie trzeciego z celów opisanych w uzasadnieniu do ustawy. Jednocześnie potencjał instrumentów w zakresie pozostałych wskazanych celów ustawowych, w szczególności zapewnienia dostępu do nowoczesnych terapii, nadal jest przedmiotem dyskusji i może być wykorzystany w przyszłości.

¹³⁴ Dz.U. 2003 r. poz. 907, z późn. zm.

¹³⁵ Dz.U. z 2014 r., poz. 782, z późn. zm.

¹³⁶ Dz.U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503, z późn. zm.

¹³⁷ Uzasadnienie rządowego projektu ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych – druk sejmowy nr 3491.

¹³⁸ Po negocjacjach ceny wielu marek globalnych spadły do poziomu najniższego w Europie. Stanowi to bardzo silną zachętę dla dystrybucji, aby w legalny lub nielegalny sposób eksportować niektóre leki za granicę. Leki te stają się trudno dostępne w Polsce, co jest dotkliwie dla pacjentów. Bogusławski S, Smaga A, Falkiewicz B, Kielczewski T, Burliński P, Matczak M, Czarnuch M, Pieklak M, Łajszczak Sz.: Wpływ ustawy o refundacji leków na dostęp pacjenta do farmakoterapii, budżet NFZ oraz branżę farmaceutyczną. Ocena skutków regulacji. INFARMA. Warszawa 2014.

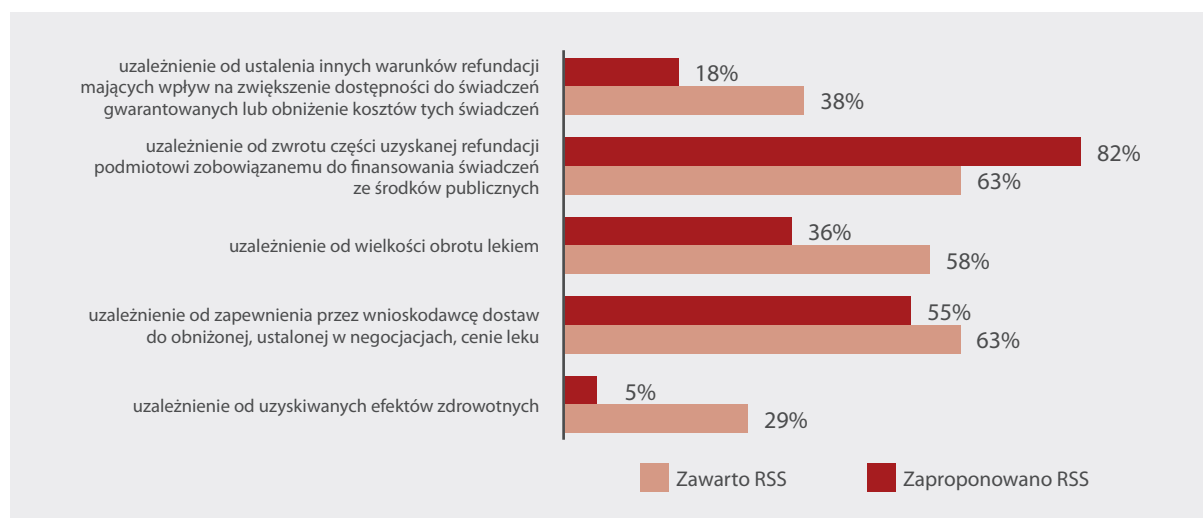
Ze względu na poufność instrumentów dzielenia ryzyka brak jest publicznie dostępnych statystyk dotyczących ich stosowania w praktyce. Informacje na ten temat zostały zebrane w ramach projektu poprzez rozmowy prowadzone z interesariuszami. Taki stan rzeczy utrudnia jednakże właściwą ocenę skali i prawidłowości stosowania instrumentów, tj. ich efektywności w osiąganiu postawionych przed nimi celów.

Jedynym wskaźnikiem pozwalającym obecnie szacować poziom stosowania instrumentów w polskim systemie refundacyjnym jest łączna kwota uzyskiwana przez Narodowy Fundusz Zdrowia z tytułu zwrotów otrzymanych w ramach realizacji instrumentów. Kwota ta jest publikowana w sprawozdaniu finansowym NFZ za kolejne lata. Zgodnie z przedstawionymi w nich informacjami na mocy zawartych instrumentów typu payback NFZ otrzymał do końca 2013 r. około 313 mln zł, które stanowią przychód budżetu NFZ, tj. w 2012 r. – 124,2 mln zł, a w 2013 r. – 188,7 mln zł¹³⁹. Kwoty te należy jednak uznać za zaniżone w stosunku do rzeczywistego skutku finansowego obecnych instrumentów. Wynika to z faktu, iż nie obejmują one kwot pochodzących ze wszystkich instrumentów, w szczególności zawartych w nich rabatów finansowych udzielonych na poziomie świadczeniodawców (szpitali) w stosunku do urzędowej ceny zbytu poszczególnych produktów.

Jednocześnie wśród tematów poruszanych wraz z RSA pojawia się kwestia przeznaczenia osiągniętych oszczędności w budżecie na refundację oraz miejsce ich zwrotu. Obecnie nie ukazał się żaden oficjalny dokument określający strategię wykorzystania tych środków co do miejsca, czasu oraz przedmiotu finansowania.

Zgodnie z badaniami ankietowymi przeprowadzonymi w maju 2014 r. wśród dyrektorów generalnych 36 firm farmaceutycznych, których produkty wykorzystują 69% całkowitych wydatków refundacyjnych (2013), wprowadzenie instrumentów dzielenia ryzyka w opinii 69% respondentów jest korzystne dla polskiego rynku farmaceutycznego. 82% firm uzyskało decyzję refundacyjną określającą zwrot części uzyskanej refundacji, a 55% zapewnienie dostaw po obniżonej cenie. Jedynie 5% respondentów stwierdziło, iż wprowadzono rozwiązania oparte o uzyskiwane efekty zdrowotne. Wyniki tego badania zostały przedstawione na wykresie 7¹⁴⁰.

Wykres 7. Rodzaje RSA zaproponowane przez wnioskodawców i uzgodnione w decyzji ministra zdrowia



Poziom wzrostu liczby wnioskowanych instrumentów dzielenia ryzyka można określić na podstawie liczby wniosków przekazywanych przez ministra zdrowia do Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji¹⁴¹. Opierając

¹³⁹ Łączne sprawozdanie finansowe Narodowego Funduszu Zdrowia za okres 1.01-31.12.2013 r. (publikowane na stronie internetowej http://www.nfz.gov.pl/new/art/6269/Bilans_2013_NFZ.pdf)

¹⁴⁰ Wyniki tego badania zostały przedstawione na konferencji otwierającej projekt w czerwcu 2014 r.

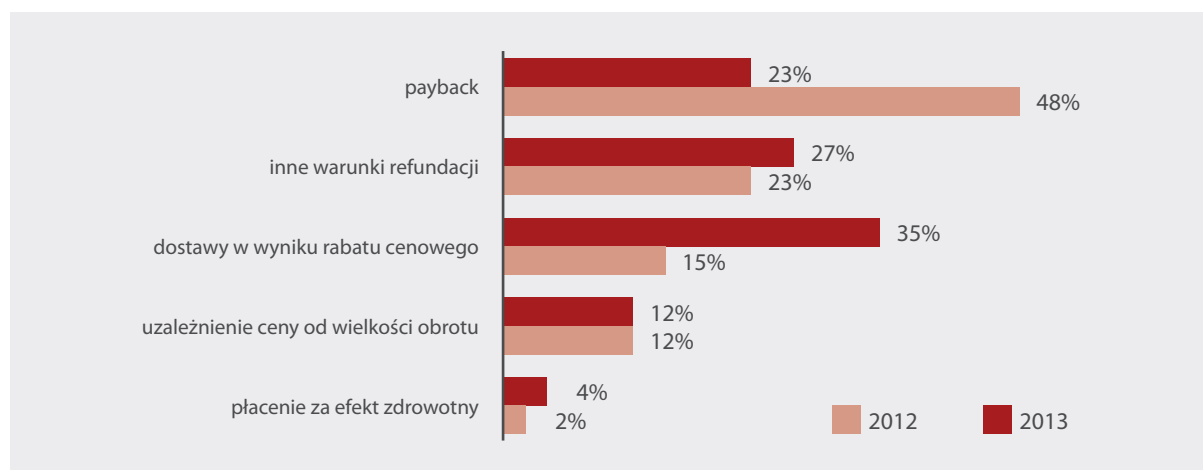
¹⁴¹ Wniosków o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla produktów nie posiadających odpowiednika dotychczas finansowanego ze środków publicznych lub wnioski o podwyższenie urzędowej ceny zbytu ze względu na uzyskany efekt zdrowotny, dodatkowy efekt zdrowotny lub koszty ich uzyskania (art. 35 ust. 1 ustawy o refundacji).

się na informacjach przedstawionych przez prezesa AOTMiT¹⁴², w 2012 r. propozycje zawarcia instrumentu dzielenia ryzyka znalazły się w 50% wniosków refundacyjnych podlegających ocenie Agencji, a w 2013 r. liczba ta wzrosła do blisko 65%.

Prezentowane przez AOTMiT statystyki wskazują, że w ciągu pierwszych lat funkcjonowania ustawy refundacyjnej instrumenty dzielenia ryzyka były najczęściej proponowane jako narzędzie zwiększające dostęp pacjentów do leczenia w ramach programów lekowych – 69% wszystkich wniosków złożonych do AOTMiT o objęcie refundacją leku w ramach programu lekowego zawierało propozycję RSA (45 wniosków z RSA). W przypadku wniosków o objęcie refundacją leków dostępnych w aptece na receptę co drugi (51%) obejmował propozycję zawarcia instrumentów (31 wniosków), a w przypadku leków stosowanych w chemioterapii RSA uwzględniało 40% wszystkich wniosków (2 wnioski).

Najpopularniejszym mechanizmem RSA proponowanym we wnioskach o objęcie refundacją, które zostały przekazane do AOTMiT w 2012 r., był instrument polegający na uzależnieniu wysokości ceny zbytu od zapewnienia przez wnioskodawcę dostaw po obniżonej, ustalonej w negocjacjach kwocie – i stanowił on blisko 35% wszystkich złożonych propozycji. Natomiast w 2013 r. w propozycjach wnioskodawców praktycznie co druga (48%) dotyczyła porozumienia uzależniającego wysokość urzędowej ceny zbytu od zwrotu części uzyskanej refundacji podmiotowi zobowiązanemu do finansowania świadczeń ze środków publicznych, czyli RSA typu payback. Powyższe liczby wskazują na dostosowywanie się podmiotów do praktyki stosowania instrumentów przez ministra zdrowia, będącej efektem przede wszystkim pierwszych negocjacji prowadzonych z wnioskodawcami jeszcze w 2011 r. podczas dostosowywania ówczesnych wykazów produktów refundowanych do wymogów ustawy o refundacji¹⁴³.

Wykres 8. Rodzaje RSA zaproponowane w analizach ocenianych przez AOTMiT⁵



Natomiast zgodnie z danymi prezentowanymi przez NFZ¹⁴⁴, które odzwierciedlają liczebność realizowanych w praktyce RSA w Polsce, w 2013 r. instrumenty dzielenia ryzyka zostały zawarte dla ok. 280 kodów EAN, z czego:

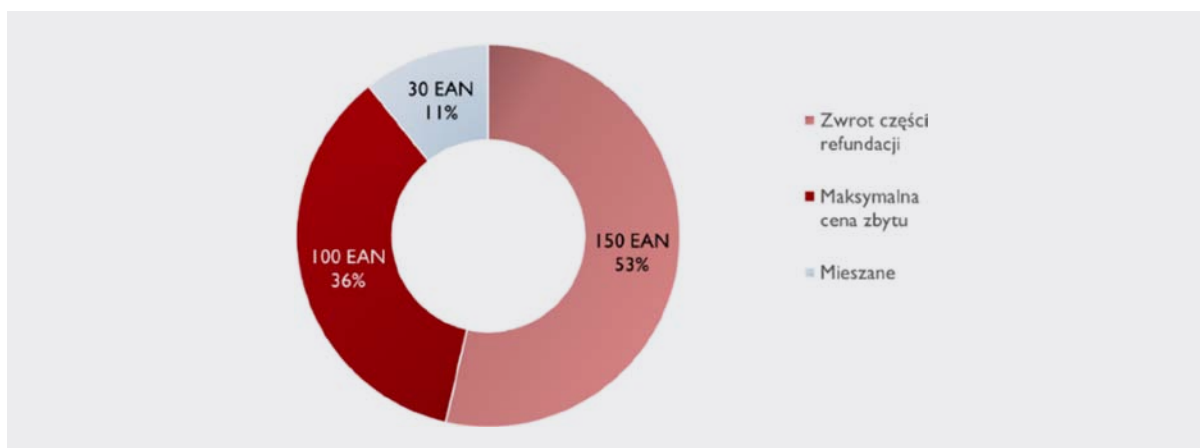
- dla ok. 150 kodów EAN zawarty instrument dzielenia ryzyka polegał na zobowiązaniu do zwrotu części refundacji,
- dla ok. 100 kodów EAN zawarty instrument dzielenia ryzyka polegał na gwarancji obniżenia ceny, po której lek nabędzie świadczeniodawca (tzw. rzeczywistej maksymalnej cenie zbytu),
- dla pozostałych zawarty został instrument łączący w sobie różne mechanizmy dzielenia ryzyka.

¹⁴² Dane prezentowane przez W. Matusewicza w referacie „Rola AOTMiT w ocenie propozycji RSA przedstawianych w raportach HTA” podczas X Forum Rynku Zdrowia (Warszawa, 23-24 października 2014 r.).

¹⁴³ Art. 67 ustawy o refundacji.

¹⁴⁴ Dane Narodowego Funduszu Zdrowia zaprezentowane podczas Międzynarodowej Konferencji Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego ISPOR POLAND 2013, która odbyła się 5 grudnia 2013 r. w Warszawie.

Wykres 9. Rodzaje zawartych RSA wg Narodowego Funduszu Zdrowia



Oznacza to, że stosowane w Polsce RSA mają najczęściej prosty finansowy charakter – bardziej złożone instrumenty nie są stosowane powszechnie, zarówno finansowe, jak i oparte na efektach zdrowotnych.

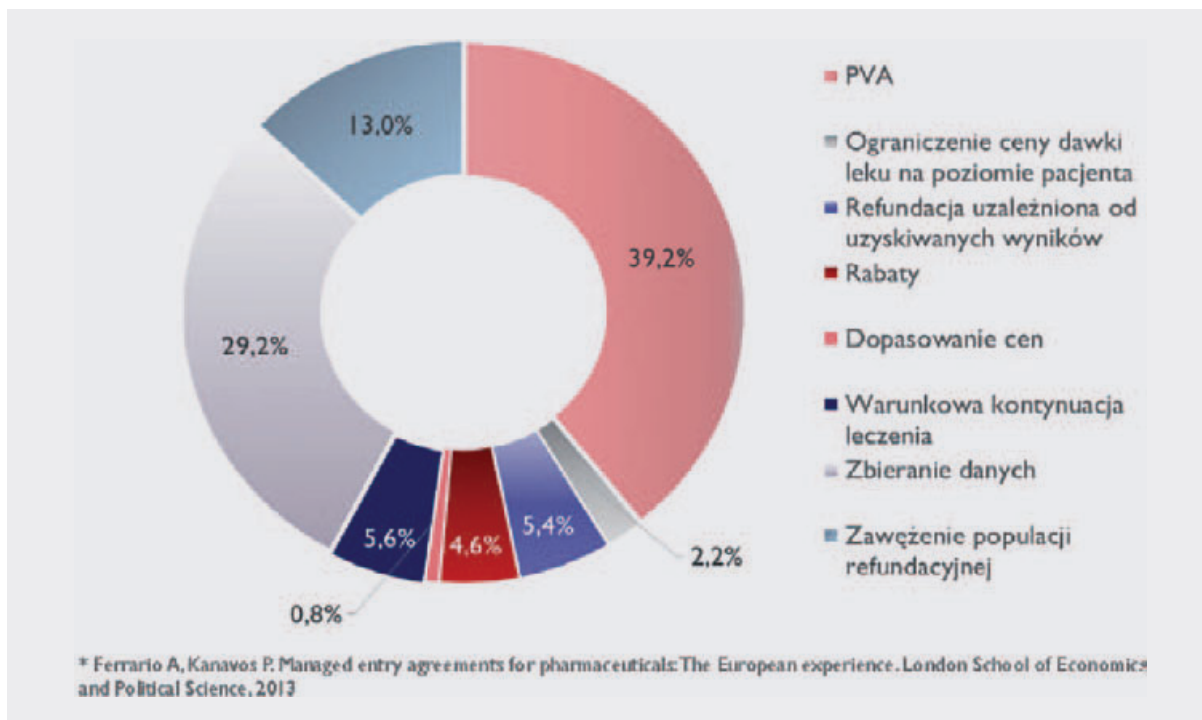
Stosowany obecnie w Polsce mechanizm **uzależnienia wysokości urzędowej ceny zbytu od zwrotu części uzyskanej refundacji** jest klasycznym porozumieniem typu *payback*, polegającym na ustaleniu w drodze negocjacji kwoty uzyskanej refundacji, którą wnioskodawca zobowiązany jest **zwrócić do NFZ**. Wysokość zwracanych kwot może zostać określona jako procent uzyskanej kwoty refundacji bądź jako określona kwota związana z liczbą (wolumenem) zrefundowanych opakowań. Rozliczenie może być dokonywane w formie zaliczek (z góry) lub wpłat należności (z dołu) w ujęciu miesięcznym, kwartalnym lub rocznym, często z zastrzeżeniem dokonania ostatecznego rozliczenia poszczególnych kwot na koniec danego roku rozliczeniowego, tj. po przyjęciu przez Radę NFZ uchwały zatwierdzającej sprawozdanie finansowe NFZ. Regulacja należnych kwot zwrotu dokonywana jest w postaci not obciążeniowych wystawianych przez NFZ.

Porozumienia oparte na **uzależnieniu wysokości urzędowej ceny zbytu od zapewnienia dostaw po obniżonej cenie** polegają na zobowiązaniu wnioskodawcy do dostarczenia objętej decyzją refundacyjną technologii lekowej po cenie niższej niż urzędowa cena zbytu określona w tej decyzji. Ze względu na przyjętą w polskim systemie refundacyjnym zasadę „sztucznych marż” oraz „sztucznych cen” dla leków dystrybuowanych w lecznictwie otwartym oraz cen maksymalnych w lecznictwie zamkniętym, zastosowanie tego typu RSA możliwe jest tylko w odniesieniu do technologii lekowych stosowanych w ramach świadczeń zdrowotnych udzielanych przez szpitale na podstawie umów zawartych z NFZ. Wskutek ustalenia takiego typu RSA w obrocie prawnie funkcjonują dwie ceny tej samej technologii lekowej. Jedna „oficjalna”, ujęta w wykazach refundacyjnych publikowanych w drodze obwieszczeń ministra zdrowia oraz druga „rzeczywista” (efektywna), ustalona w drodze negocjacji, po której ta technologia jest dostarczana do świadczeniodawców. Beneficjentami tego rodzaju porozumień obok płatnika publicznego są także świadczeniodawcy, dla których dostawy leków po obniżonej cenie przekładają się bezpośrednio na ograniczenia w wysokości środków skonsumowanych w ramach zawartych umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej. Z drugiej strony w kontekście zobowiązania wnioskodawcy wynikającego z takiego RSA, na gruncie polskich regulacji refundacyjnych problematyczne jest rozdzielenie tych zobowiązań od obowiązków przedsiębiorców zajmujących się obrotem hurtowym. Aktualnie realizacja takiego porozumienia polega na udzielaniu rabatów cenowych świadczeniodawcom, które są realizowane za pośrednictwem występujących w przetargach hurtowni farmaceutycznych – z następstwem w postaci korekty faktur dokumentujących sprzedaż.

Porozumienia mieszane stanowią zazwyczaj połączenie mechanizmów *payback* z mechanizmami innych instrumentów dzielenia ryzyka, najczęściej umów *cost-sharing* ze wskazaniem dodatkowo przedziałów (także populacyjnych), w ramach których przypisane będą poszczególne kwoty zwrotu lub rabaty.

Informacje przedstawione we wcześniejszym rozdziale pokazują, iż rodzaj i liczba zawieranych instrumentów jest zróżnicowana w zależności od kraju, a więc wynika z czynników lokalnych (mogą to być: prawodawstwo, polityka zdrowotna państwa, istniejący system opieki zdrowotnej, nabyte doświadczenia itp.¹⁴⁵). Jednakże ogólny obraz danych ze świata wskazuje, że w przeważającej większości zawierane są RSA finansowe (PVA, rabaty rzeczowe czy finansowe, dopasowanie cen, ograniczenie ceny dawki) – łącznie około 85% wszystkich typów, zaś oparte na wynikach badań lub pojedynczych pacjentów to około 13-15%, patrząc na kraje europejskie. Powyższe wnioski można wysnuć na podstawie przeglądu systematycznego RSA opisanego w publikacji Ferrario 2013¹⁴⁶, przeprowadzonego dla krajów Unii Europejskiej i Norwegii.

Wykres 10. Typy RSA na podstawie badania Ferrario 2013 w krajach europejskich



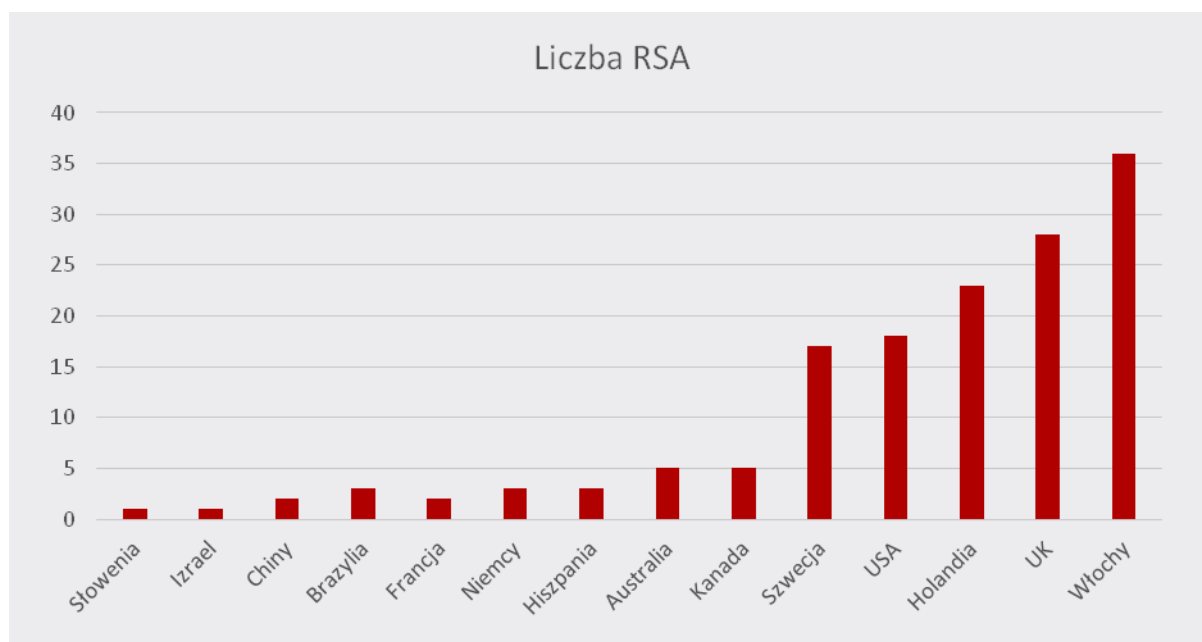
Pomimo iż warunkowe refundacje stanowią mniejszość podejmowanych decyzji, są one relatywnie często stosowane, zwłaszcza we Włoszech¹⁴⁷.

¹⁴⁵ Ferrario A, Kanavos P: Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. London School of Economics and Political Science, 2013.

¹⁴⁶ Ferrario A, Kanavos P: Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. London School of Economics and Political Science, 2013.

¹⁴⁷ Carlson J, Gries K, Yeung K: Current Status and Trends in Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Between Healthcare Payers and Medical Product Manufacturers. Applied Health Economics and Health Policy, 2014.

Wykres 11. Liczba RSA opartych na ocenie efektów zdrowotnych w poszczególnych państwach



Źródło: Carlson 2014

Instrumenty oparte na zwrocie części refundacji

W praktyce ministra zdrowia instrument oparty na zwrocie części uzyskanej refundacji przyjmuje różne szczegółowe warunki rozliczenia, jednakże przy zachowaniu jednolitej procedury. Rozliczenie dokonywane jest pomiędzy podmiotem odpowiedzialnym a Narodowym Funduszem Zdrowia. Działania w tym zakresie podejmuje Centrala Funduszu – Departament Ekonomiczno-Finansowy przedstawiający podmiotom noty obciążeniowe stanowiące podstawę płatności. Ze względu na charakter zwrotu nie jest możliwe obecnie obliczenie wysokości zwrotu na podstawie publicznie dostępnych danych publikowanych przez NFZ, kwestie poufności są więc zachowane.

Wysokość zwracanych kwot ustalana jest odmiennie w poszczególnych przypadkach i może zostać określona m.in. jako procent całkowitej kwoty uzyskanej z refundacji danego produktu, a także procent ceny urzędowej (np. urzędowej ceny zbytu) danego produktu lub kwota ryczałtowo zwracana od każdego zrefundowanego opakowania. Faktyczna wysokość zwrotu jest więc uzależniona od wolumenu sprzedanych produktów. Poszczególne instrumenty różnią się od siebie sposobem dokonywania zwrotu – mogą być płatne zarówno z dołu (po zakończeniu danego okresu i ukazaniu się oficjalnych danych dotyczących refundacji produktu w tym okresie – publikowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia¹⁴⁸), jak i z góry – w tym przypadku rozliczenie następuje w formie zaliczek płatnych w stałych okresach rozliczeniowych w oparciu o dane historyczne (najczęściej średniomiesięczny poziom sprzedaży w 3 ostatnich miesiącach, za które w kolejnym okresie dostępne są dane dotyczące refundacji produktu). Rozliczenie zarówno z dołu, jak i z góry odbywa się w stałych okresach rozliczeniowych: miesięcznych, dwumiesięcznych, kwartalnych lub rocznych, a także jednorazowo po upływie okresu obowiązywania decyzji. W przypadku rozliczeń w okresach częstszych niż okres sprawozdawczy Narodowego Funduszu Zdrowia – po sporządzeniu sprawozdania finansowego Funduszu i przyjęciu przez Radę Funduszu uchwały je zatwierdzającej – dokonywane jest rozliczenie końcowe, w ramach którego podmiot może zostać zobowiązany do dopłaty (np. w przypadku nieoszacowanych zaliczek) lub nadpłata może zostać zaliczona na poczet przyszłych wpłat.

¹⁴⁸ Prezes Narodowego Funduszu Zdrowia podaje co miesiąc do publicznej wiadomości informacje o wielkości kwoty refundacji i liczbie zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN – raporty te przygotowawane są przez Departament Gospodarki Lekami NFZ (art. 102 ust. 5 pkt 31 ustawy o świadczeniach).

Instrumenty oparte na rabacie finansowym (cenowym)

Rozwiązanie polegające na udzielaniu określonego w instrumencie rabatu od ceny urzędowej, za jaką (jako maksymalną) miałby świadczeniodawca nabyć produkt, zyskało znaczącą popularność ze względu na prostą konstrukcję i bezpośrednie przeciwdziałanie negatywnym skutkom związanym ze stosowaniem systemów cen referencyjnych w innych państwach. Dodatkowo pozwala na leczenie większej liczby pacjentów w ramach określonego budżetu. Rozwiązanie to stosowane jest wyłącznie w lecznictwie zamkniętym, gdzie finansowanie leków podanych przez świadczeniodawców oparte jest na kwotach z faktury, dokumentujących ich nabycie i przedstawionych Funduszo- wi do rozliczenia. Jednocześnie w ramach leków stosowanych w lecznictwie otwartym praktyką nadal pozostaje stosowanie sztywnych marż i cen urzędowych.

Ze względu na faktyczne ograniczenie wydatków po stronie świadczeniodawców skutkujące możliwością lepszego zarządzania posiadanym budżetem oraz zakresem udzielanych świadczeń, świadczeniodawcy są uznawani za kolejnego beneficjenta instrumentów tego rodzaju. Ze względu na sposób dokonywania rozliczeń pomiędzy świadczeniodawcami i Funduszem, w praktyce rozwiązanie okazało się stosunkowo kłopotliwe ze względu na konieczność częstokrotnego uzyskania wyjaśnień od podmiotu odpowiedzialnego celem ustalenia rzeczywistej realizacji instrumentu. Kolejnym ograniczeniem jest kwestia publikacji danych związanych z realizacją budżetu na refundację. Od stycznia 2012 roku publikowane są komunikaty Departamentu Ekonomiczno-Finansowego (DEF) Narodowego Funduszu Zdrowia, dotyczące rzeczywistej wielkości kwoty refundacji wraz z procentowym wykonaniem całkowitego budżetu na refundację i szczegółowymi kosztami, w tym refundacji aptecznej, refundacji w ramach programów lekowych i w ramach chemioterapii. Obowiązek ten powstał w związku z art. 102 ust. 5 pkt 31 ustawy o świadczeniach. Na tej podstawie Centrala NFZ publikuje informacje o wielkości kwoty refundacji i liczbie zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych, wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN narastająco od początku roku do danego okresu rozliczeniowego¹⁴⁹. W porównaniu z poprzednim mechanizmem RSA, ten sposób publikacji umożliwia identyfikację wielkości uzyskiwanych rabatów.

Zdecydowana większość instrumentów przyjętych przez ministra zdrowia w decyzjach refundacyjnych stanowi rozwiązania oparte na prostych mechanizmach rabatowych. Pozostałą grupę stanowią instrumenty o bardziej skomplikowanym sposobie dokonywania rozliczeń – np. określenia wysokości zwrotów dokonywanych na rzecz Funduszu, uzależnionej od wielkości obrotu, lub stanowiące połączenie obu powyższych rozwiązań. Wprowadzone zostały w szczególności instrumenty określające maksymalny poziom finansowania produktu ze środków publicznych, a więc przewidujące zwrot całkowitej kwoty uzyskanej z tytułu refundacji po przekroczeniu określonego w ramach instrumentu progu.

W dalszej części rozdziału szczegółowo opisano proces przygotowania, wdrażania i rozliczania powyższych instrumentów, wraz z odniesieniem do praktycznych skutków ich implementacji.

4.4. RSA – wniosek i postępowanie refundacyjne

Jak wskazano powyżej, ustawa o refundacji nie reguluje odrębnego postępowania – przypadku ustalania w ramach decyzji refundacyjnej instrumentów dzielenia ryzyka. Oznacza, iż określenie, jakie instytucje (minister zdrowia, Komisja Ekonomiczna czy przedstawiciele prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji) zajmują się oceną instrumentu, nie jest związane z jego postanowieniami – rodzajem ani zakresem czy skutkami finansowymi, a wyłącznie z tym, dla jakiego leku składany jest wniosek (w szczególności faktu posiadania – lub nie – odpowiednika finansowanego ze środków publicznych). Jak wskazano powyżej, wyłącznie w przypadku niektórych produktów wniosek podlega ocenie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, skutkiem czego w przypadku, gdy

¹⁴⁹ <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=2&artnr=6444>

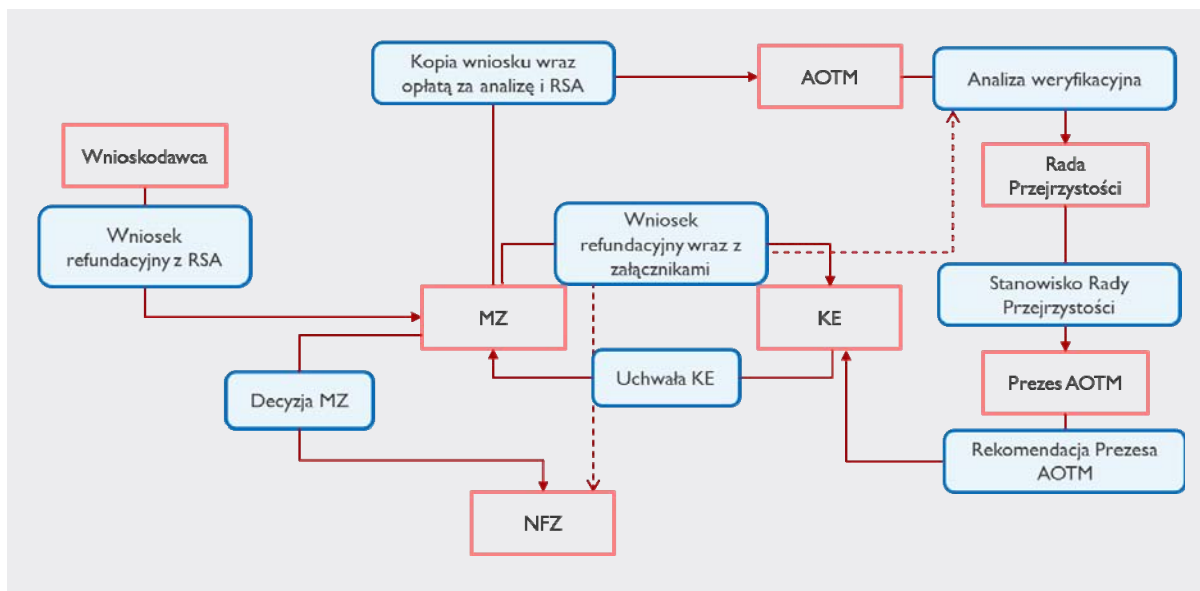
produkt ma odpowiednik¹⁵⁰ dotychczas finansowany ze środków publicznych lub wniosek dotyczy podwyższenia ceny urzędowej, ale nie jest uzasadniony kwestiami klinicznymi stosowania produktu – również sam instrument nie podlega ocenie Agencji.

Kolejne podrozdziały zostały poświęcone krótkiemu przedstawieniu instrumentów na każdym z etapów postępowania refundacyjnego:

- przygotowania i składania wniosku przez wnioskodawcę;
- przygotowania analizy weryfikacyjnej, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji;
- negocjacji prowadzonych z Komisją Ekonomiczną;
- wydawania decyzji refundacyjnej.

Wskazane etapy zostały przedstawione na schemacie 25.

Schemat 25. Postępowanie refundacyjne*



* Wykaz skrótów: MZ – minister zdrowia, AOTMiT – Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, KE – Komisja Ekonomiczna, NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia

Etap 1: RSA – przygotowanie i złożenie wniosku

Propozycja instrumentu dzielenia ryzyka składana jest przed podmiot odpowiedzialny wraz z wnioskiem o objęcie swojego produktu refundacją. Ustawa przewiduje, iż propozycja instrumentu stanowi element wniosku składanego do ministra zdrowia, na podstawie którego wszczynane jest postępowanie refundacyjne¹⁵¹. Ustawa o refundacji i wydane na jej podstawie rozporządzenie ministra zdrowia¹⁵² szczegółowo określają wzór i elementy wniosków, jakie może składać do ministra zdrowia podmiot, jednak żaden z elementów tego wniosku ani opracowane wzory nie odnoszą się w szczególny sposób do treści zawieranych w nich instrumentu dzielenia ryzyka.

¹⁵⁰ Ustawa o refundacji nadaje pojęciu odpowiednika znaczenie swoiste, definiując go jako lek zawierający tę samą substancję czynną oraz mający te same wskazania i tę samą drogę podania przy braku różnic postaci farmaceutycznej, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego mający ten sam albo zbliżony skład, zastosowanie lub sposób przygotowania lub wyrób medyczny mający takie samo przewidziane zastosowanie oraz właściwości (art. 2 pkt 13 ustawy o refundacji).

¹⁵¹ Art. 24 ust. 1 ustawy o refundacji określa rodzaje wniosków, które mogą zostać złożone przez podmiot do ministra zdrowia.

¹⁵² Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 20 grudnia 2012 r. w sprawie wzorów wniosków w zakresie refundacji leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobu medycznego (Dz.U. z 2013 r., poz. 44).

Sam formularz wniosku o objęcie refundacją pozostawia wnioskodawcy jedynie miejsce na zaznaczenie, iż w osobnym załączniku złożona jest propozycja wniosku. Jednocześnie składający wniosek ma obowiązek przedstawić informacje o warunkach refundacji danego produktu w innych państwach UE/EFTA, wraz z informacją o zawartych w nich instrumentach dzielenia ryzyka.

Jak wynika z rozporządzenia ministra zdrowia¹⁵³, w przypadku gdy wniosek podlega ocenie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji i zawarta jest w nim propozycja instrumentu dzielenia ryzyka, konieczne jest uwzględnienie jej skutków finansowych w przedkładanych analizach HTA¹⁵⁴.

Ustawa przewiduje ocenę skutków finansowych instrumentu dzielenia ryzyka przez Agencję, wyłącznie w przypadku, gdy jest przez nią rozpatrywany wniosek zgodnie z art. 35 ust. 1 ustawy o refundacji, tj. o:

- objęcie refundacją leku, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, wraz z analizami,
- podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, dla leku, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, jeżeli w uzasadnieniu wniosku są podane argumenty związane z efektem zdrowotnym, dodatkowym efektem zdrowotnym lub kosztami ich uzyskania.

W tych przypadkach wnioskodawca zobowiązany jest do przedstawienia w składanych analizach informacji z uwzględnieniem skutków proponowanego instrumentu.

Tabela 14. Zestawienie informacji przedstawianych w analizach HTA z uwzględnieniem i bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka

Oszacowanie kosztu uzyskania dodatkowego QALY, wynikającego z zastąpienia technologii opcjonalnych, w tym refundowanych technologii opcjonalnych, wnioskowaną technologią
Oszacowanie kosztu uzyskania dodatkowego LYG, wynikającego z zastąpienia technologii opcjonalnych, w tym refundowanych technologii opcjonalnych, wnioskowaną technologią – w przypadku braku możliwości wyznaczenia kosztu uzyskania dodatkowego QALY
Oszacowanie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii, przy której koszt uzyskania dodatkowego QALY, a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu – koszt uzyskania dodatkowego LYG, jest równy wysokości progu ustalonego w wysokości trzykrotności PKB na jednego mieszkańca
Oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej: wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana, a także docelowej, wskazanej we wniosku, oraz populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana
Oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister zdrowia wyda decyzję refundacyjną
Oszacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje
Ilościowa prognoza rocznych wydatków NFZ, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister zdrowia nie wyda decyzji refundacyjnej
Ilościowa prognoza rocznych wydatków NFZ, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, przy założeniu, że minister zdrowia wyda decyzję refundacyjną
Oszacowanie dodatkowych wydatków NFZ, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy ww. prognozami, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii (wariant minimalny i maksymalny)

Czas złożenia wniosku przez podmiot nie jest narzucony i zależy do jego uznania. Wraz ze złożeniem dokumentów wszczynane jest przez ministra zdrowia postępowanie administracyjne, którego pierwszym etapem jest kontrola formalna wniosku. W zakresie instrumentów dzielenia ryzyka ogranicza się ona do sprawdzenia, czy propozycja instrumentu została zadeklarowana przez wnioskodawcę, a jeżeli tak – czy została dołączona do wniosku.

¹⁵³ Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. z 2012 r., poz. 388).

¹⁵⁴ Analizy: kliniczna, ekonomiczna, wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz, gdy skutkiem refundacji byłby wzrost wydatków płatnika – analiza racjonalizacyjna.

Sama treść złożonej propozycji, podobnie jak braki w zakresie analiz i oszacowań wskazanych w tabeli 14, nie podlegają ocenie na tym etapie postępowania.

W praktyce jednak propozycja taka może zostać przedstawiona na każdym etapie postępowania i bardzo często pojawia się ona jako wynik negocjacji prowadzonych z Komisją Ekonomiczną. Instrument dzielenia ryzyka może stanowić również element osobnego wniosku o zmianę już wydanej decyzji refundacyjnej.

Etap 2: Ocena RSA w Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji – Rada Przejrzystości i rekomendacje prezesa Agencji

Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nie dokonuje oceny wszystkich wniosków zawierających instrument dzielenia ryzyka. Co do zasady obejmuje ona wnioski o:

- objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla produktów nie mających odpowiednika dotychczas finansowanego ze środków publicznych, lub
- podwyższenie urzędowej ceny zbytu ze względu na uzyskany efekt zdrowotny, dodatkowy efekt zdrowotny lub koszty ich uzyskania.

Pośrednim skutkiem takiego stanu jest faktyczne ograniczenie przypadków pełnej oceny instrumentów dzielenia ryzyka, które zostały zaproponowane na etapie późniejszym niż złożenie wniosku refundacyjnego. W tym jednak zakresie w ostatnim czasie minister zdrowia przyjął praktykę zlecenia prezesowi Agencji odrębnych analiz w tym zakresie¹⁵⁵.

W przypadku zleceń w ramach standardowego postępowania refundacyjnego działania prowadzone w Agencji obejmują następujące etapy:

- ocenę zgodności analiz farmakoekonomicznych załączonych do złożonych wniosków z wymogami minimalnymi określonymi w rozporządzeniu ministra zdrowia¹⁵⁶, w tym w zakresie uwzględnienia w analizach skutków proponowanych instrumentów dzielenia ryzyka¹⁵⁷;
- przygotowanie analizy weryfikacyjnej, czyli oceny merytorycznej załączonych do wniosku analiz HTA, przeprowadzanej przez pracowników Agencji Oceny Technologii Medycznych;
- wydanie stanowiska przez Radę Przejrzystości;
- wydanie rekomendacji przez prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Analiza weryfikacyjna zawiera m.in.:

- rekomendacje w zakresie refundacji, wraz z warunkami finansowania ze środków publicznych, pochodzące z innych państw;
- ocenę krytyczną załączonych do wniosku analiz pod względem metodyki HTA, wraz z wnioskami;
- wyliczenie wartości progowej ceny zbytu netto, przy której stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych nie jest większy od progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia ze skorygowaną jakością (QALY) lub bez niej (LYG) w wariantach uwzględniających propozycję RSA i bez niej – dla danej konkretnej populacji docelowej.

¹⁵⁵ Zadania zlecone na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy o świadczeniach.

¹⁵⁶ Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. z 2012 r., poz. 388).

¹⁵⁷ Stwierdzenie niezgodności na tym etapie skutkuje wezwaniem wnioskodawcy do uzupełnienia braków, a w przypadku nieuzupełnienia – rozpatrywaniem w oparciu o oryginalnie złożony wniosek i jego załączniki.

Dokumentacja złożona przez wnioskodawcę w zakresie analiz HTA jest publikowana wraz z analizą weryfikacyjną w Biuletynie Informacji Publicznej AOTMiT. Publikowane dane nie zawierają szczegółowych informacji o zawartej we wniosku propozycji instrumentu dzielenia ryzyka¹⁵⁸. Wnioskodawca oraz inne podmioty mogą w terminie 7 dni od dnia publikacji zgłaszać uwagi do poszczególnych dokumentów.

Stanowisko Rady Przejrzystości obejmuje w szczególności opinię, czy dany produkt powinien być finansowany ze środków publicznych w ramach zaproponowanych warunków finansowania, w tym także z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka. W przypadku wniosku obejmującego propozycję instrumentu Rada wydaje opinię, biorąc pod uwagę cenę efektywną, wynikającą z jego zastosowania. Na podstawie przedstawionej oceny efektywnej obliczany jest również wpływ na budżet płatnika publicznego. Rada jest zobowiązana do uzasadnienia swojego stanowiska. Dyskusje prowadzone przez Radę Przejrzystości¹⁵⁹ dotyczą finansowych skutków wdrażania RSA, jednakże czasem obejmują również aspekty praktyczne implementowania danego instrumentu, w oparciu o opinie przedstawicieli instytucji publicznych będących członkami Rady, w tym przede wszystkim NFZ.

Rekomendacja, którą bierze pod uwagę minister zdrowia, jest wydawana przez prezesa AOTMiT. Jej zakres jest analogiczny względem stanowiska Rady Przejrzystości i przygotowany w oparciu o nią. Zarówno stanowisko Rady Przejrzystości, jak i rekomendacja prezesa AOTMiT odnoszą się do szczegółowych warunków objęcia refundacją w zakresie wskazań, poziomu odpłatności, kwalifikacji do istniejącej bądź nowej grupy limitowej oraz propozycji instrumentów dzielenia ryzyka, a także, w przypadku produktów stosowanych w ramach programów lekowych – ich treści.

Ustawa o refundacji ani żadne inne przepisy nie przewidują szczegółowego schematu postępowania w przypadku przedstawionej propozycji instrumentu dzielenia ryzyka, pomimo iż może ona istotnie wpływać na czas potrzebny na ocenę wniosku – całe postępowanie w Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji ma z mocy prawa toczyć się nie dłużej niż 60 dni. Jednocześnie z reguły dyskusja nad instrumentem dzielenia ryzyka nie obejmuje kwestii praktycznych związanych z jego wdrożeniem, co może skutkować analizowaniem propozycji, która z przyczyn technicznych np. nie została by zaaprobowana przez ministra zdrowia. Brak jest w szczególności przepisów pozwalających na udział wnioskodawcy w dyskusji nad szczegółowymi warunkami instrumentu na tym etapie postępowania, choćby w zakresie jego wykonalności.

Etap 3: Negocjacje wnioskodawcy z Komisją Ekonomiczną

W praktyce najistotniejszym etapem postępowania refundacyjnego z punktu widzenia wprowadzania instrumentów dzielenia ryzyka są negocjacje prowadzone z Komisją Ekonomiczną¹⁶⁰. Komisja Ekonomiczna powołana jest do negocjowania szczegółowych warunków refundacji, w tym treści instrumentów dzielenia ryzyka. Po przeprowadzeniu negocjacji przez zespół negocjacyjny Komisji Ekonomicznej, który składa się z 5 losowo wybieranych członków Komisji, pełen skład Komisji przyjmuje stanowisko w sprawie rekomendacji finansowania produktu w formie uchwały.

Dzięki udziałowi przedstawicieli prezesa NFZ Komisja Ekonomiczna ma większe możliwości w zakresie prowadzenia dyskusji w odniesieniu do oceny praktycznych aspektów implementacji zaproponowanego instrumentu. Komisja Ekonomiczna nie ma też praktyki korzystania z zewnętrznych ekspertów (choćby z innych instytucji publicznych) dla dyskusowania bardziej skomplikowanych elementów wniosku podmiotu odpowiedzialnego, co może mieć szczególne konsekwencje w przypadku instrumentu dzielenia ryzyka. Należy mieć na uwadze, iż brak jest

¹⁵⁸ Szczegółowe zasady publikowania informacji publicznej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych znaleźć można na stronie internetowej Agencji pod adresem: <http://www.aotm.gov.pl/www/index.php?id=876>

¹⁵⁹ W skład Rady Przejrzystości wchodzi: 10 osób posiadających doświadczenie, uznany dorobek oraz co najmniej stopień naukowy doktora nauk medycznych lub dziedzin pokrewnych, lub innych dziedzin odpowiednich dla przeprowadzenia oceny świadczeń opieki zdrowotnej, w tym etyki, 4 przedstawicieli ministra właściwego do spraw zdrowia, 2 przedstawicieli prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia, 2 przedstawicieli prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych oraz 2 przedstawicieli rzecznika praw pacjenta (art. 31s ust. 2 ustawy o świadczeniach).

¹⁶⁰ W skład Komisji Ekonomicznej wchodzi: 12 przedstawicieli ministra zdrowia oraz 5 przedstawicieli prezesa Funduszu (art. 17 ust. 2 ustawy o refundacji).

możliwości bezpośredniego odniesienia się do stanowiska Komisji Ekonomicznej, inaczej niż w ramach uprawnień przysługujących na podstawie Kodeksu postępowania administracyjnego, a Komisja Ekonomiczna nie ma praktyki przedstawiania uzasadnień dla wypracowanych przez siebie stanowisk, w tym szczególnie w zakresie RSA.

Etap 4: Wydanie decyzji refundacyjnej

Po zakończeniu negocjacji i wydaniu uchwały przez Komisję Ekonomiczną minister zdrowia w drodze decyzji wydaje rozstrzygnięcie w zakresie wniosku refundacyjnego. Załącznikiem do decyzji jest ustalony instrument dzielenia ryzyka. Ustawa refundacyjna enumeratywnie wymienia trzynaście kryteriów, które minister zdrowia powinien brać pod uwagę podczas wydawania decyzji refundacyjnej. W świetle obowiązujących przepisów ustawy o refundacji, w zakresie finansowania produktu oraz wysokości jego ceny urzędowej minister zdrowia jest zobowiązany do podjęcia decyzji w oparciu o wskazane w tej ustawie przesłanki, które tylko w sposób pośredni dotyczą kwestii RSA.

Elementy brane pod uwagę przy wydawaniu decyzji w zakresie refundacji:

- stanowisko Komisji Ekonomicznej,
- rekomendacja prezesa AOTMiT,
- istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,
- skuteczność kliniczna i praktyczna,
- bezpieczeństwo stosowania,
- relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania,
- stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym,
- konkurencyjność cenowa,
- wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców,
- istnienie alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania,
- wiarygodność i precyzja oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt. 3-10 powyżej,
- priorytety zdrowotne określone w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie priorytetów zdrowotnych (Dz.U. z 2009 Nr 137, poz. 1126),
- wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz.U. z 2000 r., Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu – koszt uzyskania dodatkowego roku życia.

Szczególną rolę przy podejmowaniu decyzji przez ministra zdrowia stanowią rekomendacja prezesa Agencji oraz stanowisko Komisji Ekonomicznej. Wynika to z faktu, iż co do zasady minister zdrowia nie prowadzi bezpośrednich negocjacji czy rozmów z podmiotami odpowiedzialnymi, a w zakresie wiedzy specjalistycznej dotyczącej efektywności kosztowej, wpływu na budżet płatnika i innych minister zdrowia musi polegać na efektach prac Agencji albo Komisji Ekonomicznej.

W przypadku niesatysfakcjonującej decyzji ministra zdrowia, również ze względu na treść lub charakter zawartego czy niezawartego instrumentu dzielenia ryzyka, stronie przysługuje wniosek o ponowne rozpatrzenie sprawy, co jednak ma tylko tę konsekwencję, że wniosek jest lub powinien być rozpatrywany ponownie przez ministra zdrowia, który działa tym razem jako organ odwoławczy.

5. RSA w Polsce – wdrażanie i implementacja

Implementacja i realizacja przyjętych instrumentów dzielenia ryzyka to bardzo skomplikowane zagadnienia, dla których ze względu na fakt, iż nie zostały nigdzie uregulowane bezpośrednio, stosuje się przepisy już istniejących aktów prawnych, regulujących poszczególne etapy tego procesu.

Udział poszczególnych podmiotów w implementacji i realizacji instrumentów zawartych w decyzjach refundacyjnych w dużej mierze zależy od ich typu. W poszczególne etapy zaangażowani są w szczególności:

- minister zdrowia;
- Narodowy Fundusz Zdrowia;
- świadczeniodawcy;
- podmioty prowadzące apteki;
- przedsiębiorcy prowadzący hurtownie farmaceutyczne;
- wnioskodawcy, którzy uzyskali decyzję o objęciu refundacją oraz ustaleniu urzędowej ceny zbytu.

Wiodącą rolę w zakresie implementacji i realizacji instrumentów dzielenia ryzyka pełni Narodowy Fundusz Zdrowia – zarówno centrala, jak i oddziały wojewódzkie. Wynika to z faktu, iż zgodnie z ustawą o świadczeniach na prezesie NFZ spoczywa obowiązek monitorowania, nadzorowania i kontrolowania realizacji instrumentów dzielenia ryzyka oraz komunikacji z ministrem zdrowia w przypadku niewypełnienia przez podmiot odpowiedzialny jego postanowień¹⁶¹.

Co do zasady rola ministra zdrowia jest ograniczona wyłącznie do udziału w postępowaniach w przypadku naruszeń postanowień instrumentów dzielenia ryzyka przez wnioskodawców. Zgodnie z ustawą o refundacji jest on uprawniony do wymierzania wnioskodawcy kary pieniężnej w drodze decyzji administracyjnej, w kwocie stanowiącej dwukrotność poniesionych przez NFZ kosztów refundacji związanych z niedotrzymaniem postanowień decyzji. Kara ta może zostać wymierzona w ramach osobno toczącego się postępowania administracyjnego, które minister zdrowia wszczyna z urzędu na podstawie informacji, jakie otrzymał w tym zakresie od prezesa NFZ. W praktyce postępowanie to jest wykorzystywane do wyjaśniania wszystkich wątpliwości (bez uprzedniego bezpośredniego wyjaśniania ich z odpowiednimi instytucjami, przed zawiadomieniem ministra zdrowia o potencjalnych naruszeniach) w związku z realizacją instrumentów dzielenia ryzyka, co istotnie wpływa na czas rozliczania przypadków, gdzie występuje niezgodność wynikająca np. z faktur przedstawionych Narodowemu Funduszowi Zdrowia do rozliczenia przez świadczeniodawców.

Raport przedstawia poniżej kwestie wdrażania i realizacji w odniesieniu do instrumentów dzielenia ryzyka stosowanych w przypadku leków refundowanych w ramach leczenia otwartego (dostępnych w aptece na receptę) oraz leczenia zamkniętego (programów lekowych i chemioterapii), z uwzględnieniem poszczególnych etapów procesu w odniesieniu do pozostałych interesariuszy systemu:

¹⁶¹ Art. 102 ust. 5 pkt 32 ustawy o świadczeniach.

- wdrażania na poziomie Narodowego Funduszu Zdrowia;
- zawierania przez Narodowy Fundusz Zdrowia umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej ze świadczeniodawcami;
- nabywania produktów przez świadczeniodawców;
- udzielania świadczeń opieki zdrowotnej świadczeniobiorcom;
- kontroli realizacji instrumentów dzielenia ryzyka.

W niniejszym rozdziale przedstawione zostały zagadnienia bezpośrednio związane z realizacją instrumentów dzielenia ryzyka, które pojawiają się na każdym z etapów. Poszczególne części zawierają podsumowanie najważniejszych aktów prawnych, które mają do nich zastosowanie, oraz przedstawienie roli biorących w nich udział uczestników.

Autorzy raportu uważają, iż dla praktyki i przyszłości instrumentów dzielenia ryzyka niezwykle istotne jest spojrzenie całościowe na postępowanie refundacyjne i realizację świadczeń oraz praktyczne aspekty ich finansowania. Są to zagadnienia niezwykle blisko ze sobą powiązane, a w rzeczywistości istotne znaczenie dla realizacji instrumentów mają zagadnienia szczególne, które należy mieć na uwadze w przypadku zmian praktyki lub nowelizacji obowiązujących przepisów. Z tego też powodu Załącznik nr 2 do raportu stanowi przewodnik po tych procesach, ze szczególnym uwzględnieniem zagadnień kluczowych dla instrumentów, takich jak: szczegółowe informacje zawierane w ogłoszeniach o konkursach ofert dla udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej, informacje zbierane w poszczególnych systemach informatycznych oraz przekazywane w odpowiednich komunikatach elektronicznych pomiędzy świadczeniodawcami a Narodowym Funduszem Zdrowia czy procedury nabywania produktów przez świadczeniodawców i inne.

W kolejnych podrozdziałach przedstawione zostały instrumenty dzielenia ryzyka stosowane w lecznictwie otwartym i zamkniętym. Wyróżnienie ich jest konieczne ze względu na różne prawa i obowiązki podmiotów biorących udział w systemie (w szczególności odmienny sposób działania Narodowego Funduszu Zdrowia w obu przypadkach), sposób nabywania produktów (m.in. stosowanie zamówień publicznych przez świadczeniodawców w lecznictwie zamkniętym) czy wydawanie ich pacjentowi, a przez to wpływ na zbierane i przetwarzane informacje.

Instrumenty dzielenia ryzyka w lecznictwie otwartym

Najważniejsze akty prawne:

- Ustawa o refundacji – reguluje w szczególności ceny i marże stosowane w lecznictwie otwartym, a także zawieranie umów na realizację recept przez Narodowy Fundusz Zdrowia z aptekami oraz trybu rozliczania i kontroli ich realizacji, a także obowiązków aptek;
- Ustawa – Prawo farmaceutyczne – reguluje zasady obrotu produktami leczniczymi oraz prowadzenia i działalności aptek oraz hurtowni farmaceutycznych.

Uczestnicy:

- Narodowy Fundusz Zdrowia – zawieranie umów z aptekami i ich rozliczanie oraz kontrola aptek, a także rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka z wnioskodawcą;
- apteki – obrót detaliczny lekami, rozliczanie zrealizowanych recept refundowanych;
- hurtownie – obrót hurtowy lekami;
- wnioskodawcy – wprowadzanie leków do obrotu, rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka.

Obecnie stosowane instrumenty dzielenia ryzyka oparte są przede wszystkim na zwrocie (od opakowania, *payback* lub PVA) przez wnioskodawcę części uzyskanej refundacji na rzecz Narodowego Funduszu Zdrowia.

Stosowane instrumenty obejmują zarówno zwrot na podstawie ceny opakowania leku, jak i zwrot związany z przekroczeniem progu maksymalnego pełnego finansowania danego produktu ze środków publicznych (również

o charakterze złożonym, w przypadku których określonych jest kilka takich progów). Wprowadzane instrumenty są relatywnie proste w realizacji z powodu wystandaryzowanego procesu zbierania danych w obrocie aptecznym oraz z powodu sztywnych cen i marż w obrocie. W realizacji instrumentów dzielenia ryzyka apteki, hurtownie i świadczeniodawcy pełnią swoją rolę wyłącznie biernie – poprzez wystawianie recept, obrót lekami i ich wydawanie świadczeniobiorcom.

Powyższa charakterystyka instrumentów stosowanych w odniesieniu do leków dostępnych w aptece na receptę wynika z faktu, iż zgodnie z ustawą o refundacji urzędowe ceny oraz marże leków refundowanych o tej kategorii dostępności są co do zasady stałe (tzn. nie może być od nich udzielony rabat w obrocie hurtowym ani detalicznym) i takie same we wszystkich aptekach w Polsce. Leki refundowane mają poziomy odpłatności oraz limit finansowania wyznaczone na zasadach określonych w ustawie o refundacji, w zależności od przyznanej im grupy limitowej. W przypadku zawarcia instrumentu obowiązują te same zasady ustalania grup limitowych oraz poziomu odpłatności pacjentów.

Ustawa o refundacji nie przewiduje w przypadku zawarcia instrumentu dzielenia ryzyka możliwości zmiany zasad ustalania poziomu odpłatności (na dowolny, inny niż przyjęty w ustawie) ani ustalenia odrębnej grupy limitowych wyłącznie na tej podstawie (pomimo iż w ramach instrumentów w sposób praktycznie dowolny możliwe jest określenie wielu innych parametrów). Co do zasady odrębne grupy limitowe są ustalane dla danego leku przede wszystkim w przypadku odmiennej skuteczności lub wskazań refundacyjnych niż dla leków w utworzonych już grupach limitowych¹⁶².

Tworzenie grup limitowych

Wspólna grupa limitowa obejmuje leki posiadające tę samą nazwę międzynarodową albo inne nazwy międzynarodowe, ale podobne działanie terapeutyczne i zbliżony mechanizm działania, w przypadku gdy są refundowane w tych samych wskazaniach i mają podobną skuteczność.

Minister zdrowia może utworzyć:

- odrębną grupę limitową, w przypadku gdy droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób ma wpływ na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny;
- wspólną grupę limitową, w przypadku gdy podobny efekt zdrowotny lub podobny dodatkowy efekt zdrowotny uzyskiwany jest pomimo odmiennych mechanizmów działania leków.

Jednocześnie istotne jest zwrócenie uwagi, że ustawa o refundacji dopuszcza w przypadku zawarcia w decyzji instrumentów dzielenia ryzyka, by (w drodze wyjątku od zasad ogólnych określonych w jej postanowieniach) obejmowały one również m.in. korzyści majątkowe lub osobiste dla świadczeniobiorców oraz osób uprawnionych związane z realizacją recept¹⁶³, co w praktyce nie jest wykorzystywane. Wprowadzenie rozwiązań polegających na indywidualizacji skutków wprowadzenia refundacji produktów (np. poprzez ustalenie samodzielnych grup limitowych dla leków obejmowanych RSA lub poziomów odpłatności innych niż obecnie określa ustawa o refundacji) albo znacznym zwiększeniu liczby zdarzeń związanych z realizacją instrumentu (np. płatności do pacjenta) mogłoby spowodować znacznie utrudnienia w funkcjonowaniu systemu – np. poprzez zwiększenie zakresu obowiązków aptek.

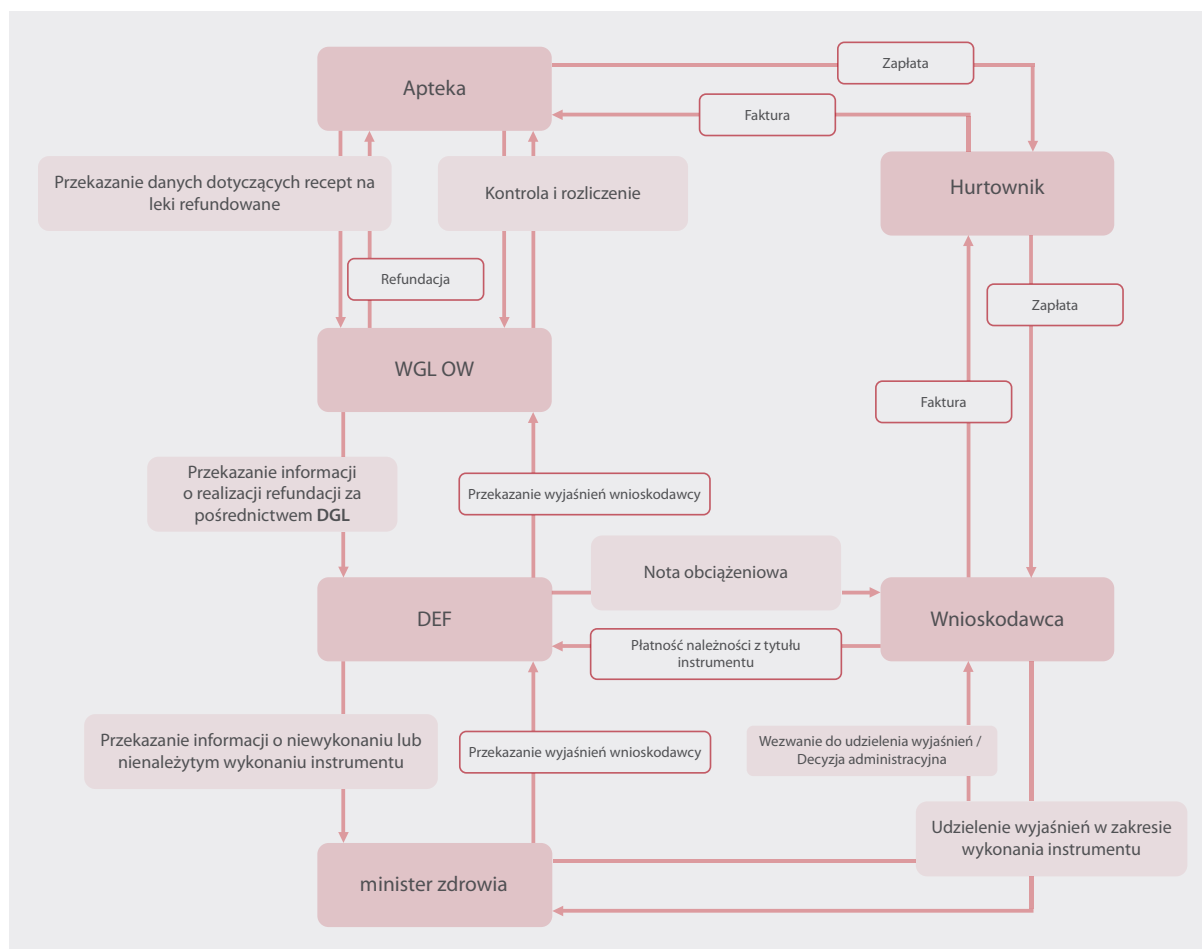
Ze względu na stosowanie obecnie w stosunku do leków dostępnych w aptekach na receptę wyłącznie instrumentów o charakterze finansowym nie istnieje dodatkowo konieczność angażowania aptek czy hurtowników w realizację tego typu instrumentów. W przypadku wprowadzenia skomplikowanych finansowych instrumentów (np. opartych na dokładnym pomiarze zużycia leków przez pacjenta) czy instrumentów opartych na refundacji warunkowej (np. na podstawie prowadzonych przez wnioskodawców badań/rejestrów) konieczne będzie zbieranie danych bezpośrednio od pacjentów lub lekarzy, a aktywny udział aptek w realizacji instrumentów nie jest konieczny.

¹⁶² Art. 15 ust. 1- 3 ustawy o refundacji.

¹⁶³ Art. 49 ust. 3 ustawy o refundacji.

Rozliczanie umów dzielenia ryzyka w lecznictwie otwartym

Schemat 26. Refundacja i rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka w lecznictwie otwartym



Rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka odbywa się na podstawie agregowanych danych, pochodzących ze wszystkich aptek ogólnodostępnych i punktów aptecznych, z których każdy oddział wojewódzki Narodowego Funduszu Zdrowia przygotowuje miesięczne raporty (zbiorcze i szczegółowe) wysyłane do Departamentu Gospodarki Lekiem (DGL) w Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia.

Zagregowane na poziomie centralnym dane w postaci pliku programu Excel prezentowane są narastająco w ciągu roku. Dane te publikowane są w formie tzw. komunikatu Departamentu Gospodarki Lekami – obejmują one:

- kod EAN produktu,
- liczbę zrefundowanych opakowań jednostkowych,
- kwoty z tytułu refundacji.

Dane te stanowią informację publiczną, powszechnie dostępną w formie elektronicznej w Biuletynie Informacji Publicznej Narodowego Funduszu Zdrowia. Publikowane są z trzymiesięcznym opóźnieniem, co oznacza, że np. powyższe dane za okres od stycznia do kwietnia danego roku są widoczne w formie komunikatu dopiero w lipcu, często także synchronicznie do publikacji projektu obwieszczenia ministra zdrowia, które – mimo ich narastającego charakteru – umożliwiają weryfikację poprawności wyliczeń Ministerstwa Zdrowia w zakresie ustalenia podstawy limitu w grupach limitowych.

Rozliczenie instrumentów prowadzone jest przez Departament Ekonomiczno-Finansowy (DEF) Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia. Jego realizacja odbywa się w okresach stosownych do postanowień ministra zdrowia dotyczących danego instrumentu. Ma więc charakter indywidualny i wymaga dokładnej analizy każdej decyzji, dla właściwego zinterpretowania sposobu obliczania ewentualnej zaliczki czy wyliczenia należności. Wartość zwrotu jest ustalana przez DEF na podstawie danych opublikowanych przez DGL, o których mowa powyżej, w celu bieżącego rozliczania. Na podstawie dokonanych w oparciu o nie wyliczeń, DEF kieruje do firmy farmaceutycznej notę księgową, która jest podstawą dokonywania płatności na rzecz NFZ.

Biorąc pod uwagę możliwość wnoszenia przez aptekę korekt do okresów zamkniętych tylko przez okres trzech miesięcy od daty ich zamknięcia, dane publikowane w komunikatach DGL wydają się danymi nie podlegającymi dużej zmienności w czasie po ich publikacji. Istotne jest wskazanie, że dane te nie obejmują wyników kontroli prowadzonych przez oddziały NFZ, które w wielu przypadkach mogą zmienić poziom refundacji i pozwalają na identyfikację danych niepewnych w publikacjach. Niemniej jednak wiele decyzji refundacyjnych w treści instrumentów opartych na zwrocie zawiera zastrzeżenie przeprowadzenia korekty należności rozliczonej w ramach danego instrumentu. Korekty te przyjmują postać rozliczeń rocznych, które realizowane są po wydaniu uchwały rady NFZ, stanowiącej de facto zatwierdzenie i zamknięcie roku finansowego Narodowego Funduszu Zdrowia.

Kontrola realizacji instrumentu w lecznictwie otwartym

Ze względu na rodzaj stosowanych obecnie instrumentów apteki realizujące recepty na leki refundowane nie są zaangażowane w rozliczenie ani kontrolę realizacji instrumentów. Udział w niej biorą wyłącznie NFZ oraz wnioskodawca. Kontrola realizacji instrumentu sprowadza się do weryfikacji prawidłowości wypisania recept, powiązania określonych kodów EAN z wypisaną receptą oraz terminowości i poprawności czynności stricte rozliczeniowych opisanych w instrumencie.

Instrumenty dzielenia ryzyka w lecznictwie zamkniętym – programy lekowe i chemioterapia

Najważniejsze akty prawne:

- Ustawa o świadczeniach (wraz z aktami wykonawczymi) – zawieranie i realizacja umów ze świadczeniodawcami, zakres zbieranych i przekazywanych przez świadczeniodawców danych odnośnie udzielonych świadczeń opieki zdrowotnej, udzielanie świadczeń gwarantowanych, rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka.
- Inne istotne akty prawne – regulujące szczegółowo poszczególne etapy związane z realizacją udzielania świadczeń w lecznictwie zamkniętym, a przez to związane z realizacją instrumentów dzielenia ryzyka – są przedstawione w poszczególnych działach poniżej oraz w załączniku.

Uczestnicy:

- Narodowy Fundusz Zdrowia (Centrala NFZ oraz oddziały wojewódzkie) – wdrażanie świadczeń gwarantowanych – w szczególności wydawanie zarządzeń prezesa NFZ, zawieranie umów o udzielenie świadczeń opieki zdrowotnej ze świadczeniodawcami, ich rozliczanie oraz kontrola, a także rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka z wnioskodawcą;
- świadczeniodawcy – udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej na podstawie zawartych umów, nabywanie leków, zbieranie i przekazywanie danych dotyczących udzielonych świadczeń, w przyszłości możliwy również udział bezpośredni w realizacji instrumentów dzielenia ryzyka (w szczególności oparty na wynikach klinicznych – *outcome based*);
- hurtownie – obrót hurtowy lekami;
- wnioskodawcy – wprowadzanie leków do obrotu, w tym sprzedaż do świadczeniodawców, rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka.

Obecnie stosowane są najczęściej instrumenty dzielenia ryzyka oparte na:

- zwrocie przez wnioskodawcę części uzyskanej refundacji na rzecz Narodowego Funduszu Zdrowia;
- zapewnieniu możliwości nabycia leku przez świadczeniodawcę po ustalonej cenie, niższej niż cena urzędowa publikowana w obwieszczeniu ministra zdrowia (tzw. rzeczywistej maksymalnej cenie zbytu);
- mechanizmach złożonych: uwzględniających różne progi dla zwrotów, a także różne mechanizmy ich wyliczeń, jak również stanowiących połączenie obu powyższych typów.

Wdrażanie świadczeń gwarantowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia

Najważniejszym etapem wdrażania świadczeń gwarantowanych z rodzaju programów lekowych i chemioterapii są wstępne prace prowadzone przez centralę Narodowego Funduszu Zdrowia, których celem jest przygotowanie odpowiednich zarządzeń prezesa NFZ, szczegółowo regulujących zasady i warunki zawierania umów o udzielania świadczeń gwarantowanych, a także zakres i sposób udzielania tych świadczeń. Powyższe zarządzenia regulują również istotne elementy związane z realizacją instrumentów dzielenia ryzyka (bez informacji poufnych – cen i innych szczegółowych zapisów decyzji refundacyjnych). Prace nad zarządzeniami prowadzone są w Departamencie Gospodarki Lekami Narodowego Funduszu Zdrowia. Przygotowane zarządzenie publikowane jest na stronie internetowej NFZ dla potrzeb konsultacji.

Informacje na temat zawieranych instrumentów Centrala NFZ (DGL) otrzymuje wraz z przekazaniem decyzji oraz opublikowaniem obwieszczenia przez ministra zdrowia. Jeszcze przed oficjalnym otrzymaniem informacji NFZ posiada dane o potencjalnych instrumentach już na etapie prac Komisji Ekonomicznej (ze względu na fakt, iż przedstawiciele prezesa NFZ są członkami tej Komisji). Jednocześnie na etapie rozstrzygania wniosku przez ministra zdrowia, odbywają się konsultacje z Funduszem w zakresie zasadności refundacji oraz zawierania instrumentu.

Proces wdrażania świadczeń w lecznictwie zamkniętym oddala w czasie faktyczne rozpoczęcie ich udzielania, co ma istotny wpływ zarówno na rozliczenia (w zakresie dostępności danych i przewidywanych kosztów), jak i na celowość wprowadzania instrumentów opartych na wynikach terapii, które z zasady w wielu państwach przyjmowane są na dłuższy okres (przynajmniej 5 lat), co ma służyć umożliwieniu zgromadzenia odpowiednich danych i faktycznemu uzyskaniu celu, w jakim zawarto dany instrument (np. weryfikacja skuteczności leczenia konieczna dla podjęcia decyzji o dalszym finansowaniu terapii ze środków publicznych). Zgodnie z ustawą o refundacji pierwsza decyzja o objęciu refundacją produktu wydawana jest na okres 2 lat¹⁶⁴, co może istotnie zaważyć na możliwości realizowania instrumentów, które wymagają dłuższego czasu obowiązywania dla wykazania swojej skuteczności. Ustawa o refundacji nie przewiduje możliwości wydania decyzji refundacyjnej na czas dłuższy tylko ze względu na zawarcie RSA.

W pierwszej kolejności, w celu wdrożenia decyzji refundacyjnej, konieczne jest wydanie przez prezesa NFZ zarządzenia, które określa warunki zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie – odpowiednio dla danego świadczenia – programów lekowych lub chemioterapii. Zarządzenie prezesa NFZ jest aktem wewnętrznym Funduszu, regulującym zasady działania w przypadku określonego świadczenia. Zarządzenie prezesa nie jest źródłem praw ani obowiązków innych podmiotów (np. świadczeniodawców), jednakże bezpośrednio wpływa na ich sytuację (np. w przypadku gdy zarządzenie ulegnie zmianie, OW mają obowiązek dokonywania odpowiednich zmian w umowach już zawartych ze świadczeniodawcami). W latach 2012-2014 średni okres pomiędzy opublikowaniem obwieszczenia przez ministra zdrowia a wdrażającym je zarządzeniem prezesa wynosił 35 dni (przy czym przekraczał czasem nawet 2 miesiące).

¹⁶⁴ Art. 11 ust. 3 pkt 3 ustawy o refundacji.

Tabela 15. Czas pomiędzy obwieszczeniem ministra zdrowia a wydaniem zarządzenia przez prezesa NFZ w latach 2012-2014 – programy lekowe

Obwieszczenie ministra zdrowia	Zarządzenie prezesa NFZ programy lekowe	Czas od obwieszczenia do zarządzenia prezesa NFZ (dni)	Obwieszczenie ministra zdrowia	Zarządzenie prezesa NFZ programy lekowe	Czas od obwieszczenia do zarządzenia prezesa NFZ (dni)	Obwieszczenie ministra zdrowia	Zarządzenie prezesa NFZ programy lekowe	Czas od obwieszczenia do zarządzenia prezesa NFZ (dni)
25-04-2012	10-05-2012	15	26-08-2013	06-09-2013	11	24-02-2014	04-03-2014	8
25-04-2012	10-05-2012	15	26-08-2013	09-09-2013	14	24-02-2014	07-04-2014	42
28-06-2012	10-07-2012	12	25-10-2013	19-11-2013	25	23-04-2014	30-04-2014	7
28-08-2012	12-10-2012	45	25-10-2013	13-12-2013	49	23-04-2014	04-07-2014	72
28-08-2012	19-10-2012	52	23-12-2013	12-02-2014	51	24-06-2014	30-07-2014	36
26-10-2012	14-12-2012	49	23-12-2013	13-02-2014	52	24-06-2014	29-08-2014	66
26-10-2012	18-12-2012	53	26-08-2013	06-09-2013	11	22-08-2014	12-09-2014	21
						22-08-2014	10-10-2014	49
Średnio		35,43						

Następny etap to przygotowanie i przeprowadzenie konkursu na udzielanie świadczeń, za które odpowiadają właściwe Wydziały Gospodarki Lekiem w poszczególnych oddziałach wojewódzkich Narodowego Funduszu Zdrowia. WGL przeprowadzając konkurs na udzielenie świadczeń opieki zdrowotnej nie posiadają wiedzy o zawartych instrumentach. Wpływa to na przygotowanie konkursów (np. przeszacowanie potrzebnego budżetu na dane świadczenia, ze względu na fakt, iż cena maksymalna ustalona w RSA jest niższa niż w obwieszczeniu MZ – przyjęta za podstawę szacunków), jak i sposób ich przeprowadzenia (brak dialogu w zakresie wymogów związanych z realizacją instrumentów) może wpływać na jego wyniki (wybór świadczeniodawcy, który mając świadomość istniejącego instrumentu, mógłby nie chcieć podpisać umowy z NFZ). Czas realizacji tych zadań wynosi obecnie od 2 do 10 tygodni.

Okres wdrażania świadczeń oraz instrumentów dzielenia ryzyka poświęcony jest również na opracowanie i implementację aktualizacji systemów informatycznych, które są wykorzystywane przy udzielaniu i rozliczaniu świadczeń. Dotyczy to m.in. aplikacji, z których korzystają świadczeniodawcy, oraz aktualizacji komunikatów służących do przysyłania danych (FZX, SWIAD). W tym samym czasie jest dostosowany również System Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMTP) – jego kolejne iteracje tworzone są na potrzeby nowych programów lekowych, zgodnie z decyzją ministra zdrowia. System ten nie służy obecnie rozliczaniu świadczeń, ale są w nim już teraz zbierane niektóre dane medyczne pacjentów (powyższe systemy i komunikaty zostały przybliżone w dalszym podrozdziale i załączniku nr 2).

Zawieranie umów na udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej ze świadczeniodawcami

Najważniejsze akty prawne:

- Ustawa o świadczeniach;
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 6 maja 2008 r. w sprawie ogólnych warunków umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej¹⁶⁵;
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 15 grudnia 2004 r. w sprawie sposobu ogłaszania o postępowaniu w sprawie zawarcia umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej przez Narodowy Fundusz Zdrowia, zapraszania do udziału w rokowaniach, składania ofert, powoływania i odwoływania komisji konkursowej oraz ustalenia zakresu jej zadań¹⁶⁶.

¹⁶⁵ Dz.U. z 2008 r., Nr 81, poz. 484.

¹⁶⁶ Dz.U. z 2004 r., Nr 273, poz. 2719.

Aktualne wzory umów na udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej określają:

- Zarządzenie Nr 26/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie chemioterapii;
- Zarządzenie Nr 27/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe).

Oba te rozporządzenia były od czasu ich przyjęcia wielokrotnie nowelizowane wraz z kolejnymi obwieszczeniami ministra zdrowia zmieniającymi zakres finansowanych świadczeń. Wzory umowy określone są w załączniku nr 2 do powyższych zarządzeń. Zgodnie z ustawą o świadczeniach umowa ma określać sposób realizacji instrumentów dzielenia ryzyka¹⁶⁷. Obecnie umowa zawiera wyłącznie postanowienie ogólne, w którym zobowiązuje ona świadczeniodawcę do realizacji instrumentów dzielenia ryzyka, jeżeli zostały ustalone¹⁶⁸, nie wskazuje ona jednak, w jaki sposób ta realizacja ma następować. Zawarte w postępowaniu umowy o udzielaniu świadczenia są jawne – ustawa nie przewiduje możliwości wyłączenia jawności części zawartych w nich postanowień, np. w zakresie informacji dotyczących realizacji instrumentów dzielenia ryzyka.

Umowy o udzielanie świadczeń są zawierane ze świadczeniodawcami na podstawie warunków określonych w zarządzeniach prezesa NFZ. Zarządzenia są wydawane wraz z aktualizacją obwieszczeń ministra zdrowia, zawierających wykaz świadczeń gwarantowanych z zakresu leków dostępnych w aptekach, programach lekowych i chemioterapii. W oparciu o nie OW NFZ podpisują umowy ze świadczeniodawcami (w przypadku nowych świadczeń) lub aneksują dotychczasowe umowy (w przypadku zmian w zakresie programów).

Lokalna wielkość budżetu na dany program lekowy jest obliczana przez Wydział Gospodarki Lekiem w oddziale wojewódzkim Narodowego Funduszu Zdrowia przed ogłoszeniem konkursu i stanowi wypadkową dwóch zmiennych. Z jednej strony, oficjalnej ceny leku z obwieszczenia ministra zdrowia (lista refundacyjna), a z drugiej strony szacowanej liczby pacjentów potencjalnie spełniających kryteria kwalifikacji do programu lekowego. Szacowana liczba może być ustalana przez NFZ na podstawie danych epidemiologicznych lokalnych (jeżeli są dostępne) we współpracy z konsultantami wojewódzkimi właściwymi dla danej dziedziny lekarskiej czy innych ekspertów klinicznych (w zależności od typu problemu). W szacunkach na potrzeby ustalania budżetu na programy nie są jednak brane pod uwagę instrumenty zawarte w decyzji RSA, ze względu na fakt, że ich treść nie jest znana pracownikom OW NFZ.

W chwili obecnej umowa ze świadczeniodawcami nie odnosi się ani do kwestii poufności instrumentów dzielenia ryzyka ani do konkretnych ich postanowień, które miałyby być realizowane przez świadczeniodawców (np. nabywanie leków po cenie niższej niż określona w obwieszczeniu ministra zdrowia). Jak wskazano powyżej, nie ma możliwości, by OW NFZ poinformował świadczeniodawcę o zawartym instrumencie, ponieważ nie posiada takich informacji. Obecnie zdarza się, że na etapie realizacji programu lekowego świadczeniodawca może zostać poinformowany przez wnioskodawcę¹⁶⁹ o istnieniu w przypadku danego leku instrumentu, wraz z podaniem najważniejszych informacji do realizacji świadczeń. Praktyka ta wynika ze współpracy świadczeniodawców z firmami farmaceutycznymi i nie jest uregulowana w przepisach prawa. Podejście to nie gwarantuje jednak prawidłowego rozliczania instrumentów i jednocześnie często nie pozwala na zapewnienie pełnego zakresu koniecznych informacji wszystkim świadczeniodawcom. Firma farmaceutyczna nie jest w żaden sposób prawnie zobowiązana do informowania świadczeniodawcy o zawartej umowie podziału ryzyka, choć może to stanowić przykład dobrej praktyki i prowadzić do zmniejszenia obciążeń biurokratycznych po stronie świadczeniodawcy (zwłaszcza w końcowym rozliczeniu z Funduszem oraz w przypadku kontroli) – co obecnie stanowi realny problem. W przypadku gdy OW NFZ posiadałby odpowiednie informacje (np. cena maksymalna), mógłby je przekazywać w niezbędnym zakresie w ramach niejawnej części konkursu ofert na udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej, co pozwoliłoby na świadome decydowanie świadczeniodawców o udziale w realizacji bardziej złożonych instrumentów. Przekazane informacje nadal objęte byłyby tajemnicą przedsiębiorstwa, a więc nie podlegałyby upublicznianiu – ani przez

¹⁶⁷ Art. 136 pkt 2a ustawy o świadczeniach.

¹⁶⁸ Załącznik nr 2, § 2. pkt. 13. Zarządzenia Nr 26/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012r.; załącznik nr 2, § 2. pkt. 14. Zarządzenia Nr 27/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r.

¹⁶⁹ Wywiad z przedstawicielem wnioskodawców.

świadczeniodawców, ani OW NFZ. Rodzaj przekazywanych informacji i ich zakres zależałby od rodzajów instrumentów i wynikających z tego potrzeb oraz ustalany byłby indywidualnie w zależności od typu RSA.

Umowa w sprawie udzielania świadczeń w zakresie programów lekowych obejmuje także zobowiązanie świadczeniodawcy do uzupełniania dokumentacji dodatkowej w postaci rejestru powikłań i działań niepożądanych (Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych, SMTP), w ramach którego zbierane są informacje nt. powikłań i działań niepożądanych występujących w trakcie realizacji programu oraz kwalifikacji i monitorowania leczenia świadczeniobiorcy w programie lekowym. Informacje te uzupełniane są za pomocą aplikacji komputerowej wskazanej przez prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia i udostępnionej przez OW NFZ. Zbierane dane pozwalają na monitorowanie leczenia i ocenę efektów klinicznych terapii w ramach wybranych programów¹⁷⁰.

Nabywanie produktów leczniczych przez świadczeniodawców

Najważniejsze akty prawne:

- Ustawa z dnia 29 stycznia 2004 r. – Prawo zamówień publicznych¹⁷¹;
- Ustawa z dnia 23 kwietnia 1964 r. – Kodeks cywilny¹⁷².

Świadczeniodawca w celu realizacji świadczeń gwarantowanych jest zobowiązany nabywać leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyroby medyczne po cenie nie wyższej niż urzędowa cena zbytu powiększona o marżę nie wyższą niż urzędowa marża hurtowa, a w przypadku nabywania od podmiotu innego niż przedsiębiorca prowadzący obrót hurtowy w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne – po cenie nie wyższej niż urzędowa cena zbytu¹⁷³. Zapis ten wymusza na świadczeniodawcach zachowania mające na celu racjonalizację wydatków i ograniczenie ich. Świadczeniodawca będzie dążył do uzyskania jak najniższej ceny w ramach organizowanych przetargów, uzyskując korzyść związaną z wolumenem zakupów. Faktura zakupuwa dokumentująca nabycie leków stanowi podstawę rozliczenia z Narodowym Funduszem Zdrowia¹⁷⁴.

Większość świadczeniodawców ma obowiązek stosować przy nabywaniu odpłatnym leków zasady określone w ustawie – Prawo zamówień publicznych¹⁷⁵.

Zasady zamówień publicznych:

- zasada równości – oznacza, iż warunki przetargu muszą być takie same dla wszystkich i tak samo oceniane, nie mogą preferować żadnego z oferentów;
- zasada uczciwej konkurencji – oznacza m.in. konieczność odrzucania propozycji zawierających ceny rażąco niskie i niedopuszczanie czynów nieuczciwej konkurencji;
- zasada bezstronności – oznacza wybór oferenta na podstawie określonych przesłanek;
- zasada jawności – wyjątki od jawności mogą zostać wyłącznie wskazane w przepisach ustawy, istnieją jednak elementy oferty, które nie mogą zostać objęte tajemnicą przedsiębiorstwa¹⁷⁴.

¹⁷⁰ Załącznik nr 2, § 2. pkt. 12 Zarządzenia Nr 27/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r.

¹⁷¹ Dz.U. z 2013 r., poz. 907, z późn. zm.

¹⁷² Dz.U. z 2014 r., poz. 121, z późn. zm.

¹⁷³ Art. 9 ust. 1 ustawy o refundacji.

¹⁷⁴ Zarządzenie Nr 26/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie chemioterapii; Zarządzenie Nr 27/2012/DGL prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu zdrowotne (lekowe).

¹⁷⁵ Dotyczy to m.in. jednostek sektora finansów publicznych i innych jednostek, w których posiadają one ponad 50% udziałów/akcji, powołują ponad 50% organu nadzorczego lub sprawują nadzór lub finansują je w ponad 50% (art. 3 ustawy – Prawo zamówień publicznych).

¹⁷⁶ Są to: nazwy (firmy) oraz adresy wykonawców, a także informacje dotyczące ceny, terminu wykonania zamówienia, okresu gwarancji i warunków płatności zawartych w ofertach (art. 8 pkt. 4 w zw. z art. 86 ust. 4 ustawy – Prawo zamówień publicznych).

Postępowania przetargowe prowadzone są w oparciu o Specyfikację Istotnych Warunków Zamówienia (SIWZ) przygotowaną przez świadczeniodawcę. Postępowanie ma charakter konkurencyjny – każdy podmiot spełniający wymagania określone w ogłoszeniu o postępowaniu przetargowym może wziąć w nim udział. W chwili obecnej ze względu na brak znajomości warunków instrumentów, świadczeniodawcy nabywają leki w cenie nie wyższej niż określona w obwieszczeniu ministra zdrowia, nawet jeżeli w instrumencie ustalona została cena niższa. Weryfikacja odmienności ceny zakupu od ceny wynikającej z instrumentu następuje dopiero po sprawozdaniu leków zużytych przy udzielaniu świadczenia (opisane poniżej).

Sposób nabywania leków przez świadczeniodawców ma kluczowe znaczenie dla realizacji instrumentów dzielenia ryzyka, jednakże do tej pory przynosiło wyłącznie skutek negatywny w postaci ograniczania zakresu stosowanych rozwiązań opartych na nieodpłatnej dostawie leków. Wynika to z faktu, iż jedyną alternatywą dla zamówień publicznych w wielu przypadkach jest wyłącznie nabywanie leków nieodpłatnie w formie darowizn.

Udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej świadczeniobiorcom

Najważniejsze akty prawne:

- Ustawa z dnia 6 listopada 2008 r. o prawach pacjenta i rzeczników praw pacjenta¹⁷⁷;
- Ustawa z dnia 29 sierpnia 1997 r. o ochronie danych osobowych¹⁷⁸;
- Ustawa z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia¹⁷⁹.

Samo udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej ma w chwili obecnej ograniczony wpływ na realizację instrumentów dzielenia ryzyka, ze względu na fakt, iż w praktyce stosowane są wyłącznie RSA finansowe. Udzielenie świadczenia stanowi obecnie wyłącznie okoliczność, w której np. ze względu na podanie określonego leku w ramach świadczenia gwarantowanego aktualizuje się obowiązek wnioskodawcy do dokonania zwrotu określonej części uzyskanej refundacji.

W przyszłości jednak, wraz z wprowadzeniem instrumentów dzielenia ryzyka opartych na wynikach zdrowotnych, znaczenie działań podejmowanych na tym etapie przez świadczeniodawcę będzie kluczowe dla realizacji ich postanowień.

Szczególną rolę w programach lekowych pełnią Zespoły Koordynacyjne. W wybranych programach są one odpowiedzialne m.in. za kwalifikację pacjentów do terapii. Zespoły Koordynacyjne są powoływane przez prezesa NFZ, a organizację ich pracy określa regulamin¹⁸⁰. Obecnie informacja o powołaniu w danym programie Zespołu Koordynacyjnego zostaje zawarta już w opisie programu lekowego, który stanowi załącznik do decyzji i jest publikowany w obwieszczeniu ministra zdrowia wraz z listą leków refundowanych¹⁸¹. W skład Zespołu wchodzi lekarze posiadający specjalizację z danej dziedziny, właściwej do danego programu lekowego. Zespół podejmuje decyzje dotyczące rozpoczęcia leczenia, kontynuowania oraz zakończenia leczenia pacjenta w programie lekowym, jak również dotyczące wielkości dawki stosowanego leku, na podstawie prawidłowo wypełnionych dokumentów, niezbędnych dla kwalifikacji oraz monitorowania leczenia pacjenta – zgodnie z opisem programu, oraz po uzyskaniu pozytywnej opinii recenzenta, wybranego spośród członków Zespołu Koordynacyjnego.

¹⁷⁷ Dz.U. z 2012 r., poz. 159, z późn. zm.

¹⁷⁸ Dz.U. z 2014 r., poz. 1182, z późn. zm.

¹⁷⁹ Dz.U. z 2011 r., Nr 113, poz. 657, z późn. zm.

¹⁸⁰ Przykładowo dostępny na stronie internetowej Narodowego Funduszu Zdrowia pod adresem: <http://nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=18&artnr=6150>

¹⁸¹ Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 19 grudnia 2014 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, która wejdzie w życie 1 stycznia 2015 r. Zespoły Koordynujące są utworzone dla 23 programów lekowych.

Rola Zespołów Koordynujących może wzrosnąć w przyszłości, w szczególności w przypadku, gdy ich funkcja zostałaby określona w ustawie o refundacji – takie rozwiązanie przewidywał projekt nowelizacji ustawy o refundacji przedstawiony przez ministra zdrowia¹⁸². Możliwe, iż takie rozwiązanie okaże się szczególnie przydatne w przypadku wprowadzania instrumentów dzielenia ryzyka opartych na wynikach zdrowotnych, gdzie Zespoły mogłyby np. pełnić rolę weryfikacyjną w odniesieniu do zbieranych danych medycznych.

Zakres świadczeń dla pacjentów jest zapisany w ramach programu lekowego – w aspekcie kwalifikacji monitorowania i wykluczania pacjentów z programu wraz z uwzględnieniem wyjątkowych sytuacji związanych ze zmianą dawkowania, działaniami niepożądanymi, czasowym przerwaniem terapii.

Systemy informatyczne Narodowego Funduszu Zdrowia – zbieranie i przetwarzanie danych

Najważniejsze akty prawne:

- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 20 czerwca 2008 r. w sprawie zakresu niezbędnych informacji gromadzonych przez świadczeniodawców, szczegółowego sposobu rejestrowania tych informacji oraz ich przekazywania podmiotom zobowiązanym do finansowania świadczeń ze środków publicznych¹⁸³;
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 18 kwietnia 2013 r. w sprawie zakresu niezbędnych informacji gromadzonych przez świadczeniodawców posiadających umowę z Narodowym Funduszem Zdrowia o udzielanie całodobowych lub całodziennych świadczeń zdrowotnych związanych z nabywaniem leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych¹⁸⁴;
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 27 lipca 2005 r. w sprawie zakresu niezbędnych informacji gromadzonych w systemie informatycznym Narodowego Funduszu Zdrowia oraz zakresu i sposobu ich przekazywania ministrowi właściwemu do spraw zdrowia oraz wojewodom i sejmikom województw¹⁸⁵.

Niezwykle istotną rolę dla rozwoju – zwłaszcza złożonych – instrumentów dzielenia ryzyka pełnią systemy informatyczne, w ramach których przekazywane są informacje pomiędzy świadczeniodawcami a Narodowym Funduszem Zdrowia. Poniżej zostały przedstawione dane zbierane przez świadczeniodawców i przekazywane Funduszowi oraz komunikaty elektroniczne, za pomocą których przekazywanie tych danych następuje. Zakres informacji przekazywanych przez świadczeniodawców do NFZ oraz tam przetwarzanych określają wskazane powyżej rozporządzenia ministra zdrowia, wydane na podstawie ustawy o świadczeniach – jest to o tyle znamienne, iż modyfikacje w tym zakresie mogą wymagać w przyszłości zmian legislacyjnych odpowiednio w zakresie ustawy o świadczeniach (regulującej uprawnienie NFZ do przetwarzania danych) lub wskazanych rozporządzeń.

Komunikacja elektroniczna pomiędzy świadczeniodawcami a NFZ odbywa się w ramach dwóch portali o analogicznych funkcjach, które są utrzymywane przez różne podmioty i działają w różnych województwach:

- Portal świadczeniodawcy, dostawcą oprogramowania jest firma Global Services,
- Portal świadczeniodawcy SZOI (System Zarządzania Obiegiem Informacji), dostawcą oprogramowania jest konsorcjum Kamsoft-Asseco.

W ramach NFZ – co istotne z perspektywy instrumentów dzielenia ryzyka – działają dwa niezależne od siebie i niezintegrowane ze sobą systemy, w ramach których przetwarzane są zbierane dane:

- Rejestr Usług Medycznych Narodowego Funduszu Zdrowia (RUM – NFZ);
- System Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMPT).

¹⁸² Art. 31 projektu ustawy o zmianie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z dnia 19 września 2013 r. – projekt jest dostępny na stronie internetowej Ministerstwa Zdrowia pod adresem: <http://www2.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=m491&ms=0&ml=pl&mi=56&mx=0&mt=&my=131&ma=032621>

¹⁸³ Dz.U. z 2013 r., poz. 1447.

¹⁸⁴ Dz.U. z 2013 r., poz. 489

¹⁸⁵ Dz.U. z 2005 r., Nr 152, poz. 1271, z późn. zm.

Jak już wskazano, pierwszy z nich (RUM – NFZ) stanowi system ogólny, integrujący ze sobą wszystkie zasoby danych zbierane przez Fundusz. System ten w zakresie rozliczania świadczeń w chemioterapii i programach lekowych zasiłany jest danymi przekazywanymi w ramach dwóch komplementarnych komunikatów elektronicznych:

- FZX, który zawiera informacje o fakturach, na podstawie których zostały nabyte leki zużyte na potrzeby świadczeń opieki zdrowotnej;
- SWIAD, który zawiera informacje o udzielonych świadczeniobiorcom świadczeniach¹⁸⁶.

Przykładowe dane przekazywane w ramach komunikatów FZX:

- faktura zakupu leku – NIP sprzedającego i numer faktury wyznaczają jednoznacznie fakturę, podaje się też datę wystawienia faktury, do faktur korekt podaje się numer faktury koryguwanej (lecz nie inne dane z faktury);
- lek – numer pozycji na fakturze, który dotyczy sprawozdawanego leku, kod produktu handlowego wg słownika NFZ, ilość fakturowanego leku w opakowaniach, cena brutto opakowania leku zgodna z fakturą zakupu leku, sumaryczna liczba sztuk (np. tabl., amp.), sumaryczna ilość substancji czynnej (np. mg, ml), wartość pozycji faktury;
- europejski kod towarowy (EAN) produktu lekowego lub inny kod odpowiadający kodowi EAN;
- lista korekt – lista faktur korygujących, modyfikujących fakturę pierwotną (jeżeli takie były w okresie rozliczeniowym), numer i data wystawienia faktury korygującej.

Wspomniany wcześniej System Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMPT) stanowi dobrą podstawę do budowania publicznego systemu zbierania danych medycznych, które mogą być wykorzystywane w ramach instrumentów opartych na wynikach. System ten stanowi rejestr powikłań i działań niepożądanych i jest bazą danych służącą do monitorowania przebiegu i zbierania informacji dotyczących efektów klinicznych świadczeń udzielonych w ramach programów lekowych. Ze względu na ukierunkowanie programów lekowych na rozwiązanie konkretnego problemu zdrowotnego każdy moduł aplikacji SMPT zawiera inny, specyficzny dla danego programu zestaw zbieranych w odniesieniu do leczonych świadczeniobiorców danych medycznych. Stąd też sam rejestr jest tworzony dla każdego programu lekowego odrębnie, a jednocześnie nie dla każdego programu musi istnieć. Obecnie decyzja o tworzeniu SMPT dla danego programu zapada już na etapie wydawania decyzji i jest zawierana w opisie programu lekowego.

Zakres danych zbieranych w aplikacji SMPT:

- dane pacjenta: numer PESEL, nazwisko, imię, OW NFZ, wiek, płeć;
- dane o kwalifikacji do programu – wniosek kwalifikacyjny przesyłany do Zespołu Koordynującego z prośbą o zatwierdzenie kwalifikacji, zawierający wyniki wszystkich niezbędnych badań pacjenta wymaganych w opisie programu lekowego z obwieszczenia ministra zdrowia;
- informacje o programie ogólne: świadczeniodawca, kod OW NFZ, numer programu, status, data rozpoznania, data zgłoszenia do programu, data kwalifikacji, data rozpoczęcia leczenia, lek (lista leków do wyboru stosowana i refundowana w ramach danego programu lekowego, leki ujęte po nazwie, bez kodu EAN), data podania leku, lekarz, daty kolejnych wizyt monitorujących, data zakończenia i przyczyna zakończenia programu;
- informacje o programie indywidualne dla danego schorzenia (przykładowo wypisane z programów): pacjent w trakcie podawania leku biologicznego, lek, wniosek, obecnie stosowane przewlekłe leczenie niebiologiczne (astma, łuszczyca plackowata), pacjent z zespołem Gilberta, przerzuty do wątroby (czerniak), faza białaczki i wcześniejsze leczenie (Interferon Alfa), lista zapotrzebowania na czynnik (hemofilia);

¹⁸⁶ Przykładowe wytyczne do przekazywania danych dostępna są na stronie internetowej Małopolskiego Oddziału Wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia pod adresem https://isi.nfz-krakow.pl/?p=fo_zasady

- dane medyczne indywidualne dla danego schorzenia, wyniki badań (przykładowo): wzrost, waga, stan sprawności wg WHO, BMI, ASPAT, ALAT, bilirubina, płytki krwi, hemoglobina, bezwzględna liczba neutrofilii, kreatynina we krwi, mocznik we krwi, próby wątrobowe, RTG płuc, morfologia krwi, OB;
- dane z punktu kontrolnego: kalendarz badań, numer punktu, status punktu kontrolnego, data badania, przyczyna przekroczenia terminu punktu kontrolnego, aktualne wyniki badań kontrolnych, ocena odpowiedzi na leczenie przez lekarza, brak spadku liczby zaostrzeń w stosunku do okresu przed leczeniem (tak/nie), informacja o małej aktywności leczenia, informacja o remisji, toksyczność leczenia, nadwrażliwość na lek, działania niepożądane, opis stanu zdrowia pacjenta.

SMPT został stworzony przez Departament Gospodarki Lekiem Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia. W przypadku tworzenia nowego programu określany jest zakres danych zbieranych w ramach SMPT dla tego programu, następuje aktualizacja aplikacji oraz tworzenie niezbędnych słowników dla szpitali (służących do wypełniania aplikacji) i implementacji, co może trwać od 1 do 2 miesięcy. Może to skutkować opóźnieniami sprawozdawczości ze strony świadczeniodawców wynikającymi z potencjalnego braku dostępności do danych w systemie informacyjnym NFZ i stąd braku możliwości wprowadzenia informacji dla nowego leku bądź programu lekowego wraz z wdrożeniem nowego programu. Istnieje możliwość uzupełniania danych w systemie w czasie późniejszym, bez straty niezbędnych informacji zbieranych przez NFZ.

Dane pacjentów ze strony świadczeniodawcy są wprowadzane do rejestru SMPT przez lekarzy prowadzących. W ocenie świadczeniodawców system wymaga czasochłonnej obsługi i dość często jest funkcjonalnie niedostosowany do danego programu lekowego (brak właściwych słowników, brak możliwości wyboru konkretnego preparatu, brak możliwości wyboru właściwego schematu leczenia). Uzupełnianie danych pacjenta na bieżąco przez personel prowadzący jest w systemie w zasadzie niemożliwe, ze względu na czasochłonność i trudność techniczną obsługi aplikacji.

W tabelach w załączniku nr 2 zamieszczono zestawienie danych przekazywanych w ramach Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych oraz komunikatów SWIAD oraz FZX, które mają zastosowanie w poszczególnych typach instrumentów.

Zgodnie z aktualnymi planami oraz przepisami ustawy o prawach pacjenta i rzeczniku praw pacjenta dokumentacja medyczna od 2017 r. ma być gromadzona wyłącznie w postaci elektronicznej¹⁸⁷ i zbierana w ramach centralnego Systemu Informacji Medycznej, należącego do ministra zdrowia. Taki zintegrowany system ze znacznym prawdopodobieństwem będzie w zupełności wystarczył do zbierania w nim danych medycznych koniecznych do realizacji instrumentów opartych na wynikach zdrowotnych.

Rozliczanie udzielonych świadczeń przez świadczeniobiorców

Co do zasady sprawozdawczość i rozliczenie następuje przy użyciu odpowiednich komunikatów elektronicznych, przesyłanych w ramach systemu Rejestru Usług Medycznych Narodowego Funduszu Zdrowia. Rejestr ten działa na podstawie ustawy o systemie informacji w ochronie zdrowia¹⁸⁸. Jak już wskazano, szczegółowy zakres i format informacji przekazywanych na potrzeby dokonywanych rozliczeń określa prezes NFZ w zarządzeniach w sprawie szczegółowych komunikatów XML¹⁸⁹. Zarządzenia te są bieżąco aktualizowane, wraz ze zmianami w zakresach udzielanych świadczeń.

¹⁸⁷ Art. 24 ust. 1a ustawy wejdzie w życie z dniem 1 sierpnia 2017 r.

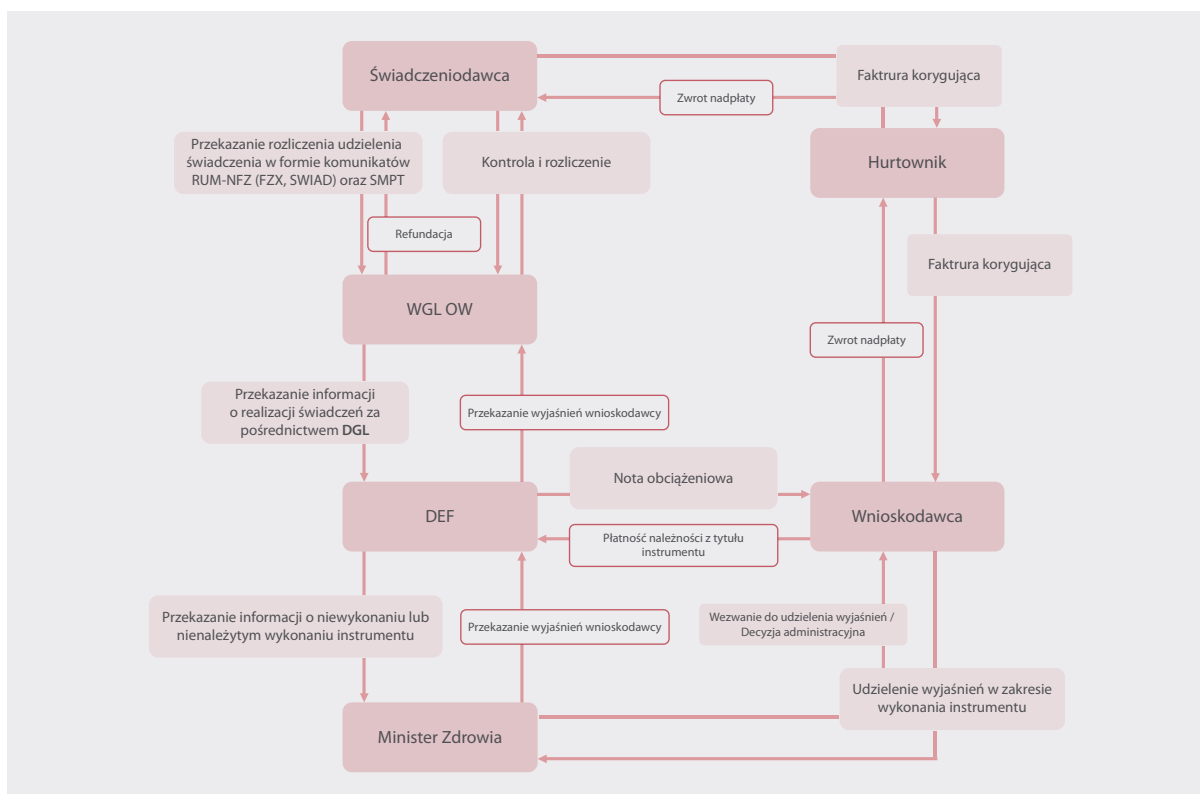
¹⁸⁸ Oraz Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 19 kwietnia 2013 r. w sprawie Systemu Rejestru Usług Medycznych Narodowego Funduszu Zdrowia (Dz.U. z 2013 r., poz. 514) wydanego na podstawie art. 22 ust. 7 tej ustawy.

¹⁸⁹ Zarządzenie Nr 70/2013/DI Prezesa NFZ z dnia 29 listopada 2013 r. w sprawie szczegółowych komunikatów XML dotyczących przekazywania w formie elektronicznej danych zawartych w fakturze, rachunku lub notcie oraz rozliczania świadczeń ambulatoryjnych i szpitalnych, zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie oraz deklaracji POZ / KAOS oraz Zarządzenie Nr 71/2013/DI Prezesa NFZ z dnia 29 listopada 2013 r. w sprawie szczegółowego komunikatu XML dotyczącego przekazywania dokumentów rozliczeniowych w postaci dokumentu elektronicznego.

Rozliczenie świadczeń, w przypadku których zawarto instrumenty dzielenia ryzyka, odbywa się na takich samych zasadach, wszystkich innych świadczeń tego samego typu. Brak przepisów szczególnych dla instrumentów niesie za sobą istotne skutki praktyczne w zakresie sposobu ich rozliczania. Najistotniejszym jest sposób dokonywania rozliczeń poprzez płacenie świadczeniodawcom ceny leków wynikającej z przedstawionych w sprawozdaniu faktur zakupowych, niezależnie od tego, czy są one zgodne z ustaleniami instrumentu dzielenia ryzyka opartego na cenie maksymalnej (co oznacza, że jeżeli świadczeniodawca przedstawi fakturę z ceną leku wyższą niż ustalona jako maksymalna w ramach instrumentu – zostanie temu świadczeniodawcy kwota wynikająca z faktury, a różnica pomiędzy powyższymi kwotami będzie dopiero następnie dochodzona przez Narodowy Fundusz Zdrowia w ramach korekt). Wynika to z faktu, iż system przedstawia pracownikom NFZ wyłącznie informację o braku zgodności ceny z instrumentem, nie blokuje on jednak wypłacenia należnej z faktury kwoty (są to tzw. bramki „miękkie”). W praktyce więc korekta następuje w oparciu o wyjaśnienia wnioskodawcy, które składa on ministrowi zdrowia w postępowaniu administracyjnym o naruszenie postanowień instrumentu, które zostało wszczęte przez organ z urzędu na podstawie zawiadomienia o nieprawidłowościach przesłanego przez prezesa NFZ. Bezpośrednim skutkiem tak funkcjonującego systemu jest znaczące opóźnienie rozliczeń dotychczas zawartych instrumentów opartych na cenie maksymalnej dla świadczeniodawców. Istniejący system po dokonaniu odpowiednich modyfikacji bez większych trudności mógłby być wykorzystany do sprawozdawania, rozliczania i kontroli finansowych RSA w sposób bardziej wydajny, a także rabatów towarowych i instrumentów w oparciu o efekty zdrowotne. W przyszłości system powinien również dopuszczać wprowadzenie tzw. „bramek twardych” (uniemożliwiających przesłanie sprawozdawania z powodu np. niezgodności z postanowieniami instrumentów, przy założeniu, że świadczeniodawcy o ich treści byłoby uprzednio poinformowani), co zmniejszyłoby ciężar administracyjny związany z koniecznością korekty rozliczeń i ograniczyło potrzebę weryfikacji realizacji niektórych instrumentów. Dla wprowadzenia tego rozwiązania konieczne jest jednak uprzednie informowanie świadczeniodawców o treści instrumentu opartego na cenie maksymalnej, co pozwoli im na odpowiednie przygotowywanie postępowań przetargowych, w ramach których nabywają leki.

Rozliczenie instrumentów z wnioskodawcą

Schemat 27. Refundacja i rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka w lecznictwie zamkniętym



Rozliczanie instrumentów opartych na zwrocie części otrzymanej refundacji

Sposób rozliczania instrumentów finansowych, w których przepływy pieniężne od wnioskodawcy do Narodowego Funduszu Zdrowia polegają na zwrocie jakkolwiek ustalonej kwoty wynikającej z refundacji produktu, są w praktyce rozliczane tak samo jak w przypadku instrumentów zawartych dla leków o kategorii dostępności refundacyjnej – dostępne w aptekach na receptę, z zastrzeżeniem, że dane do rozliczeń pochodzą od innych podmiotów.

Rozliczanie instrumentów dzielenia ryzyka odbywa się na podstawie agregowanych danych, które są zbierane przez Departament Gospodarki Lekami Centrali NFZ, pochodzących od wszystkich świadczeniodawców, przekazywanych co miesiąc przez oddziały wojewódzkie NFZ.

Zagregowane na poziomie centralnym dane w postaci pliku programu Excel prezentowane są narastająco w ciągu roku. Dane te publikowane są w formie tzw. komunikatu Departamentu Gospodarki Lekami i obejmują one:

- kod EAN produktu,
- liczbę zrefundowanych opakowań jednostkowych,
- kwoty z tytułu refundacji.

Dane te stanowią informację publiczną, powszechnie dostępną w formie elektronicznej w Biuletynie Informacji Publicznej NFZ. Publikowane są z trzymiesięcznym opóźnieniem, co oznacza, że dane za wykonania do kwietnia danego roku są widoczne w formie komunikatu dopiero w lipcu – często także synchronicznie do publikacji projektu obwieszczenia ministra zdrowia, które mimo ich narastającego charakteru umożliwiają weryfikację poprawności wyliczeń Ministerstwa Zdrowia w zakresie ustalenia podstawy limitu w grupach limitowych.

Rozliczenie instrumentów prowadzone jest przez Departament Ekonomiczno-Finansowy (DEF) Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia. Jego realizacja odbywa się w okresach stosownych do postanowień ministra zdrowia dotyczących danego instrumentu. Jest ono więc określone indywidualnie i wymaga dokładnej analizy każdej decyzji, dla właściwego zinterpretowania sposobu obliczania ewentualnej zaliczki czy wyliczenia należności. Wartość zwrotu jest ustalana przez DEF na podstawie danych, o których mowa powyżej, dopiero po ich opublikowaniu przez DGL. Na podstawie dokonanych wyliczeń DEF kieruje do firmy farmaceutycznej notę księgową, która jest podstawą dokonywania płatności na rzecz NFZ.

Rozliczanie instrumentów opartych na ustaleniu ceny maksymalnej dla świadczeniodawcy

Rozliczenie instrumentów opartych na cenie maksymalnej jest bardziej skomplikowane ze względu na fakt, iż same rozliczenia odbywają nie pomiędzy NFZ a wnioskodawcą, a raczej pomiędzy wnioskodawcą oraz hurtownią i świadczeniodawcą (w zależności od konfiguracji w danym przypadku – tj. od kogo świadczeniodawca nabył lek) oraz pomiędzy NFZ a świadczeniodawcą, jeżeli otrzymał on w ramach rozliczenia kwotę wynikłą z faktury zakupowej, wyższą niż ustalona jako cena maksymalna w instrumencie dzielenia ryzyka.

W przypadku instrumentów tego typu wnioskodawca w praktyce zobowiązuje się do sprzedaży leku po takiej cenie, by świadczeniodawca sprzedał go po cenie nie wyższej niż określona w instrumencie. Kiedy konieczne jest dokonanie rozliczeń – może dojść do kilku różnych sytuacji (przy założeniu nabycia leku w ramach postępowania przetargowego przez świadczeniodawców):

- wnioskodawca sprzedaje lek świadczeniodawcy bezpośrednio lub z pośrednictwem hurtownika w cenie uzgodnionej w instrumencie;
- wnioskodawca sprzedaje lek świadczeniodawcy bezpośrednio lub z pośrednictwem hurtownika w cenie innej niż wynikająca z treści instrumentu (np. w urzędowej cenie hurtowej), a następnie wystawia fakturę korygującą o takiej wysokości, aby cena efektywna dla świadczeniodawcy była zgodna z tą uzgodnioną w instrumencie (i ewentualnie dokonuje zwrotu).

Wątpliwości wnioskodawców w przypadku instrumentów dzielenia ryzyka polegających na ustaleniu ceny maksymalnej związane są z obawą przed podejmowaniem przez hurtowników działań, których skutkiem będzie sprzedaż leku do świadczeniodawcy w cenie wyższej niż pierwotnie ustalona w instrumencie. Może tak być np. gdy hurtownik zastosuje maksymalną marżę przewidzianą w ustawie o refundacji, podczas gdy niższa marża została przewidziana uprzednio przez wnioskodawcę. W takim przypadku faktyczna realizacja instrumentu wynika z działań podmiotu niezależnego od wnioskodawcy. Jest to szczególnie istotne ze względu na fakt, iż minister zdrowia może nałożyć karę pieniężną na wnioskodawcę, który nie dotrzymał postanowień w zakresie instrumentów dzielenia ryzyka. Do chwili obecnej wątpliwości budzi to, czy wnioskodawca ponosiłby w tym zakresie odpowiedzialność za działania hurtownika.

Najefektywniejszy sposób zabezpieczenia prawidłowej realizacji tego instrumentu opiera się na cywilnoprawnym zobowiązaniu hurtownika przez wnioskodawcę w zawartej umowie dystrybucyjnej do zapewnienia dostawy leku świadczeniodawcy po cenie nie wyższej niż określona w instrumencie. Rozwiązanie takie pozwala na egzekwowanie przez wnioskodawcę postanowień zawartej umowy na drodze cywilnoprawnej, w szczególności np. dochodzenie odszkodowań, gdy wskutek niezgodnych z tą umową działań hurtownika na wnioskodawcę zostałaby nałożona kara przez ministra zdrowia z tytułu naruszenia postanowień instrumentu.

Odrębną praktyką stosowaną przez podmioty jest informowanie świadczeniodawców o wysokości ceny ustalonej w ramach instrumentu dzielenia ryzyka. W tym drugim przypadku świadczeniodawca ma możliwość odmówić zawarcia umowy na podstawie złożonych w postępowaniu przetargowym ofert, w których proponowana cena była wyższa niż określona w instrumencie zgodnie z informacją przekazaną przez wnioskodawcę.

Kontrola realizacji instrumentu

W przypadku instrumentów opartych na zwrocie części uzyskanej refundacji, w rozliczenie zawartego instrumentu, a co za tym idzie – także kontrolę realizacji jego postanowień, nie są bezpośrednio zaangażowani świadczeniodawcy udzielający świadczeń gwarantowanych. Udział w kontroli realizacji instrumentu biorą wyłącznie NFZ oraz wnioskodawca. Kontrola realizacji instrumentu sprowadza się do weryfikacji prawidłowości rozliczonych świadczeń przez świadczeniodawców z walidatorami istniejącymi w systemie elektronicznym NFZ oraz terminowości i poprawności czynności stricte rozliczeniowych opisanych w instrumencie.

Jednocześnie w praktyce pierwszych trzech lat obowiązywania ustawy refundacyjnej, z perspektywy Narodowego Funduszu Zdrowia instrumenty polegające na ustaleniu ceny maksymalnej dla świadczeniodawcy innej niż określona w obwieszczeniu okazały się najbardziej skomplikowane w kontroli i dochodzeniu właściwej realizacji ich postanowień przez wnioskodawców. Wynika to z faktu, iż jak już wskazano, NFZ dokonuje rozliczenia na podstawie złożonego sprawozdania zawierającego kwotę z faktury przedstawionej przez świadczeniodawcę. W przypadku gdy kwota ta odbiega od wartości ustalonej w ramach instrumentu dzielenia ryzyka, do NFZ należy wyjaśnienie wątpliwości z udziałem pozostałych interesariuszy.

Ze względu na fakt, iż WGL nie są informowane o treści RSA, przepływ informacji potrzebnych do rozliczenia RSA obejmuje następujące etapy:

- przekazanie danych sprawozdawczych świadczeniodawców z OW NFZ do Centrali NFZ (Departamentu Gospodarki Lekami);
- stwierdzenie przez DGL niezgodności danych sprawozdanych przez świadczeniodawców (np. cen wyższych niż maksymalne, określone w instrumencie) i poinformowanie o tym ministra zdrowia;
- wezwanie przez ministra zdrowia wnioskodawcy do wyjaśnień w zakresie realizacji instrumentu;
- przekazanie przez wnioskodawcę wyjaśnienia MZ z informacją o przyczynach niezgodności i o dokonaniu należnych korekt faktur w obrocie pomiędzy wnioskodawcą (lub hurtownikiem) a świadczeniodawcą;
- przekazanie przez MZ wyjaśnienia wnioskodawcy do DGL NFZ, który przesyła otrzymane informacje do właściwych oddziałów wojewódzkich NFZ;

- wezwanie przez WGL NFZ świadczeniodawcy do przedstawienia wyjaśnień – sprostowania danych sprawozdanych dotyczących nabytych leków oraz zwrot kwot nadpłaconych przez NFZ;
- udzielenie wyjaśnienia przez wnioskodawcę, a gdy jest to konieczne – przeprowadzenie przez WGL NFZ kontroli u świadczeniodawcy.

Postępowanie kontrolne stosowane jest również w przypadkach niezgodności sprawozdawanych cen zakupu leków z cenami z obowiązujących umów podziału ryzyka. Należy zaznaczyć że to Centrala NFZ przekazuje informacje o nienależytym wykonaniu instrumentu podziału ryzyka do oddziału wojewódzkiego NFZ i dopiero wówczas jest rozpoczynane postępowanie kontrolne, w którym następuje rzeczywista weryfikacja cen widniejących na fakturze zakupu i korekcie do niej w stosunku do cen z RSA. Dopiero na tym etapie OW jest w posiadaniu faktycznych cen zakupu leków oraz zapisów umowy podziału ryzyka w tym względzie. Obecnie brak jest systemu monitorującego na bieżąco zgodność sprawozdawczości z dokumentacją szpitala, w tym z fakturami szpitala. Nie istnieje również sztywna walidacja odnosząca się do różnic sprawozdawanych cen z zapisami RSA, stąd proces skutecznego nadzoru nad przekazywanymi danymi nie jest możliwy w oddziale wojewódzkim NFZ. Jednocześnie wewnętrzna kontrola szpitala i przestrzeganie procedur ze strony szpitala nad prawidłową realizacją RSA nie jest możliwa ze względu na oficjalny brak znajomości zapisów RSA przez świadczeniodawców.

Ze względu na liczne ograniczenia ostateczne rozliczenie RSA następuje np. dopiero pod koniec obejmowania decyzji refundacyjnej. W przypadku wprowadzenia bardziej skomplikowanych RSA obecne funkcjonowanie systemu nie będzie pozwalało na rzeczywistą ocenę wartości terapii przy zastosowaniu systemu *outcome based* oraz ostateczne rozliczenie.

W przypadku obu rodzajów instrumentów NFZ wyjaśnia wątpliwości nie poprzez bezpośredni kontakt z wnioskodawcą, ale przez zawiadomienie o potencjalnych nieprawidłowościach ministra zdrowia, który wszczyna postępowanie w sprawie o naruszenie postanowień instrumentu. W ramach udzielonych w tym postępowaniu wyjaśnień dochodzi do wyjaśnienia wątpliwości związanych z realizacją instrumentu. Rozwiązanie to znacząco komplikuje jednak rozliczanie instrumentów opartych na cenie maksymalnej, ze względu na fakt, iż w tych przypadkach dopiero na podstawie informacji uzyskanej przez ministra zdrowia i przekazanej Funduszowi, Narodowy Fundusz Zdrowia dochodzi od świadczeniodawców uzyskanych nadpłat wynikających z przedstawienia do rozliczenia faktur zakupowych o wartości wyższej, niż wynikająca z cen ustalonych w ramach instrumentu dzielenia ryzyka.

Aktualnie obowiązujące przepisy nie przewidują jednoznacznego określenia sposobu postępowania w przypadku, gdy błąd w określeniu wysokości zobowiązania wynikającej z instrumentu dzielenia ryzyka (np. w przypadku zawyżonej kwoty należnej z tytułu zwrotu) popełni Narodowy Fundusz Zdrowia. Aktualnie podmiot zobowiązuje się do zapłacenia należność wynikającej z noty obciążeniowej przedstawionej przez NFZ i brak jest procedury pozwalającej na jednoznaczną weryfikację jej wysokości.

6. RSA w Polsce – rekomendacje

6.1. Wprowadzenie

Ustawa o refundacji daje szerokie pole do rozwoju współpracy pomiędzy wnioskodawcami a organami administracji publicznej w celu zwiększania dostępu pacjentów do najnowszych terapii. W praktyce jednak implementacja instrumentów uzależniona jest od faktycznych możliwości organizacyjnych i technicznych poszczególnych podmiotów biorących udział w procesie oraz obowiązujących aktów prawnych, regulujących poszczególne dziedziny szczegółowe (np. zamówienia publiczne), a więc od kształtu systemu i jego elastyczności. W czasie trwania projektu instrumenty podziału ryzyka były wskazywane jako korzystne rozwiązanie dla systemu i pacjentów przez wszystkich interesariuszy, jednakże wymagające pogłębionej współpracy i ciągłej analizy możliwości ich wprowadzania i ewentualnych zmian prawnych.

Wejście w życie nowej ustawy o refundacji zmieniło zasady działania rynku leków w Polsce i miało znaczący wpływ na sytuację wszystkich interesariuszy nie tylko w kontekście refundacji, lecz także poprzez fakt wprowadzenia instrumentów dzielenia ryzyka. Ze względu na wprowadzenie mechanizmów RSA pojawiła się konieczność wypracowania nowych procedur zarządzania finansowaniem świadczeń i ich rozliczenia. Pierwsze trzy lata ustawy wskazały, że RSA stały się coraz powszechniejszym narzędziem stosowanym w czasie negocjacji z wnioskodawcami, co prowadzi nie tylko do zwiększenia dostępności do terapii, ale również do lepszej kontroli wydatków po stronie płatnika. Jednocześnie w ramach projektu zidentyfikowano potrzebę dalszego rozwoju nie tylko w zakresie prostych RSA (poprawa funkcjonowania i zarządzania prostymi typami RSA), lecz także złożonych (finansowych, lecz i opartych na wynikach zdrowotnych):

1. poszerzenie zakresu typów RSA dla określonych terapii, co dodatkowo zwiększy dostęp pacjentów do nowych, wchodzących na rynek terapii, a także pozwoli na wzrost rentowności terapii już stosowanych;
2. poszerzenie narzędzi negocjacji, które nie tylko ułatwi kontrolę wydatków, lecz także umożliwi udowodnienie zasadności stosowania nowych technologii pod kątem skuteczności czy bezpieczeństwa ich wprowadzania oraz pozwoli na zbieranie danych o rzeczywistej efektywności klinicznej terapii w Polsce;
3. wypracowanie dialogu w celu zrozumienia trudności w racjonalności wydatków na leczenie, szczególnie w przypadku oceny efektów zdrowotnych przez personel medyczny;
4. poszerzenie zakresu narzędzi rozliczania i sprawozdawania danych do płatnika (w przyszłości płatników) i zaplanowanie strukturalnie spójnego systemu.

Złożone RSA powinny być alternatywą dla obecnie funkcjonujących prostych rozwiązań RSA. Jak wskazują doświadczenia z innych krajów, najczęściej wdrażane są proste finansowe mechanizmy, jednakże istnieją sytuacje, w których bardziej specyficzne RSA stanowią lepsze rozwiązanie. Do ich oceny należy wyjść poza kwestie czysto finansowe i system ich rozliczeń, na których obecnie skupia się ocena zarówno w AOTMiT, jak i Komisji Ekonomicznej.

Projekt ten miał na celu przyjrzenie się po raz pierwszy procesowi przygotowania i implementacji instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce. W tym celu przeprowadzono m.in. serię wywiadów z przedstawicielami interesariuszy publicznych i prywatnych, a także zorganizowano warsztaty, w których udział wzięły osoby mające doświadczenie w przygotowaniu, negocjacji i realizacji instrumentów dzielenia ryzyka. W ramach projektu wykonano też *desk research* nt. działań podejmowanych w związku z realizacją RSA na świecie, celem poszukiwania najlepszych praktyk,

które mogą stanowić wzór dla Polski, a także dokonano analizy obowiązujących przepisów prawa. Dzięki szerokiemu wykorzystaniu różnorodnych źródeł informacji, bazując na wiedzy i doświadczeniu praktyków, udało się stworzyć po raz pierwszy szerszy obraz zarówno komunikacji, organizacji jak i mechanizmów działania i rozliczania RSA w Polsce po wejściu ustawy refundacyjnej. Jednocześnie należy podkreślić, iż projekt nie stanowił pogłębionej analizy z audytem wewnętrznym zaangażowanych instytucji.

Rekomendacje powstały w wyniku prowadzonych w ramach projektu spotkań ze wszystkimi zainteresowanymi stronami. W prowadzonych warsztatach udział wzięli przedstawiciele Departamentu Polityki Lekowej Ministerstwa Zdrowia, Narodowego Funduszu Zdrowia (zarówno Centrali, jak i oddziałów wojewódzkich), Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a także osoby reprezentujące podmioty odpowiedzialne, świadczeniodawców oraz dystrybutorów. Prace warsztatowe obejmowały poszukiwanie rozwiązań dla konkretnych problemów, które pojawiają się w codziennej rzeczywistości. Rekomendacje stanowią odzwierciedlenie konsensu wypracowanego przez poszczególne grupy.

Ustawa o refundacji daje szerokie pole do rozwoju współpracy pomiędzy wnioskodawcami a organami administracji publicznej w celu zwiększania dostępu pacjentów do najnowszych terapii. W praktyce jednak implementacja instrumentów uzależniona jest od faktycznych możliwości organizacyjnych i technicznych poszczególnych podmiotów biorących udział w procesie oraz obowiązujących przepisów aktów prawnych, regulujących poszczególne dziedziny szczegółowe (np. zamówienia publiczne), a więc od kształtu systemu i jego elastyczności. W czasie trwania projektu instrumenty podziału ryzyka były wskazywane jako korzystne rozwiązanie dla systemu i pacjentów przez wszystkich interesariuszy, jednakże wymagające pogłębionej współpracy i ciągłej analizy możliwości ich wprowadzania i ewentualnych zmian prawnych.

Poniższy rozdział przedstawia szczegółowe zagadnienia, które wymagają rozważenia, i podjęcia ewentualnych działań zgodnie z wypracowanymi kierunkami postępowania. Rozdział poświęcony jest rekomendacjom wypracowanym w czasie trwania projektu, odnoszącym się do najistotniejszych kwestii praktycznych. Wraz z rekomendacjami wskazane jest ich uzasadnienie – opisane są zagadnienia szczególne, które zostały poruszone w trakcie projektu, stanowiąc tło dla dalszych prac, które powinny być prowadzone przy zaangażowaniu wszystkich interesariuszy.

Przedstawione zagadnienia obejmują:

- rekomendacje ogólne, odnoszące się do przyszłej współpracy na rzecz rozwoju instrumentów dzielenia ryzyka oraz komunikacji między interesariuszami;
- rekomendacje szczególne, odnoszące się do:
 - wniosków i wytycznych dotyczących instrumentów dzielenia ryzyka;
 - wdrażania instrumentów dzielenia ryzyka – w szczególności współpracy z interesariuszami;
 - poufności instrumentów dzielenia ryzyka;
 - stosowania rabatów naturalnych;
 - wdrażania instrumentów opartych na refundacji warunkowej;
 - wdrażania instrumentów opartych na efektach zdrowotnych.

6.2. Rekomendacje ogólne

6.2.1. Rozwój instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce – komunikacja

Rekomendacje:

1. Konieczna jest kontynuacja dalszych prac nad RSA poprzez utworzenie grupy roboczej ds. rozwoju złożonych instrumentów dzielenia ryzyka w Polsce, w której będą uczestniczyć przedstawiciele MZ, NFZ, AOTMiT, przemysłu farmaceutycznego, klinicystów, świadczeniodawców, dystrybucji oraz eksperci, w przyszłości być może afiliowanej przy ministrze zdrowia.
2. Dalsza dyskusja powinna obejmować różne modele RSA, które będą odpowiadać potrzebom wszystkich interesariuszy – dyskusja powinna toczyć się nie tylko nad koncepcją, lecz przede wszystkim nad rozwiązaniami szczegółowymi związanymi z ich wdrażaniem i realizacją.
3. Należy poszukiwać i wprowadzać nowe rozwiązania prawne, nadążające za rozwojem modeli RSA w Polsce, umożliwiające sprawne ich wdrażanie i rozliczanie.
4. Konieczne jest prowadzenie stałej i szczegółowej analizy liczby, rodzajów oraz wpływu RSA na budżet NFZ, a także regularne publikowanie tych informacji.
5. W zakresie procedur i praktycznych aspektów wdrażania RSA sugeruje się prowadzenie regularnych szkoleń i warsztatów dla AOTMiT, Rady Przejrzystości oraz Komisji Ekonomicznej, ale także wnioskodawców.

Zidentyfikowane zagrożenia

- Rozwój instrumentów dzielenia ryzyka jest zależny nie tylko od ram prawnych do ich tworzenia, lecz także w znaczącym stopniu od sprawnego zarządzania procesem wdrażania oraz dalszej realizacji RSA w istniejącym, złożonym systemie ochrony zdrowia.
- Niezbędnym elementem rozwoju instrumentów dzielenia ryzyka jest więc otwarty dialog pomiędzy wszystkimi interesariuszami, których udział w realizacji RSA, w przypadku wdrażania bardziej złożonych rozwiązań, będzie w przyszłości musiał znacząco wzrosnąć.
- Szersza dyskusja nad instrumentami dzielenia ryzyka w Polsce ma charakter sporadyczny i w przeważającej formie jest prowadzona wyłącznie przy okazji toczącego się postępowania refundacyjnego, w szczególności negocjacji wnioskodawcy z Komisją Ekonomiczną.
- Prowadzone rozmowy ograniczają się głównie do powielania dotychczas funkcjonujących schematów instrumentów, uważanych za względnie bezpieczne i proste w realizacji (ewentualnie uważane za sprawdzone), pomimo iż nie odpowiadają zapotrzebowaniu wszystkich uczestników systemu – brak jest rozmów mających na celu planowanie przyszłych działań w kwestii wprowadzania nowych form lub bardziej złożonych RSA czy też analizę skutków dotychczas wprowadzonych instrumentów.
- Istnieje znacząca asymetria informacji pomiędzy poszczególnymi interesariuszami zarówno w możliwości koncepcji opracowywania RSA, jak i możliwości ich wdrażania.

Dyskusja

W czasie spotkań i dyskusji prowadzonych w ramach Projektu wszyscy interesariusze wyrazili chęć przyszłego wykorzystywania coraz bardziej złożonych rozwiązań RSA. Projekt uzyskał m.in. wsparcie ministra zdrowia, przez którego był przedstawiany, jako przykład dobrej współpracy organu ze stroną prywatną¹⁹⁰. Sam Projekt okazał się nadzwyczaj efektywnym mechanizmem służącym spotkaniom i przez to zbieraniem i wymianą informacji pomiędzy wszystkimi interesariuszami. Jego sukcesu należy upatrywać w unikaniu zagadnień o charakterze partykularnym, odpowiadających interesowi wyłącznie jednej ze stron procesu. Odejście od zazwyczaj zajmowanych stanowisk

¹⁹⁰ Wypowiedź podsekretarza stanu Igora Radziejewicza-Winnickiego podczas 61. posiedzenia Senatu RP VIII kadencji dostępna na stronie internetowej Senatu pod adresem: <http://www.senat.gov.pl/prace/senat/posiedzenia/przebieg,283,2.html>

i skupienie się na dyskusji systemowej oraz procesami pozwoliło na efektywne poszerzenie świadomości i zrozumienia ograniczeń i kwestii istotnych dla poszczególnych stron.

Projekt unaoczniał znaczną asymetrię w wiedzy i doświadczeniu interesariuszy oraz zakresie dostępnych dla poszczególnych podmiotów informacji, jednocześnie pokazując, iż w warunkach wolnych od dyskusji nad interesami poszczególnych uczestników systemu możliwa jest efektywna współpraca poprzez dzielenie się wiedzą i doświadczeniami oraz poszukiwanie konsensusu w zakresie zagadnień dotyczących wszystkich zainteresowanych stron, szczególnie w przypadku wdrażania coraz bardziej złożonych typów RSA. W zakresie skuteczności komunikacji znaczna część ze zidentyfikowanych najistotniejszych problemów związanych z realizacją instrumentów dzielenia ryzyka wynika z ograniczonych możliwości formalnego prowadzenia dialogu oraz otwartej współpracy pomiędzy instytucjami publicznymi a wnioskodawcami, wykraczającej poza prowadzone przez ministra zdrowia postępowanie refundacyjne. Dotychczasowy model opierał się wyłącznie na dyskusji na temat konkretnych propozycji instrumentów składanych przez wnioskodawców i nie obejmował dogłębnej analizy poszczególnych przedstawianych zagadnień (w tym implementacyjnych).

Podstawowe uwarunkowania komunikacji związane z RSA wynikają z zadań interesariuszy określonych w ustawie o refundacji. Największa odpowiedzialność za przygotowanie RSA spoczywa na wnioskodawcy, który w tym celu musi analizować i badać przede wszystkim zakres możliwości finansowych, jak i praktycznych, zakładających funkcjonowanie obecnego systemu (kanałów dystrybucji, sprawozdawania, rozliczania oraz prawidłowej realizacji) przed złożeniem RSA. Niektóre koncepcje RSA, pomimo że korzystne dla pacjentów i dla MZ, są odrzucane na etapie tworzenia koncepcji, gdyż ich wdrożenie może wymagać zmian w systemie, które nie są do przewidzenia przez wnioskodawcę. W praktyce zakres analizy jest uwarunkowany wcześniejszymi doświadczeniami i wynikami poprzednich postępowań refundacyjnych.

W procesie planowania rozwoju RSA istotne jest zwrócenie uwagi na proces zarządzania, komunikacji i analizy zagadnień dotyczących:

- kontraktów ze świadczeniodawcami – zakres danych dostępnych dla świadczeniodawców i kwestie zachowania poufności,
- miejsca i roli zespołów koordynujących,
- miejsca i roli WGL w relacji z Centralą NFZ oraz świadczeniodawcą i wnioskodawcą,
- tworzenia wewnętrznych procedur w szpitalach w zakresie kontroli i realizacji RSA,
- szkoleń świadczeniodawców w zakresie RSA (zwłaszcza w zakresie *outcome based* czy *conditional*),
- łańcucha obrotu lekami,
- sprawozdawczości – w zakresie finansowo-rozliczeniowym i efektów zdrowotnych pomiędzy świadczeniodawcą a NFZ, a następnie MZ.

Jednocześnie rozważając przyszłe zmiany systemu, należy zapewnić możliwość przekazywania wiedzy osobom zaangażowanym w proces implementacji RSA – dotyczy to w szczególności osób zajmujących się oceną składanych wniosków (w tym pracowników Ministerstwa Zdrowia, AOTMiT). Nieznajomość bieżących kwestii związanych z realizacją instrumentów (w tym zmian w procedurach prawnych) istotnie rzutuje na podejmowane na tym etapie decyzje.

W świetle powyższych dalszy rozwój nowych instrumentów dzielenia ryzyka – z zastosowaniem dotychczasowego modelu współpracy – byłby znacząco utrudniony, jeżeli nie niemożliwy. Zbyt wielka liczba zmiennych i elementów systemu (interesariuszy, zasobów, zobowiązań czy obowiązujących aktów prawa) mających wpływ na jego funkcjonowanie, wykraczających poza zagadnienia, którymi na co dzień zajmuje się którykolwiek z podmiotów czy organów, powodują, że kompleksowe planowanie przyszłych działań powinno być oparte na dialogu i wzajemnej wymianie doświadczeń.

6.2.2. Zarządzanie realizacją RSA

Rekomendacje:

1. Utworzenie w ramach struktur NFZ funkcji koordynatora RSA (samodzielnego lub działającego ze wsparciem odpowiedniego zespołu, w zależności od potrzeb związanych z liczbą i rodzajem wdrażanych RSA). Koordynator byłby, w szczególności, odpowiedzialny za współpracę z MZ i OW NFZ we wdrażaniu RSA oraz zbieranie i wymianę informacji na temat bieżących problemów związanych z implementacją zaakceptowanych instrumentów dzielenia ryzyka. Koordynator zapewniłby także harmonizację bieżących działań prowadzonych przez poszczególne oddziały wojewódzkie oraz zadań przekazywanych do realizacji innym podmiotom, w tym ewentualne rozstrzyganie problemów w kontaktach z świadczeniodawcami. Funkcja koordynatora RSA powinna być całkowicie oddzielona od procesu podejmowania decyzji o refundacji, w tym planowania i negocjowania poszczególnych instrumentów.
2. „Instytucjonalizacja” komunikacji w sprawie rozwoju i wdrażania RSA pomiędzy MZ i NFZ poprzez wskazanie w obu instytucjach osób odpowiedzialnych za RSA i stale się tym tematem zajmujących. W NFZ funkcję tę spełniałby koordynator RSA.
3. Wzmocnienie struktur i zasobów NFZ dla zapewnienia realnej weryfikowalności prawidłowego zarządzania, wdrażania i rozliczania RSA (w zakresie instrumentów finansowych i wynikowych).

Zidentyfikowane zagadnienia

- Ciężar realizacji RSA w praktyce spoczywa przede wszystkim na Narodowym Funduszu Zdrowia, który odpowiada zarówno za rozliczanie instrumentów, jak i ich monitorowanie i kontrolę;
- W praktyce w NFZ ujawniają się przypadki braku efektywnej wymiany informacji, zarówno pionowej (pomiędzy Centralną a OW), jak i poziomej (pomiędzy poszczególnymi departamentami Centrali NFZ czy OW).
- NFZ pełni rolę łącznika pomiędzy różnymi interesariuszami, jednakże rola ta jest pełniona w sposób rozproszony – przez osoby na różnych stanowiskach i w różnych departamentach, bez wskazania procedur, zakresu przekazywanych informacji oraz przypisanej odpowiedzialności poszczególnych osób.
- Wraz ze zwiększeniem obowiązków po stronie NFZ wynikających z wdrażania coraz większej liczby RSA nie nastąpił wzrost zasobów, pozwalający na efektywną realizację nowo powierzonych zadań, a w przypadku wdrażania złożonych RSA może to stać się przyczyną niepowodzenia.

Dyskusja

Implementacja i realizacja RSA po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej opiera się obecnie głównie na działaniach podejmowanych przez NFZ, który odpowiada za ich kontrolę, monitorowanie i rozliczanie oraz komunikowanie się z MZ. Jest to bezpośrednio związane z faktem, iż w praktyce jedynymi przyjętymi w Polsce instrumentami są te o charakterze finansowym, w przypadku których aktywność innych podmiotów sprowadza się do identycznych zadań, jak w przypadku świadczeń, dla których nie ustalono RSA. Pozycja tej instytucji i jej przyszłe zadania mogą ulec zmianie wraz z rozwojem i wdrażaniem złożonych RSA oraz zmianą zakresu uprawnień i obowiązków poszczególnych instytucji publicznych (potencjalnych zmian w roli i miejscu) w Polsce, np. w przypadku wzrostu roli CSIOZ lub – w dalszej przyszłości – wprowadzenia innych płatników. Niezwykle istotne jest, by zasoby Narodowego Funduszu Zdrowia, jego organizacja wewnętrzna, a także procedury w zakresie komunikacji (wewnętrznej i zewnętrznej) odpowiadały zadaniom wynikającym z przepisów prawa i potrzebom wdrażania RSA.

NFZ znajduje się w centrum relacji wszystkich uczestników systemu. Stąd też istotne staje się stworzenie nie tylko właściwych procedur, lecz ciągła ocena praktyczności ich zastosowań oraz efektywności w realizacji w odpowiednim czasie. To niesie za sobą konieczność koordynacji działań zarówno wewnątrz NFZ, w dół w kierunku świadczeniodawców, jak i w górę (informacja zwrotna do MZ), wraz z określeniem obszarów komunikacji dla poszczególnych instytucji.

NFZ nie prowadzi planowania, wdrażania, a następnie koordynacji działań pomiędzy poszczególnymi departamentami czy WGL w zakresie RSA (ujednolicenie procedur) czy też działań naprawczych. Prowadzi to do sytuacji, kiedy poszczególne wydziały OW i świadczeniodawcy zajmują się często identycznymi problemami, które są rozwiązywane lokalnie i w sposób niejednolity lub w różnym czasie. Stąd nadrzędne staje się wprowadzenie planowania i koordynacji wdrożenia centrali RSA (w tym różnych departamentów) we współpracy z OW oraz wypracowanie procedur i ich standaryzacja. Nie ma możliwości pełnej standaryzacji procesu, gdyż ze względu na nowo wchodzące terapie w niektórych wskazaniach, kształtowanie się praktyki u świadczeniodawców oraz brak doświadczeń personelu medycznego na polskiej populacji chorych, będą pojawiały się sytuacje nowe i niestandardowe, wymagające reagowania i zarządzania skoordynowanego, szczególnie w przypadkach nietypowych sytuacji klinicznych, jak i zarządczych, w trakcie realizacji RSA. Tym niemniej wymiana informacji jest najistotniejszym narzędziem unikania ponownego popełniania tych samych błędów i zarządzania ciągłą zmianą w systemie.

Dodatkowo w przyszłości rola wnioskodawców prawdopodobnie znacząco wzrośnie – przejmą na siebie więcej obowiązków w zakresie realizacji RSA (zwłaszcza wtedy, gdy do ich obowiązków będzie należało prowadzenie badań klinicznych jako np. warunkowej refundacji czy zbieranie danych klinicznych potwierdzających skutki terapii). Z tego powodu niezbędne stanie się wprowadzenie w Narodowym Funduszu Zdrowia procedur bezpośrednich kontaktów z podmiotami prywatnymi – wnioskodawcami i innymi podmiotami wspierającymi realizację instrumentu – w zakresie szerszym niż tylko dokonywanie finalnych rozliczeń (przesyłanie not obciążeniowych i zapłata kwot z nich wynikających), obejmującym współpracę na etapie wdrażania mechanizmów oraz ich realizacji. Z tego powodu dotychczasowa praktyka, polegająca na wyłącznie udzielaniu wyjaśnień ministrowi zdrowia w postępowaniu o niewykonywanie instrumentu, nie będzie wystarczająca i ze względu na czasochłonność wymaga wdrożenia rozwiązywania problemów na niższych strukturach zarządzania niż MZ.

Wszystkie powyższe działania wymagają koordynacji, a potrzeba ta będzie tylko wzrastać wraz z wprowadzeniem nowych typów RSA. Dlatego też koniecznym wydaje się wprowadzenie w Narodowym Funduszu Zdrowia osoby (koordynatora RSA) odpowiadającej za komunikację oraz zarządzanie RSA w zakresie co najmniej implementacji i komunikacji z MZ.

6.3. Rekomendacje szczegółowe

6.3.1. Wytyczne i wnioski dla RSA

Rekomendacje:

1. MZ, AOTMiT oraz NFZ powinny określić zakres informacji niezbędnych dla właściwej oceny instrumentów dzielenia ryzyka. Mogą one przyjąć formę opracowania oficjalnych wytycznych dla wnioskodawców oraz wzoru wniosków dla instrumentów dzielenia ryzyka.
2. Wytyczne oraz wzory wniosków mogą mieć charakter informacyjny, niewiążący bezpośrednio dla organów i dla wnioskodawców. W przyszłości, wraz z rozwojem dobrych praktyk, mogą stać się przedmiotem odpowiednich zmian legislacyjnych.
3. Wnioski obejmujące złożone instrumenty dzielenia ryzyka powinny zawierać kompleksowy i szczegółowy opis propozycji rozwiązań w zakresie ich wdrożenia wraz z uzasadnieniem wyboru instrumentu, przy uwzględnieniu:
 - celu wdrożenia instrumentu podziału ryzyka,
 - populacji objętej danym instrumentem,
 - propozycji rodzaju i warunków stosowanego instrumentu,
 - schematu leczenia, który finansuje płatnik (warunków refundacji),
 - źródeł i zakresu danych medycznych zbieranych na potrzeby realizacji instrumentu,
 - schematu monitorowania skuteczności terapii,
 - definicji sukcesu terapeutycznego i braku efektu,

- szczegółowych zasad funkcjonowania instrumentu,
 - zasad dystrybucji produktu objętego instrumentem,
 - przepływów finansowych i ustalenia warunków zwrotu środków (lub rabatów rzeczowych i innych warunków szczególnych),
 - wniosków wynikających z wcześniejszych konsultacji z instytucjami publicznymi,
 - oceny zgodności z przepisami prawa.
4. MZ powinno opublikować zasady oraz kryteria weryfikacji i oceny przedstawianych instrumentów dzielenia ryzyka w celu zapewnienia przejrzystości podejmowanych działań i powtarzalności wyników prowadzonych postępowań.

Zidentyfikowane zagadnienia

- Spełnienie oczekiwań MZ odnośnie treści wniosków w zakresie proponowanych RSA sprawia poważne trudności wnioskodawcom, szczególnie w aspektach praktycznych.
- Ustawa o refundacji nie przewiduje jakiegokolwiek wzoru dokumentu, który obejmowałby treść propozycji RSA, a wypracowane rozwiązania są indywidualne i niewystandaryzowane.
- Braki informacyjne po stronie wnioskodawców i organów prowadzą do negocjacji prowadzonych w sposób nieoptymalny, utrudniający osiągnięcie porozumienia przez brak pełnego zrozumienia stanowisk obu stron, szczególnie w przypadku asymetrii informacji na temat praktycznych aspektów realizacji RSA.
- Wnioskodawcy nie znają kryteriów oceny propozycji RSA, co utrudnia przedstawienie wniosku, który mógłby zostać zaakceptowany przez organ.

Dyskusja

Składanie i rozpatrywanie wniosków zawierających instrument dzielenia ryzyka jest istotnie utrudnione przez brak wzoru standardowego wniosku RSA czy standaryzacji elementów takiego wniosku. Istotnym zagrożeniem przy składaniu wniosku jest znaczna asymetria informacji dotyczących produktu i proponowanego instrumentu, a także potencjalnego ich wpływu na system ochrony zdrowia oraz praktyczne aspekty realizacji. Negatywne skutki tej sytuacji odczuwają obie strony, zarówno wnioskodawca, jak i minister zdrowia – pierwszy nie będąc w stanie przygotować wniosku zgodnie z oczekiwaniami organu, a przez to zmniejszając szanse na jego pozytywne rozpatrzenie, drugi – nie otrzymując pełnego zakresu informacji potrzebnego do podjęcia racjonalnej decyzji refundacyjnej z powodu braku informacji zwrotnej o działających instrumentach lub pojawiających się nowych rozwiązaniach w systemie. Jest to niezwykle ważne nie tylko ze względu na obowiązki organu administracji publicznej w postępowaniu administracyjnym względem strony postępowania, ale przede wszystkim z uwagi na odpowiedzialność ciążącą na ministrze zdrowia, wynikającą z kreowania polityki lekowej państwa.

Wskazane problemy występowały również w innych państwach stosujących RSA. Rozwiązaniem powszechnie przyjętym przez organy władz publicznych tych państw są wytyczne dla wnioskodawców i wzory wniosków w zakresie RSA (np. Australia, Szkocja, Anglia – załącznik nr 1).

Tworzenie wytycznych dla szczegółowych rozwiązań określonych problemów jest formą standaryzacji postępowania i dokumentacji oraz określenia zakresu informacji niezbędnych do oceny instrumentów dzielenia ryzyka (przede wszystkim w zakresie ujednolicenia stosowanej terminologii oraz ram czasowych elementów dzielenia ryzyka). Wytyczne opracowywanej dokumentacji są obecne przy podejmowaniu decyzji na różnych poziomach, od postępowania w terapii konkretnym preparatem począwszy, a skończywszy na różnego rodzaju problemach systemowych, w tym na przykład związanych z refundacją. W Polsce od lat z powodzeniem funkcjonują wytyczne oceny techno-

logii medycznych¹⁹¹, które w ostatnim czasie zostały uzupełnione o minimalne wymagania, jakie muszą spełniać analizy uwzględniane we wnioskach refundacyjnych¹⁹².

Rozporządzenie ministra zdrowia, zawierające wspomniane minimalne wymagania jedynie formalnie, odnosi się do konieczności przedstawienia analiz HTA z uwzględnieniem oraz bez uwzględnienia proponowanego instrumentu podziału ryzyka. Jednakże zarówno w omawianym rozporządzeniu, jak i w ustawie wprowadzającej pojęcie RSA do polskiej polityki refundacyjnej, brak jest szczegółów dotyczących dopuszczalnego kształtu oraz obligatoryjnych elementów RSA. W państwach, w których RSA są obecne dłużej niż w Polsce, również w zakresie ich zawierania zostały wprowadzone swego rodzaju wytyczne opracowania dokumentacji dotyczącej RSA i jej zakresu.

Z reguły wytyczne przygotowywane są przez organy, do których składane są wnioski refundacyjne. Odbycha się to najczęściej przy udziale innych interesariuszy w ramach konsultacji toczących się na etapie przygotowywania. Wytyczne dla instrumentów dzielenia ryzyka w poszczególnych państwach różnią się pod względem zakresu i szczegółowości. Często wytyczne RSA są opisane razem z zasadami postępowania w zakresie składania wniosków refundacyjnych. Zestawienie państw, w których obecne są wytyczne i/lub szablony RSA przedstawiono w tabeli 16.

Tabela 16. Wytyczne RSA i wnioski w wybranych krajach

Państwo	Wytyczne	Funkcja	Szablony wzoru wniosku
Anglia	TAK (odrębne dla RSA)	Obowiązkowe	TAK
Australia	TAK (odrębne dla RSA)	Informacyjne	TAK
Czechy	TAK (dla wniosków ref./j. ang.)	Obowiązkowe	TAK (wniosek elektroniczny)
Francja	TAK (dla wniosków ref.)	Obowiązkowe	TAK
Niemcy	NIE (umowa z przemysłem)	-	TAK
Szkocja	TAK (odrębne dla RSA)	Obowiązkowe	TAK
Szwecja	TAK (dla wniosków ref./j. ang.)	Obowiązkowe	TAK (wniosek elektroniczny)
Walia	TAK (odrębne dla RSA)	Obowiązkowe	TAK
Węgry	TAK (dla wniosków ref.)	?	TAK (wniosek elektroniczny)
Włochy	TAK (dla wniosków ref.)	Obowiązkowe	TAK (wniosek elektroniczny)

Wytyczne zawierają najczęściej:

- przedstawienie kontekstu systemowego,
- wprowadzenie odpowiedniej terminologii i klasyfikacji RSA,
- określenie podstawowych elementów instrumentów dzielenia ryzyka,
- przedstawienie uczestników procesu opracowywania RSA,
- przedstawienie ram współpracy z wnioskodawcami,
- opis przebiegu oceny wniosku,
- przedstawienie zasad postępowania na poszczególnych etapach oceny RSA,
- opis kryteriów oceny RSA,
- określenie ram czasowych oceny RSA,
- odniesienie się do RSA w kontekście obowiązujących przepisów prawa.

¹⁹¹ Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA). Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Warszawa, kwiecień 2009.

¹⁹² Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 roku w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.

W załączniku 1 w sposób bardziej szczegółowy przedstawiono wytyczne i szablony funkcjonujące w trzech wybranych państwach.

Jednocześnie wzory wniosków stanowią często obszerne dokumenty i odnoszą się do wielu elementów RSA, takich jak:

- rodzaj i warunki stosowanego instrumentu,
- szczegółowe przedstawienie zasad funkcjonowania instrumentu,
- konsultacje z organem oceniającym wnioskowany instrument,
- zbieranie danych w czasie realizacji instrumentu,
- przepływy finansowe,
- zgodność z przepisami prawa.

W niektórych państwach wymaga się, aby już na poziomie wniosku o RSA rozważyć tak newralgiczne kwestie, jak równość dostępu terapii i sposób ich zaadresowania w kontekście proponowanego instrumentu, czy poufność i ochrona danych pacjenta.

Funkcja wytycznych może być ograniczona do roli informacyjnej. Materiały zawarte w takich wytycznych są wtedy dodatkowym źródłem informacji dla wnioskodawcy. W takich przypadkach wytyczne mają charakter bardziej ogólny i stosowanie się do nich nie jest bezwzględnie wymagane. W przypadku wytycznych formalnych, których przestrzeganie jest obowiązkowe dla wnioskodawcy, stanowią one dokumenty zawierające bardzo szczegółowe wymagania.

Przygotowanie tego typu wzoru lub wytycznych przez ministra zdrowia z pewnością spotkałoby się z poparciem ze strony wnioskodawców. Nawet jeżeli byłby to dokumenty niewiążące, z perspektywy tych podmiotów oznaczałoby to możliwość lepszego dostosowania do wymogów organów, a przez to zmniejszenie niepewności związanej ze składanym wnioskiem.

6.3.2. Ocena wniosków RSA

Rekomendacje:

1. Powołanie multidyscyplinarnego zespołu o charakterze eksperckim do prac związanych z oceną możliwości wdrażania konkretnych, złożonych instrumentów dzielenia ryzyka, poprzez konsultacje ich propozycji, wspierające MZ podczas oceny wniosku (równoległe do prac AOTMiT). Zespół taki powinien składać się z przedstawicieli NFZ, świadczeniodawców, Zespołów Koordynujących, a w przyszłości prawdopodobnie również CSIOZ i ewentualnie innych interesariuszy. Wnioskodawca powinien mieć możliwość składania dodatkowych wyjaśnień na posiedzeniach tego zespołu.
2. Stworzenie procedur i wdrożenie procesów konsultacji wnioskodawcy z przedstawicielami MZ i NFZ prowadzonych przed formalną propozycją złożonego RSA. Celem takich konsultacji byłoby omawianie praktycznych rozwiązań we wdrażaniu zaproponowanego RSA, odpowiadających możliwościom realizacyjnym NFZ oraz świadczeniodawców.

Zidentyfikowane zagadnienia

- Istotną barierą w rozwoju RSA w Polsce jest brak dyskusji o wdrażaniu RSA (szczególnie złożonych) na etapie składania ich propozycji w postępowaniu refundacyjnym.
- Brak wsparcia ekspertów działających w innych obszarach systemu powoduje, że dyskusja często kierowana jest z powrotem na najprostszego rodzaju instrumenty finansowe, dla uniknięcia potencjalnych pułapek związanych z nowymi rozwiązaniami zarówno na poziomie zarządzania, jak i konkretnych narzędzi.

- Aktualnie obowiązująca procedura oceny wniosków refundacyjnych nie uwzględnia specyfiki RSA (zarówno pod względem typu, jak i czasu składania propozycji) i nie zapewnia warunków do prawidłowej oceny ich postanowień w każdym postępowaniu.
- Częstokroć sytuacja wnioskodawcy jest istotnie utrudniona, gdy przedstawi on jako pierwotną propozycję bardziej złożoną formę instrumentu, nie mając wcześniej możliwości dialogu na temat jego potencjalnego wdrożenia czy obecnych ograniczeń, a brak ustaleń w tym zakresie powoduje brak zgody organu na złożoną propozycję.

Dyskusja

Ustawa o refundacji przewiduje standardową procedurę oceny wniosków refundacyjnych, która nie uwzględnia w szczególności sposobu instrumentów dzielenia ryzyka. Skutkiem takiego rozwiązania jest fakt, iż instrumenty podlegają ocenie AOTMiT wyłącznie w przypadkach złożenia ich propozycji wraz z analizami HTA. W rzeczywistości jednak może zaistnieć potrzeba dokonania wszechstronnej oceny złożonej propozycji również wtedy, gdy pojawi się ona na późniejszym etapie postępowania, np. w czasie negocjacji prowadzonych z Komisją Ekonomiczną. Brak jest też takiej oceny w sytuacji, gdy przedstawiciele Komisji Ekonomicznej sugerują treść instrumentu. Skutki zastosowania stoją także po stronie Komisji Ekonomicznej, również w przypadku zmiany ceny leków warunkowanej innymi przesłankami niż efekt zdrowotny czy dodatkowy efekt zdrowotny. Ustawa nie wskazuje konieczności oceny RSA w przypadku, gdy jego propozycja zostanie złożona przez wnioskodawcę na etapie negocjacji prowadzonych z Komisją Ekonomiczną, nawet gdy z propozycją w tym zakresie wyjdą przedstawiciele samej Komisji Ekonomicznej. Jednocześnie pełna ocena propozycji o charakterze finansowym wydaje się niezasadna w sytuacji, gdy cena progowa nie jest przekraczana.

W ostatnim czasie minister zdrowia przyjął praktykę zlecenia prezesowi Agencji wykonania odrębnych analiz w tym zakresie¹⁹³. Skutkuje to wydłużeniem czasu wydawania decyzji, a także brakiem standardów wykonywania analiz na potrzeby RSA i wydawania rekomendacji przez AOTMiT – w praktyce nie są to analizy spełniające wymogi przewidziane dla pierwotnych wniosków, ale różnego rodzaju wariacje analiz, np. wrażliwości z nowymi założeniami co do populacji, zmianami parametrów modeli itp. Mając na uwadze ograniczony czas na wydanie decyzji przez MZ, konieczne może być wzmocnienie w tym zakresie zaplecza merytorycznego i analitycznego Komisji Ekonomicznej.

Jednocześnie w razie istotnej zmiany warunków negocjowanego instrumentu dzielenia ryzyka lub innych elementów decyzji, np. ograniczenie populacji, ustawa nie przewiduje możliwości przeprowadzenia ponownej analizy przez AOTMiT pod kątem skutków zmiany dla oceny efektywności kosztowej wnioskowanej technologii lekowej, co stanowiłoby bardzo istotne wsparcie dla bieżących prac Komisji Ekonomicznej, która często prowadzi negocjacje pod znaczącą presją czasu.

Ustawa o refundacji w sposób sztywny reguluje kolejne etapy procedury refundacyjnej, w szczególności wskazując, na którym etapie każda z instytucji biorących udział w procesie przedstawia swoje stanowisko. Rozwiązanie to nie odpowiada rzeczywistym potrzebom różnych interesariuszy. Konieczna jest szersza ocena złożonych RSA, która uwzględniałaby kwestie implementacyjne – choćby w postaci stanowiska NFZ – koordynatora RSA czy Zespołów Koordynacyjnych. Na świecie ocena taka wspierana jest przez zewnętrznych ekspertów, którzy mogą uzupełnić wiedzę techniczną i praktyczną instytucji publicznych.

Postępowanie refundacyjne powinno uwzględniać specyfikę instrumentów dzielenia ryzyka – konieczność ich weryfikacji, nie tylko pod względem skutku finansowego dla płatnika (co dzisiaj ma miejsce przede wszystkim), ale również kwestia możliwości jego implementowania i związanych z nim potrzebnych rozwiązań prawnych, technicznych i organizacyjnych. Jednocześnie postępowanie w obecnej postaci nie uwzględnia przepisów Kodeksu postępowania administracyjnego, pozwalającego wnioskodawcy na zmianę wniosku na dowolnym etapie procesu – aż do wydania decyzji administracyjnych przez ministra zdrowia. Konsekwencją tego jest ograniczona możliwość

¹⁹³ Zadania zlecone na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy o świadczeniach.

weryfikacji zmian w treści samego instrumentu (zwłaszcza w sytuacjach propozycji bardzo złożonych) na kolejnych etapach postępowania, które następnie mogą nie podlegać pełnej ocenie.

Ustawa o refundacji przewiduje co do zasady 180-dniowy termin na rozpatrzenie wniosków refundacyjnych – jego długość wynika z postanowień „dyrektywy przejrzystości”¹⁹⁴. Wydaje się rozsądne stworzenie procesów usprawniających ocenę RSA w tym szczególnie złożonych na poszczególnych etapach. Stanowi to prawdopodobnie kolejną przyczynę stosowania względnie najprostszych rozwiązań w systemie obok ograniczeń obecnego systemu. Jednym ze sposobów rozwiązania tego problemu, stosowanym w innych państwach, jest wprowadzanie możliwości dialogu z podmiotami odpowiedzialnymi jeszcze na etapie poprzedzającym złożenie wniosku refundacyjnego. Analogiczne procedury są szeroko rozpowszechnione w przypadku organów zajmujących się rejestracją produktów leczniczych¹⁹⁵. Działanie takie umożliwiłoby składanie propozycji instrumentów dzielenia ryzyka odpowiadających potrzebom ministra zdrowia i istotnie usprawniłoby przyszłe postępowanie, jednocześnie zwiększając szanse na wzajemną wymianę informacji i potencjalne planowanie zmian w systemie.

6.3.3. Procedury wdrażania instrumentów dzielenia ryzyka

Rekomendacje:

1. Przekazywanie do NFZ decyzji administracyjnych i całej dokumentacji (w tym dokumentów przekazywanych do AOTMiT) dotyczącej instrumentów dzielenia ryzyka powinno odbywać się niezwłocznie, gdy wydana decyzja stanie się ostateczną. NFZ musi dysponować jak najdłuższym czasem na zaplanowanie i wdrożenie instrumentu, jeszcze przed jego wejściem w życie w dacie określonej w samej decyzji. W szczególności dotyczy to przygotowanych modeli obliczeniowych, szczegółowych opisów wniosków z aspektami praktycznymi, analiz oraz zestawień z ATOM i Komisji Ekonomicznej, przekazanych ministrowi zdrowia i Komisji Ekonomicznej przez wnioskodawców na etapie ustalania warunków instrumentów.
2. Należy rozważyć wydawanie decyzji z odroczoną datą wejścia w życie w przypadkach zatwierdzenia RSA o typie złożonym (finansowych, wynikowych i warunkowych), pozwalającą na opracowanie niezbędnej dokumentacji w NFZ, wypracowanie zapisów do umów i dokumentów RSA przed ogłoszeniem konkursu dla świadczeniodawców oraz modyfikację koniecznych instrumentów sprawozdawczości (w tym narzędzi IT).
3. Świadczeniodawcy, w tym lekarze-klinicyści, powinni być angażowani w proces uzgadniania szczegółów wdrożeniowych RSA na etapie prac w NFZ. Może się to odbywać np. poprzez zaangażowanie Zespołów Koordynacyjnych w proces komunikacji, w szczególności poprzez zapewnienie możliwości komunikacji zwrotnej od świadczeniodawców czy personelu medycznego do koordynatora RSA w NFZ oraz w oddziałach wojewódzkich.
4. Planowanie systemów rozliczania instrumentów dzielenia ryzyka powinno odbywać się na początkowym etapie ich wdrażania, a systemy te powinny być dostosowane do poszczególnych typów RSA (wraz z systemem kontroli), tak aby obniżyć koszty administracji i ewentualnie kontroli, respektując zasadę minimalnego obciążenia poszczególnych podmiotów.

Zidentyfikowane zagrożenia

- Rzeczywiste rozpoczęcie realizacji świadczeń (programów lekowych) udzielanych w lecznictwie zamkniętym jest częstokroć znacząco odsunięte w czasie w stosunku do daty publikacji obwieszczenia ministra zdrowia obejmującego wydaną decyzję (daty jej wejścia w życie).
- Rozpoczęcie prac nad wdrażaniem RSA przez NFZ jest często opóźnione ze względu na oczekiwanie na publikację obwieszczeń MZ, które są traktowane jako punkt rozpoczęcia działań do jego realizacji, pomimo upływu terminu strony na odwołanie od decyzji refundacyjnej, a więc od chwili, kiedy decyzja jest ostateczna, a NFZ mógłby rozpocząć proces jej wdrażania.

¹⁹⁴ Dyrektywa Rady z dnia 21 grudnia 1988 r. dotycząca przejrzystości środków regulujących ustalanie cen na produkty lecznicze przeznaczone do użytku przez człowieka oraz włączenia ich w zakres krajowego systemu ubezpieczeń zdrowotnych (89/105/EWG), Dz. Urz. UE L 40 z 11 lutego 1989 r., str. 8).

¹⁹⁵ Tzw. „scientific advice” prowadzi (odpłatnie) zarówno Europejska Agencja Leków, jak i organy krajowe w Wielkiej Brytanii, Szwecji i w innych państwach członkowskich.

- NFZ nie działa w oparciu o wszystkie dostępne dane w zakresie instrumentów (np. analizy zawarte we wniosku), co może mieć istotne znaczenie przy wdrażaniu RSA opartych na efektach klinicznych.

Dyskusja

Stałym elementem wpływającym na wdrażanie nowych świadczeń objętych refundacją jest konieczność zapewnienia pacjentom jak najszybszego dostępu do terapii. W chwili obecnej, w szczególności w przypadku programów lekowych, dostęp ten jest opóźniony o około 2-5 miesięcy (od momentu wydania decyzji do momentu podpisania kontraktów z świadczeniodawcami). Wynika to z konieczności wydania zarządzenia przez prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia, zawarcia umów ze świadczeniodawcami w trybie przewidzianym ustawą o świadczeniach, a dodatkowo – w przypadku istnienia zespołu koordynacyjnego – włączanie pacjentów może być opóźnione dla poszczególnych programów. Problem ten będzie szczególnie istotny w przypadku instrumentów opartych o efekty zdrowotne (*outcome based*) czy badania kliniczne (warunkowa refundacja), gdyż każde opóźnienie w zakresie implementacji, a następnie w dostępie do terapii może wpłynąć na proces prowadzenia danych (konieczność uzupełniania retrospektywnie) i może istotnie ograniczyć funkcjonalność instrumentów, które ze swojej natury mają dłuższy czas obserwacji (instrumenty uzależnione od wyniku terapii są zawierane w innych państwach nawet na okres pięciu lat i dłuższy – dla możliwości prawidłowej ich oceny pod względem nie tylko merytorycznym, lecz także funkcjonalnym).

Ministerstwo Zdrowia już obecnie dostrzega istotną rolę lekarzy klinicystów w funkcjonowaniu programów lekowych na poziomie organizacyjnym oraz w przyszłości w RSA opartych na wynikach klinicznych. Stąd wdrażanie w ostatnich latach zespołów koordynacyjnych do kolejnych programów lekowych i czynione starania do ich właściwego umocowania na poziomie ustawowym – stosowne postanowienia zawierał już projekt ustawy zmieniającej ustawę o refundacji leków, środków spożywczych przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych opublikowany przez ministra zdrowia¹⁹⁶. Nie ulega wątpliwości, że wraz z rozwojem instrumentów dzielenia ryzyka, szczególnie w oparciu o efekty zdrowotne – aktualizacją zagadnień włączania pacjentów do programu, ich monitorowania i wyłączenia zgodnie z kryteriami określonymi w programie (a niosącymi za sobą istotne konsekwencje finansowe wynikające z zawartego instrumentu) – rola klinicystów istotnie wzrośnie. Za właściwe w tym zakresie należy przyjąć proponowane przez ministra zdrowia zmiany ustawowe – powoływanie zespołów na wniosek ministra zdrowia oraz postawienie przed nimi zadań obejmujących m.in. ocenę skuteczności terapii w tym rozstrzygnięcie wątpliwości interpretacyjnych w trakcie trwania programu. Ich stanowisko będzie znaczące (doradczo oraz praktycznie) również na etapie podejmowania decyzji o RSA i jego wdrażania.

Dla efektywnego zaplanowania całego procesu konieczny jest pełen dostęp centrali NFZ do informacji związanych z przyjętym w decyzji ministra zdrowia instrumentem. Będzie to szczególnie istotne w przypadku złożonych instrumentów i informacji przekazanych wraz ze złożonym wnioskiem (np. szczegółowy opis relacji pomiędzy interesariuszami, model finansowy w Excel, proponowane zmiany w systemie, dowody naukowe stanowiące ich podstawę wraz z materiałami źródłowymi), które mogą wpływać na podejmowane decyzji w zakresie kształtowania systemu realizacji danego RSA. W tym zakresie istotna ze strony NFZ jest możliwość komunikowania się zarówno z przedstawicielami AOTMiT (w zakresie danych klinicznych), jak i z przedstawicielami Komisji Ekonomicznej czy MZ. Przekazane dane oraz informacje pozwolą w ramach struktur NFZ na podział zadań i szczegółowe ustalenie procedur implementacji, sprawozdawania oraz następnie rozliczania RSA.

¹⁹⁶ Proponowane art. 31a i 31b ustawy o refundacji, zawarte w art. 1 pkt 23 projektu ustawy o zmianie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z 18 września 2013 r., dostępnego na stronie internetowej Ministerstwa Zdrowia pod adresem: http://www2.mz.gov.pl/wwwfiles/ma_struktura/docs/ustawarefundacja_20130919.pdf

6.3.4. Wdrażanie RSA – współpraca ze świadczeniodawcami i wnioskodawcami

Rekomendacje:

1. Szczegółowe warunki instrumentów, do przestrzegania których będzie zobowiązany świadczeniodawca, powinny być odzwierciedlone w umowie na udzielanie świadczeń. Jeżeli tego wymaga efektywna realizacja instrumentu, świadczeniodawca powinien być informowany o jego szczególnych postanowieniach np. w przypadku instrumentu opartego na cenie maksymalnej finansowania ze środków publicznych, jeżeli odbiega od ceny wynikającej z obwieszczenia MZ, czy o zakresie zbierania danych w instrumentach *outcome based*, które w znaczącym stopniu dotyczą samego świadczeniodawcy.
2. Umowy ze świadczeniodawcami powinny jednoznacznie określać zakres ponoszonych przez nich kosztów związanych z realizacją instrumentów dzielenia ryzyka i wyraźnie wskazywać źródła ich finansowania, w tym sposób ich rozliczenia z NFZ.
3. Świadczeniodawcy już na etapie negocjowania umów z NFZ powinni być informowani o istnieniu instrumentów dzielenia ryzyka, z których realizacją będzie się wiązało udzielanie przez nich świadczenia, co umożliwi im kontakt z wnioskodawcą, jeżeli będzie niezbędny do prawidłowej realizacji instrumentu;
4. MZ powinno być informowane przez NFZ o naruszeniu decyzji tylko wtedy, gdy naruszenie to zostanie potwierdzone w ramach wewnętrznych procedur NFZ, które powinny obejmować uzyskanie wyjaśnień bezpośrednio od wnioskodawców.

Zidentyfikowane zagadnienia

- Świadczeniodawcy podpisując umowę o udzielaniu świadczeń opieki zdrowotnej nie są świadomi istnienia związanych z nimi RSA oraz potencjalnie ciążyących na nich obowiązków z nich wynikających.
- Brak wiedzy o RSA nie pozwala świadczeniodawcom na optymalne zarządzanie zasobami, w szczególności poprzez brak wiedzy o cenach maksymalnych leków lub dodatkowych uwarunkowaniach prawno-administracyjnych.
- Brak wiedzy o RSA istotnie wpływa na efektywność realizacji instrumentów finansowych poprzez wydłużenie czasu rozliczenia oraz większą ilość nieporozumień pomiędzy uczestnikami, a także zwiększenie obciążeń administracyjnych dla wszystkich uczestników systemu.

Dyskusja

Pomimo iż odpowiednie przepisy na to pozwalają, NFZ nie przekazuje świadczeniodawcom informacji o zawartych RSA. O ile praktyka ta wydaje się możliwa do utrzymania w przypadku obecnie funkcjonujących instrumentów, o tyle nie będzie to możliwe w przypadku instrumentów bardziej złożonych, głównie w oparciu o efekty kliniczne.

Już w chwili obecnej polityka ta skutkuje negatywnymi konsekwencjami w postaci utrudnionego sprawozdawania i rozliczenia leków w przypadku RSA polegających na zapewnianiu ceny dla świadczeniodawcy niższej niż publikowana w obwieszczeniu ministra zdrowia. Prowadzi to do niepotrzebnych kontroli świadczeniodawców, opóźnień w prawidłowych ostatecznych rozliczeniach RSA przez NFZ i dodatkowych obciążeń administracyjnych świadczeniodawców. W przyszłości taka praktyka może się stać istotnym problemem dla udzielających świadczeń, przy instrumentach wymagających od świadczeniodawcy większych nakładów i zaangażowania zasobów ludzkich i czasu.

W chwili obecnej umowy dotyczące realizacji świadczeń w zakresie programów lekowych obejmują zobowiązanie świadczeniodawcy do uzupełniania dokumentacji dodatkowej w postaci rejestru powikłań i działań niepożądanych (Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych), który zawiera dane dotyczące stanu zdrowia pacjentów w ramach programów lekowych, nie należące do system RUM (podczas gdy zbierane są w nim dane przekazywane w komunikatach FZX oraz SWIAD przez świadczeniodawców). Jest to efektywne narzędzie i jednocześnie proste do dostosowania dla potrzeb tworzenia instrumentów *outcome based*. Wiązać się to może z dodatkowymi obowiązkami po stronie świadczeniodawców, o czym powinni oni być informowani na jak najwcześniejszym etapie, w celu wdrożenia rozwiązań – na poziomie zarządzania i ewentualnie finansowym.

Jednocześnie do realizacji programów lekowych powinny być wybierane wyłącznie podmioty dające rękojmię realizacji postanowień instrumentów. Możliwości takie zapewniają już obecne przepisy – w szczególności fakt, iż postępowanie konkursowe obejmuje również część niejawną, pozwalającą na przekazywanie wrażliwych informacji i negocjacje ze świadczeniodawcą, umowa zawierana może być na czas dłuższy niż rok (np. dopasowany do okresu obowiązywania decyzji o objęciu refundacją), a kompleksowość świadczonych usług (a więc również możliwość realizacji instrumentu dzielenia ryzyka) może stanowić kryterium oceny składanych ofert¹⁹⁷.

Biorący udział w konkursie ofert świadczeniodawcy powinni dysponować informacjami koniecznymi do podjęcia świadomej decyzji o uczestnictwie w realizacji instrumentu. O ile dotychczasowa praktyka, związana z faktem, iż realizację samego RSA prowadzi zasadniczo tylko NFZ, była dopuszczalna, o tyle może się ona okazać bardzo szkodliwa w skutkach w przyszłości w przypadku RSA nakładających większe obowiązki i ciężary na świadczeniodawców – np. w przypadku wyboru świadczeniodawców niegotowych do prowadzenia koniecznych prac administracyjnych, np. zbierania odpowiednich danych lub takich, którzy nie zawarliby umowy, mając świadomość istnienia instrumentu.

Brak bezpośredniej współpracy NFZ na etapie realizacji RSA z innymi podmiotami – świadczeniodawcami i wnioskodawcami – powoduje, iż ostateczne rozliczenie instrumentów bywa znacząco odłożone w czasie. Wynika to m.in. ze stosowania przez NFZ komunikacji z wnioskodawcą wyłącznie za pośrednictwem MZ.

6.3.5. Poufność instrumentów

Rekomendacje:

1. Należy wprowadzić ograniczoną jawność instrumentów dzielenia ryzyka w postaci publikowanej przez organy instytucji publicznych informacji o fakcie zawarcia RSA w wydanej decyzji, jego rodzaju i ogólnych warunkach (bez ujawniania, bezpośrednio lub pośrednio, warunków cenowych). Szczegółowy zakres informacji dotyczących poszczególnych typów instrumentów powinien być ustalany w porozumieniu z przedstawicielami wnioskodawców.
2. MZ i przedstawiciele wnioskodawców powinni ustalić zasady opisujące zakres informacji przekazywanych poszczególnym uczestnikom systemu w trakcie wdrażania instrumentu oraz harmonogram przekazywania tych informacji. MZ i wnioskodawca powinni każdorazowo ustalać zakres przekazywanych danych, tak aby wszystkie podmioty biorące udział w realizacji instrumentów (w tym świadczeniodawcy i oddziały wojewódzkie NFZ) posiadały dostęp do informacji koniecznej do efektywnej realizacji ciążących na nich zobowiązań.
3. MZ i NFZ, w ramach nowych zasad dotyczących poufności, powinny przygotować i wdrożyć procedury służące zapewnieniu poufności informacji wrażliwej dla wnioskodawców, stanowiącej tajemnicę przedsiębiorstwa. Takie procedury powinny dotyczyć także współpracy ze świadczeniodawcami uczestniczącymi we wdrażaniu poszczególnych instrumentów.

Zidentyfikowane zagadnienia

- W chwili obecnej minister zdrowia zapewnia poufność całej treści RSA zawartych w decyzjach refundacyjnych.
- Treść instrumentu zawartego w decyzji przekazywana jest przez MZ wyłącznie centrali NFZ, pomimo iż w przypadku niektórych instrumentów konieczne jest, by dostęp do niej miały również OW NFZ – brak również procedur komunikacji ze świadczeniodawcami.
- Brak procedur zapewniających bezpieczne przekazywanie informacji stanowiących tajemnicę przedsiębiorstwa pomiędzy interesariuszami.

¹⁹⁷ Art. 142 i art. 156 ustawy o świadczeniach.

Dyskusja

Powszechną praktyką przy zawieraniu instrumentów dzielenia ryzyka jest zapewnianie poufności ich warunków, tzn. podejmowanie działań mających uniemożliwić ich ujawnienie (w całości lub określonych elementach) do publicznej wiadomości czy udostępnienie osobom nieupoważnionym informacji stanowiących szczegóły zawartego porozumienia (np. ceny publicznie dostępnej, zmodyfikowanej o upust będący skutkiem zastosowanego instrumentu, wielkości udzielonego rabatu, czy wielkości zwrotu środków płatnikowi). Stąd też w obecnie zawieranych instrumentach zamieszczane jest zastrzeżenie, jakie podmioty mogą uzyskać dostęp do ich treści.

Powyższe działania podejmowane są ze względu na przepisy Ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej¹⁹⁸ ograniczeniu podlega udostępnienie informacji stanowiących tajemnicę przedsiębiorcy w rozumieniu art. 11 ust. 4 Ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji, tj. informacje posiadające wartość gospodarczą, co do której przedsiębiorca podjął niezbędne działania w celu zachowania ich poufności. W przypadku braku podjęcia jakichkolwiek działań w tym zakresie przez podmiot odpowiedzialny (choćby w postaci zastrzeżenia w decyzji ministra), każdy mógłby wystąpić z wnioskiem do ministra zdrowia o przedstawienie szczegółowej treści instrumentu dzielenia ryzyka.

W obecnej praktyce treść instrumentów dzielenia ryzyka znana jest w całości wyłącznie wnioskodawcy, ministrowi zdrowia i jego przedstawicielom oraz wybranym pracownikom centrali Narodowego Funduszu Zdrowia. Brak jest procedur, w ramach których istotne informacje w tym zakresie byłby przekazywane OW NFZ. O ile rozwiązanie to służy jak najpełniejszej ochronie interesu wnioskodawcy, o tyle obecne podejście może okazać się zbyt rygorystyczne i szkodliwe dla możliwości implementowania nowych typów RSA. Skutkuje to m.in. skomplikowaniem systemu rozliczeń (np. „miękkie bramki” w systemie informatycznym NFZ w zakresie sprawozdawczości, związane z koniecznością korygowania faktur przez świadczeniodawców, wyjaśnień i przedłużania rozliczeń dla hurtowni podmiotów odpowiedzialnych), jak i trudnością w podjęciu decyzji o udzielaniu świadczeń przez świadczeniodawcę (wiedza o rzeczywistych warunkach udzielania świadczenia – np. ciężących obowiązkach administracyjnych – może istotnie wpływać na decyzję podmiotu) oraz koniecznością podejmowania dodatkowych środków ostrożności dla zapewnienia poufności przekazywanych informacji.

Jednocześnie wprowadzenie ograniczonej jawności RSA (podobnie jak czynione to jest w innych państwach, gdzie informacje inne niż cena produktu podane są na publicznie dostępnych stronach internetowych) może istotnie przyczynić się do ich długoterminowego rozwoju. Wynika to zarówno ze wzrostu zaufania do organów – przejrzystości, jak i zaufania organów do stosowanych instrumentów – łatwiejszej oceny wyników funkcjonowania instrumentów i ustalania zasad współpracy. Ograniczona jawność instrumentów ułatwiłaby również analizę skutków i ocenę zawieranych RSA, a także ograniczyłaby obowiązki administracyjne ciężące na organach w zakresie informacji publicznej, poprzez umożliwienie odsyłania wnioskujących o nie do już powszechnie dostępnych informacji.

6.3.6. Nieodpłatne dostawy leków w RSA

Rekomendacje:

1. Wprowadzenie szerszego wdrażania RSA rozliczanych za pomocą rabatów nieodpłatnych dostaw leków – zarówno w instrumentach finansowych, jak i opartych o efekty kliniczne.
2. Podjęcie dyskusji merytorycznej na temat stosowanych w przyszłości rozwiązań prawnych na potrzeby wprowadzania nieodpłatnych dostaw leków (tj. rabatów naturalnych w ramach zamówień publicznych lub darowizn), w szczególności rozważanie konsekwencji finansowych ich stosowania dla wszystkich uczestników systemu oraz podjęcie ewentualnych działań legistycznych.
3. Konieczność zapewnienia NFZ narzędzi pozwalających na kontrolę realizacji instrumentów w zakresie rabatów rzeczowych oraz wprowadzenie możliwości monitorowania nieodpłatnych leków.

¹⁹⁸ Art. 5 ust. 2 ustawy (Dz.U. z 2014 r., poz. 782, z późn. zm.).

Zidentyfikowane zagrożenia

- Rabaty naturalne stanowią klasyczne rozwiązanie stosowane w RSA w różnych krajach na świecie, ze względu na korzyści przynoszone wszystkim uczestnikom systemu (w tym umożliwienie rozwiązania problemu utylizacji częściowo zużytych dawek leku, tzw. *wastage* i innych problemów świadczeniodawców).
- Istotny wpływ na możliwość stosowania rabatów rzeczowych w Polsce ma ustawa – Prawo zamówień publicznych, w szczególności ze względu na konieczność zapewnienia jawności postępowania o udzielenie zamówienia, przedstawianych ofert oraz zawieranych umów.
- W obecnym stanie prawnym wprowadzenie powszechnego stosowania rabatów naturalnych wymaga uprzedniej dogłębnej analizy sposobu implementacji konkretnego rozwiązania pod względem prawno-księgowym.

Dyskusja

Istotnym elementem wpływającym na możliwości i sposób realizacji niektórych typów instrumentów dzielenia ryzyka są przepisy Ustawy z dnia 29 stycznia 2004 r. – Prawo zamówień publicznych¹⁹⁹. Dotyczy to w szczególności instrumentów polegających na realizacji przez wnioskodawcę świadczenia rzeczowego – nieodpłatnej dostawy bezpośrednio do świadczeniodawców. Ze względów praktycznych rozwiązania te są bardzo popularne w innych państwach stosujących instrumenty dzielenia ryzyka. Przynoszą one korzyści wszystkim uczestnikom systemu – w tym płatnikowi (angażowanie mniejszej ilości środków w ramach budżetowania na dany rok), świadczeniodawcom (optymalizacja zarządzania budżetem, w tym zarządzanie *wastage*) oraz wnioskodawcom (zarządzenie obrotu, wielkością opakowań).

W przypadku przekazywania darmowych opakowań w ramach zamówień publicznych (gdy jako rabat obniżona jest odpowiednio cena jednostkowa produktu, przy zachowaniu całkowitej wartości zamówienia) uzyskana cena nie może być objęta tajemnicą przedsiębiorstwa²⁰⁰, co w dotychczasowej praktyce wiązało się z prowadzeniem dotykowych rozliczeń, np. wystawianiem faktur korygujących.

Rozwiązaniem stosowanym w innych państwach jest przekazywanie darmowych opakowań w postaci darowizn – nieodpłatnych świadczeń na rzecz świadczeniodawców. Stosowanie tego rozwiązania w Polsce jest obecnie utrudnione – nie zapewnia ono poufności, jest skomplikowane praktycznie (wnioskodawcy wprowadzają skomplikowane procedury na potrzeby przekazywania darowizn świadczeniodawcom, opierające się na wnioskach od tych świadczeniodawców i ocenie komisyjnej wniosku u wnioskodawcy – zagrożenie to jest również regulowane często przez branżowe kodeksy dobrych praktyk²⁰¹) oraz niekorzystne finansowo, w szczególności gdy świadczeniodawcą jest podmiot, który musi od uzyskanej darowizny zapłacić podatek dochodowy²⁰², który nie zostanie pokryty przez finansowanie NFZ.

Ze względu na powyższe trudności wprowadzenie rozliczenia w postaci świadczeń rzeczowych – nieodpłatnych dostaw leków – wymaga uprzedniej dyskusji systemowej nad planowanymi rozwiązaniami. Wprowadzenie konkretnych instrumentów musi być poprzedzone rozważną oceną sposobu dalszego postępowania. Docelowy system tych rozliczeń mógłby zostać oparty na darowiznach pod warunkiem dokonania odpowiednich zmian legislacyjnych, które pozwolą na uniknięcie negatywnych konsekwencji stosowania takiej praktyki (np. podejrzenia korupcyjne), w związku z brakiem odpowiedniej regulacji w tym obszarze – w szczególności pozwolą na kontrolę prawidłowości realizacji RSA. W przypadku podjęcia decyzji o stosowaniu rabatów naturalnych w ramach zamówień publicznych konieczne jest dostosowanie form tej działalności do obowiązujących przepisów (np. brak moż-

¹⁹⁹ Dz.U. z 2013 r., poz. 907, z późn. zm.

²⁰⁰ W zamówieniach publicznych tajemnicą przedsiębiorstwa nie można objąć: nazwy (firmy) oraz adresów wykonawców, a także informacji dotyczących ceny, terminu wykonania zamówienia, okresu gwarancji i warunków płatności zawartych w ofertach (art. 8 pkt. 4 w zw. z art. 86 ust. 4 ustawy – Prawo zamówień publicznych).

²⁰¹ Np. art. 39 Kodeksu dobrych praktyk marketingowych przemysłu farmaceutycznego, współpracy z przedstawicielami ochrony zdrowia i organizacjami pacjentów, dostępny na stronie internetowej INFARMA pod adresem: http://infarma.pl/fileadmin/doc_upload/Kodeks_Dobrych_Praktyk_Marketingowych_7_02_2012.pdf

²⁰² Ustawa z dnia 15 lutego 1992 r. o podatku dochodowym od osób prawnych (Dz.U. z 2014 r., poz. 851, z późn. zm.).

liwości realizacji zamówień publicznych w cenie 0 zł, konieczność zapewnienia jawności w stopniu wynikającym z przepisów prawa) lub zmiana obowiązujących przepisów (np. wyłączenie jawności w przepisach ustawy).

Przepisy wymagające dostosowania w przypadku decyzji o stosowaniu darowizn obejmują w szczególności ustawę o podatku dochodowym od osób prawnych w zakresie darowizn z tytułu instrumentów dzielenia ryzyka jako źródeł przychodu (dla świadczeniodawcy) oraz kosztów uzyskania przychodu (dla wnioskodawcy). Jak wynika z przeprowadzonej analizy, możliwe jest wprowadzenie rozliczenia RSA z wykorzystaniem świadczeń rzeczowych już w obecnym stanie prawnym, pod warunkiem zapewnienia zgodności z obowiązującymi – wskazanymi powyżej – przepisami. Istotnym zagadnieniem pozostaje jednak konieczność zapewnienia NFZ możliwości weryfikacji przekazywanych świadczeniodawcom nieodpłatnych leków – dotyczy to zarówno aktualizacji narzędzi IT, jak i zobowiązania świadczeniodawców do przekazywania NFZ informacji o tych darowiznach (co może wymagać nowelizacji rozporządzeń ministra zdrowia regulujących dane przekazywane NFZ przez świadczeniodawców)²⁰³. Do tego czasu do przekazywania takich informacji, wraz z dowodami dostarczenia darmowych produktów do świadczeniodawcy, mógłby zostać zobowiązany wnioskodawca.

Wprowadzenie stosowania rabatów rzeczowych w ramach RSA może stanowić jedno z rozwiązań w dyskusji nad zjawiskiem *wastage*, które nasiliło się wraz z wprowadzeniem rozliczania się świadczeniodawców w oparciu o ceny z faktur zakupu.

Wastage jest to brak możliwości zużycia pozostałej po podaniu pacjentowi ilości substancji czynnej przez szpital na innego pacjenta. Problem ten wynika ze zmiany sposobu rozliczania ilości substancji czynnej z katalogu programów lekowych i chemioterapii, podawanej przez świadczeniobiorców. Główna zmiana jest związana z rozliczaniem rzeczywistej ceny zakupu leku przez szpital i wielkości zużycia przez konkretnego pacjenta (czyli dawki zastosowanej przez pacjenta). Zjawisko to wynika z różnicy pomiędzy wielkością opakowania jednostkowego a wielkością dawki dla pacjenta (zależnej od masy, powierzchni ciała, dostosowania dawki np. z powodu działań niepożądanych), ale także możliwości prawnych podziału substancji czynnej zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego, jej własności fizykochemicznych, systemu dystrybucji leków w szpitalu, np. centralnego systemu, liczby pacjentów włączanych do programu i wielu innych czynników. Obecny system rozliczania skutkuje przede wszystkim stratą finansową dla świadczeniodawców, którzy podejmują w celu jej minimalizacji działania takie jak: dostosowanie systemu dystrybucji leków, podpisywanie umów z większymi szpitalami w celu kumulacji pacjentów czy ustalanie określonego systemu umawiania pacjentów, co niesie za sobą określone konsekwencje także dla pacjenta, a w przypadku skrajnych scenariuszy skutkiem jest niepodpisanie kontraktów z NFZ przez świadczeniodawców. Przed wprowadzeniem 1 lipca 2012 roku postanowień ustawy rozliczenie ze świadczeniodawcą odbywało się na poziomie limitu finansowania substancji czynnej, co pozwalało na minimalizację tych zjawisk i było dodatkowym motywatorem dla świadczeniodawcy. RSA pozwalają również na inne rozwiązania przeciwdziałające *wastage*, np. pokrycie ich kosztów już w ramach finansowania przez NFZ, bez strat dla świadczeniodawców czy samego płatnika. Wprowadzenie dodatkowych mechanizmów ograniczających wydatki szpitali pozwala na zmniejszenie negatywnych skutków finansowania drogich terapii oraz uelastycznienie budżetu świadczeniodawcy.

6.3.7. Wdrażanie instrumentów opartych na efektach zdrowotnych (*outcome based*)

Rekomendacje:

1. System Monitorowania Programów Terapeutycznych może stanowić podstawę dla wprowadzania do użytku publicznych zbiorów jednostkowych danych medycznych obejmujących stan zdrowia pacjentów. Jednakże dla jego skutecznego wykorzystania konieczne jest ustalenie kwestii praw własności do zbieranych danych osobowych, dopuszczalności i prawidłowości ich przetwarzania, a także spójności z całością systemu informatycznego w ochronie zdrowia.

²⁰³ Rozporządzenia wydane na podstawie art. 190 ustawy o świadczeniach.

2. Niezależnie od wybranego sposobu gromadzenia danych publicznych niezbędne jest zapewnienie interoperacyjności systemów informatycznych, w postaci zbierania i łącznego przetwarzania informacji pochodzących z różnych źródeł, w szczególności danych medycznych wraz z danymi finansowymi. Należy rozważyć działania mające na celu integrację tych systemów z przyszłymi rozwiązaniami w zakresie informatyzacji ochrony zdrowia, takimi jak e-recepta. W przyszłości zbieranie danych medycznych powinno odbywać się w ramach Systemu Informacji Medycznej, gdzie wprowadzane będą dane na podstawie dokumentacji medycznej.
3. Konieczne jest wskazanie ciała merytorycznego, podejmującego decyzje oraz rozstrzygającego kwestie kliniczne wynikające z działań podejmowanych przez lekarzy w trakcie leczenia produktami objętymi RSA opartymi o efekty zdrowotne – taką rolę mogą pełnić zespoły koordynujące.
4. Informacje gromadzone w ramach publicznych i niepublicznych zbiorów danych medycznych powinny podlegać publikacji lub być udostępniane do celów naukowych, zgodnie z obowiązującymi przepisami.

Zidentyfikowane zagadnienia

- W warunkach polskich instrumenty oparte na efektach klinicznych powinny być wprowadzane w oparciu o publiczne systemy zbierania danych medycznych, ze względu na charakter uzależniania finansowania terapii od odpowiedzi pojedynczego pacjenta.
- Obecne przepisy prawa nie przewidują możliwości zbierania i przetwarzania danych o stanie zdrowia pacjenta na potrzeby RSA w systemie publicznym, w tym także w zakresie SMTP.
- Wraz z rozwojem Systemu Informacji Medycznej techniczne wprowadzenie RSA *outcome based* powinno stać się w ciągu kilku lat względnie proste, ze względu na centralne gromadzenie jednostkowych danych medycznych pacjentów, które zgodnie z obowiązującymi przepisami powinno stać się faktem najpóźniej w 2017 r. – przepisy te uwzględniają konieczność przetwarzania zbieranych informacji na potrzeby rozliczania świadczeń²⁰⁴.
- Istotnym ograniczeniem obecnie funkcjonujących rozwiązań jest brak interoperacyjności systemów zbierających dane finansowe i kliniczne (dane zbierane w ramach SMTP nie są korelowane z danymi rozliczeniowymi dostępnymi w systemie RUM w sposób automatyczny).
- Dane zbierane w ramach Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych stanowią dobrą bazę do tworzenia RSA *outcome based*, ze względu na to, że już obecnie funkcjonuje w systemie dla każdego wchodzącego programu lekowego i zawiera informacje medyczne o pacjencie.

Dyskusja

Umowy oparte na efektach klinicznych stanowią rozwiązanie stosowane w różnych krajach w różnym zakresie – w zależności od przyjętej polityki lekowej, możliwości finansowych systemu oraz zebranych doświadczeń. RSA typu *outcome based* zawierane są głównie wtedy, gdy mamy do czynienia z bardzo obiecującą technologią, ale istnieje istotna niepewność, najczęściej związana z efektywnością rzeczywistą. Wskutek stosowania tych rozwiązań płatnik płaci za rzeczywiste efekty leczenia w populacji pacjentów z istotnymi potrzebami medycznymi. Dla płatnika jest to rozwiązanie bardzo korzystne, gdyż uzyskuje możliwość płacenia tylko za skutecznie leczonych pacjentów. Prowadzi do znacznej poprawy wyników w analizie opłacalności, gdyż w wielu przypadkach efektywna cena leku ulega znacznemu obniżeniu, a tym samym ulega poprawie wskaźnik ICER, zbliżając się do progu opłacalności (jeżeli bez uwzględnienia RSA go przekraczał). Analiza danych na świecie wskazuje, iż tego typu rozwiązania są zawierane rzadko. Poza Włochami porozumienia te stanowią wyjątki ze względu na poziom skomplikowania rozliczenia oraz konieczność zbierania danych. Należy oczekiwać, że podobna sytuacja będzie miała również miejsce w Polsce, z tego tytułu jest konieczne ostrożne przeanalizowanie inwestycji w nowe lub skomplikowane systemy sprawozdawczości dla tego typu rozwiązań.

²⁰⁴ Art. 12 ust. 8 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia (Dz.U. z 2011 r., Nr 113, poz. 657, z późn. zm.).

Ze względu na znaczne skomplikowanie i możliwe istotne obciążenie dla systemu, decyzja o realizacji tego typu instrumentu powinna być oparta na:

- szczegółowych kalkulacjach – modelu wraz z opisem założeń oraz wielowariantową analizą wrażliwości,
- wnikliwej analizie aktualnych danych klinicznych (badań uwzględnionych w ramach przeglądu systematycznego oraz ewentualnie dodatkowego wyszukiwania danych odnoszących się do efektywności rzeczywistej),
- wynikach konsultacji takiego instrumentu dzielenia ryzyka z Agencją Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji oraz klinicystami.

RSA typu *outcome based* uzależnione są od istnienia narzędzi umożliwiających zbieranie danych klinicznych każdego pacjenta leczonego za pomocą leku, którego porozumienie dotyczy. Narzędzie tego typu stanowi uproszczony rejestr medyczny – wbrew powszechnemu rozumieniu, nie musi on być nadmiernie skomplikowany i zawierać wszystkich danych klinicznych dotyczących pacjenta, jak w badaniu klinicznym. Wręcz przeciwnie – powinien on posiadać pewne cechy rejestru klinicznego, jednakże być stosunkowo prosty i obejmować wyłącznie informacje potrzebne do realizacji instrumentu (kliniczne i jednocześnie finansowe). Najważniejszym elementem tego typu rejestru jest zbieranie dla każdego pacjenta leczonego lekiem objętym RSA kluczowych danych. Są nimi punkty końcowe (efekty zdrowotne), od których zależy RSA, oraz informacje o liczbie i koszcie zużytych leków w terapii danego pacjenta. Dodatkowo mogą być zbierane inne informacje, które będą pozwalały na walidację wyników klinicznych warunkujących rozliczenie RSA. Nie jest konieczne w przypadku takiego rejestru zbieranie wszystkich informacji o pozostałych wynikach klinicznych danego pacjenta.

Tworzenie RSA typu *outcome based* jest możliwe już w obecnym stanie prawnym, jednakże wiąże się z istotnymi ograniczeniami co do formy i obejmuje szereg wymagań, które muszą zostać spełnione. W zaistniałej sytuacji konieczne jest podjęcie istotnych decyzji o charakterze strategicznym dla określenia kierunku rozwoju systemu – a dokładniej miejsca instrumentów dzielenia ryzyka w tworzącym się systemie informacji w ochronie zdrowia. Ze względu jednak na ich specyfikę, w szczególności mając na uwadze potencjalne źródła finansowania – inne niż budżet płatnika publicznego czy budżet państwa, istotne jest zaangażowanie w te działania również strony prywatnej – zarówno firm farmaceutycznych, jak i świadczeniodawców (ze względu na nakładane na nich obowiązki, w tym administrowanie systemami).

Wprowadzane rozwiązania powinny uwzględniać dorobek ustawy o systemie informacji w ochronie zdrowia – szczególną rolę pełni utworzony w niej System Informacji Medycznej, który jest systemem teleinformatycznym służącym przetwarzaniu danych historycznych, bieżących oraz prognoz dotyczących udzielanych świadczeń opieki zdrowotnej, udostępnianych przez systemy teleinformatyczne usługodawców. System ten ma szerokie zastosowania przewidziane ustawą, w tym wspieranie rozliczeń prowadzonych przez płatników (rozliczenia ze świadczeniodawcami i aptekami Narodowy Fundusz Zdrowia realizuje poprzez system Rejestru Usług Medycznych – RUM-NFZ). Co najważniejsze w systemie tym gromadzone będą jednostkowe dane medyczne, a więc indywidualne dane o stanie zdrowia pacjenta, zbierane przez świadczeniodawcę przy udzielaniu świadczenia. O ile wdrażanie ustawy napotyka pewne trudności praktyczne i opóźnienia, o tyle zgodnie z obecnie obowiązującymi przepisami od 1 sierpnia 2017 r. cała dokumentacja medyczna ma być przechowywana w wersji elektronicznej, a co za tym idzie – dostępna w systemie teleinformatycznym.

Do tego czasu pewnym rozwiązaniem mogłoby być wykorzystanie funkcjonującego obecnie Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych. Należy jednak mieć na uwadze, iż w obecnym systemie prawnym istnieją wątpliwości co do możliwości przetwarzania przez Narodowy Fundusz Zdrowia danych w zakresie, jaki byłby potrzebny do realizacji instrumentów dzielenia ryzyka (wątpliwości budzi przekazywanie danych o stanie zdrowia płatnikowi publicznemu, dla którego nie są one bezpośrednio niezbędne – sprzeczne jest to z ogólnymi wartościami ochrony danych osobowych, w szczególności danych wrażliwych). Wszelkie działania w tym zakresie wymagają umocowania ustawowego, co ostatnio potwierdził Trybunał Konstytucyjny w wyroku dotyczącym tworzenia rejestrów medycznych w drodze rozporządzeń ministra zdrowia²⁰⁵. Co więcej najistotniejsze problemy praktyczne wiążą się

²⁰⁵ Wyrok Trybunału Konstytucyjnego z dnia 18 grudnia 2014 r. w sprawie K-33/13.

z faktem, iż system ten nie jest bezpośrednio powiązany ze wspomnianym Rejestrem Usług Medycznych i nie jest też zapewniona tym systemom interoperacyjność – tzn. brak jest względnie prostego sposobu powiązywania danych zebranych w ramach obu wymienionych systemów.

Praktyka instrumentów opartych na wynikach zdrowotnych na świecie pozwala na wyciągnięcie poniższych podstawowych wniosków co do zagadnień praktycznych, koniecznych dla skutecznej realizacji RSA.

1. RSA powinny opierać się o istotne klinicznie punkty końcowe. Dopiero w drugiej kolejności – o mniej istotne, zastępcze punkty końcowe. Konieczne jest określenie, w jakim horyzoncie czasowym oczekiwane jest uzyskanie danego punktu końcowego – wybrany punkt końcowy powinien pozwalać na zbieranie danych w relatywnie krótkim czasie (maksymalnie do 2 lat dla całej populacji chorych). Zależy to od jednostki chorobowej, stopnia zaawansowania choroby oraz obserwowanego w praktyce klinicznej występowania danego punktu końcowego. W zawieranych na świecie RSA *outcome based* jest to definiowane indywidualnie i wymaga pogłębionej analizy w czasie tworzenia i oceniania RSA. Wybór punktów końcowych, w oparciu o które funkcjonuje mechanizm rozliczenia finansowego RSA, powinien być bardzo dobrze przemyślany i poparty danymi klinicznymi oraz ekspertyzą klinicystów i obliczeniami, wraz z określeniem niepewności oszacowań dotyczących tego typu rozwiązań już na poziomie wniosku refundacyjnego.
2. Punkty końcowe, w oparciu o które funkcjonować ma RSA, powinny być możliwe do skontrolowania na poziomie opieki szpitalnej – w ramach badań obrazowych, laboratoryjnych – zapisanych w dokumentacji klinicznej obserwacji na podstawie kwestionariuszy. Punkty końcowe, na których będzie oparte RSA, powinny być jak najbardziej obiektywne, tak aby minimalizować uznaniowość. Oznacza to, że definicje punktów końcowych powinny być jak najdokładniejsze, wystandaryzowane, tak aby nie było wątpliwości i szerokich możliwości interpretacji. Ze względu na charakter tego typu rozwiązań – określone kryteria kwalifikacji, niewielkie populacje, ograniczony zakres zbierania danych – RSA typu *outcome based* powinny być realizowane wyłącznie dla leków finansowanych w ramach programów lekowych. Wydaje się, że do każdego takiego RSA powinien być powołany zespół koordynujący.
3. Dane z systemu elektronicznego powinny być możliwe do wygenerowania w czasie rzeczywistym, tak aby na bieżąco była możliwa kontrola działania danego programu lekowego i umowy RSA. Czas konieczny do wprowadzania danych przez klinicystów/statystyków medycznych powinien być jak najkrótszy. Głównym tego powodem jest zmniejszenie niechęci ze strony personelu medycznego na wpisywanie danych do systemu elektronicznego i sprawnego rozliczania RSA. Wydłużanie czasu wpisywania często niepotrzebnych danych będzie także znacznie zwiększało koszty funkcjonowania systemu po stronie świadczeniodawców. Szpitale powinny być w miarę możliwości dodatkowo finansowane za świadczenie zdrowotne, w ramach którego stosowany jest RSA, wymagające dodatkowej pracy polegającej na wpisywaniu do systemu dodatkowych danych klinicznych pacjenta. Stopień dodatkowego finansowania powinien być uwarunkowany od stopnia skomplikowania i częstotliwości wpisywania danych dla pacjenta. Możliwe jest także objęcie tego aspektu porozumieniem RSA, zaś podmiot odpowiedzialny może finansować dodatkowe świadczenia u pacjentów, którzy nie osiągnęli określonego wyniku klinicznego.
4. Do każdego programu lekowego, dla którego zawarto instrument RSA typu *outcome based* powinien pozostać powołany zespół koordynacyjny, do którego zadań powinna należeć weryfikacja danych raportowanych dla poszczególnych pacjentów. W systemie elektronicznym uproszczonego rejestru powinny być zawarte także mechanizmy weryfikujące, które uniemożliwiałyby wpisanie danych nie posiadających sensu oraz wskazywały pacjentów, co do których mogą istnieć wątpliwości odnośnie poprawności danych wprowadzonych do systemu. Wszelkie dane powinny także podlegać kontrolom ze strony NFZ. W przypadku braku wątpliwości ze strony zespołu koordynującego instrument RSA powinien zostać rozliczony zgodnie z zawartą umową na podstawie danych zaraportowanych w systemie elektronicznym.

6.3.8. Wdrażanie instrumentów opartych na refundacji warunkowej (*conditional reimbursement*)

Rekomendacje:

1. Należy rozważyć wprowadzenie instrumentów warunkowej refundacji w oparciu o dane finansowe, zbierane w ramach obecnie działającego systemu rozliczeniowego NFZ, oraz dane medyczne zbierane osobno przez wnioskodawcę w ramach prowadzonych badań klinicznych (eksperymentalnych lub obserwacyjnych).
2. Niepubliczne dane medyczne (w szczególności gromadzone w ramach zbiorów danych finansowanych przez wnioskodawców) mogą być wykorzystywane do tworzenia i rozliczania RSA typu refundacji warunkowej. Konieczne będzie uzgodnienie przez MZ i przedstawicieli wnioskodawców wytycznych dotyczących zakresu i sposobu przekazywania danych zagregowanych koniecznych do stworzenia instrumentów opartych na wynikach terapii.
3. Przed pełnym wprowadzeniem instrumentów o charakterze refundacji warunkowej należy przeprowadzić wdrożenia pilotażowe, w celu opracowania jednolitego systemu i ewentualnego opracowania zmian legislacyjnych.

Zidentyfikowane zagadnienia

- Obecnie nie ma przeszkód prawnych uniemożliwiających wprowadzenie instrumentów dzielenia ryzyka opartych na refundacji warunkowej w przypadku, gdy odpowiednie badania wykonywane i finansowane będą przez wnioskodawców, a system rozliczeń będzie nadal kontrolowany przez NFZ.
- Największe wątpliwości wśród przedstawicieli strony publicznej budzi uzależnianie decyzji refundacyjnych i rozliczenia od zagregowanych danych (wyników badań eksperymentalnych lub obserwacyjnych na poziomie populacji) przedstawianych przez wnioskodawców.

Dyskusja

RSA oparte na refundacji warunkowej w świetle obowiązujących przepisów mogą zostać wprowadzone już dziś i nie istnieją przeszkody prawne dla ustalenia zakresu odpowiedzialności czy finansowania w różnych formach pomiędzy stronami. Stanowią one doskonałą alternatywę dla instrumentów typu *outcome based*, jednakże – podobnie jak one – nie mogą być wykorzystane w każdej sytuacji, a w swojej istocie rzeczy są dość skomplikowane i wymagają relatywnie długiej fazy planowania i wdrażania. Większość uwag o charakterze technicznym odnoszących się do instrumentów typu *outcome based* ma zastosowanie również do RSA opartych na refundacji warunkowej.

Podstawową różnicą pomiędzy narzędziami wykorzystywanymi w RSA opartych o wyniki kliniczne a narzędziami stosowanymi w RSA opartych na refundacji warunkowej jest konieczność objęcia obserwacją wszystkich leczonych danych lekiem w przypadku pierwszego z nich. W przypadku RSA opartych na warunkowej refundacji udział w badaniu musi wziąć tylko określana każdorazowo minimalna liczba pacjentów (określona próba pacjentów wystarczająca do przeprowadzania badania i zebrania danych klinicznych). Jednocześnie w przypadku RSA opartych na refundacji warunkowej istnieje znacznie większy wachlarz możliwości zbierania danych dotyczących efektów klinicznych oraz sposobu ich finansowania (publicznie lub prywatnie). Może on praktycznie obejmować wszystkie typy prospektywnych badań klinicznych, w tym przede wszystkim porównawczych.

Najważniejsze różnice pomiędzy instrumentami typu *conditional* i typu *outcome based* zestawiono w tabeli 17.

Tabela 17. Różnice w zakresie zbieranych danych pomiędzy RSA outcome based a opartymi na referencji warunkowej

Parametr	Warunkowe/Conditional	Outcome based
Typ badań	RCT, kohortowe, rejestr, konsekwentna seria przypadków (rejestr)	Uproszczony rejestr (najczęściej bez grupy kontrolnej lub z historyczną grupą kontrolną)
Zakres danych	Najczęściej wszystkie punkty końcowe zdefiniowane w uzgodnionym protokole. Możliwe jest zbieranie danych tak jak w badaniu klinicznym. W praktyce badania tego typu powinny skupiać się na zbieraniu klinicznie istotnych punktów końcowych (nie kilku wybranych)	Kilka punktów końcowych istotnych z punktu widzenia oceny postępu choroby, w tym punkty końcowe (wyniki kliniczne), które warunkują rozliczenie RSA (niekonieczne jest zbieranie wszystkich punktów końcowych)
Czas zbierania	Uzgodniony w umowie RSA i pełnym protokole badania. Powinien być dopasowany do przebiegu danej jednostki chorobowej tempa włączania pacjentów do badania oraz czasu trwania badania	Czas wyznaczony w umowie lub porozumieniu RSA. W pewnych przypadkach do momentu zakończenia terapii przez ostatniego leczonego pacjenta
Implementowanie w system płatnika	Nie ma takiej konieczności – istnieje możliwość kontrolowania metodyki badania finansowanego przez wnioskodawcę na poziomie protokołu, a następnie kontroli wyników badania w trakcie (np. Rada Naukowa) czy po jego zakończeniu	Tak. Powinno być połączone z systemem rozliczeniowym ze względu na typ rozliczania RSA (na poziomie pojedynczego pacjenta)
Sposób finansowanie systemu danych klinicznych	Płatnik publiczny – lek w ramach świadczenia w czasie badania i ewentualnie po jego zakończeniu, w zależności od decyzji ministra zdrowia lub podmiot odpowiedzialny – finansowanie opracowania protokołu, systemu zbierania danych i ich analizy.	Płatnik publiczny
Zakres populacji – cała / próba	W przypadku małych populacji wszyscy leczeni pacjenci. W przypadku dużych populacji wszyscy leczeni pacjenci lub też wyznaczona próba.	Wszyscy leczeni pacjenci
Zaangażowanie lekarzy	Duże. Może być na poziomie pełnego badania klinicznego	Relatywnie nieduże, w zależności od zakresu zbieranych danych. Mniejsze niż w badaniu klinicznym. Konieczność wpisywania przez lekarza lub statystyka medycznego, farmaceutę czy inny personel medyczny danych klinicznych do systemu elektronicznego
Monitorowanie zewnętrzne	Tak. Przez zewnętrznych monitorów z możliwością monitorowania przez NFZ lub też wskazany przez niego podmiot, po udzieleniu pisemnej zgody przez pacjenta	Świadczenia podlegają kontroli przez NFZ lub ewentualnie w ramach prac Zespołów Koordynujących
Zgoda komisji bioetycznej	Tak	Nie jest konieczna
Protokół	Tak. Przygotowany w trakcie negocjowania RSA i będący załącznikiem do decyzji refundacyjnej	Tak/nie. Szczątkowy opracowany na podstawie zapisów warunków RSA (np. musi być zgodny z postanowieniami programu lekowego), będący w tym momencie załącznikiem do decyzji refundacyjnej
CRF	W przypadku istnienia poza systemami informatycznymi NFZ – zarządzany przez zewnętrzną firmę. W przypadku istnienia wewnętrznego narzędzia zbierania danych klinicznych (jak we Włoszech) – jest wskazane stosowanie systemu elektronicznego, docelowo interoperacyjnego z innymi systemami publicznymi	W ramach istniejących systemów informatycznych NFZ w obecnie funkcjonującym systemie (patrz rekomendacje na przyszłość)
Rada naukowa lub koordynująca	Rada naukowa np. wskazana przez płatnika lub w ramach indywidualnych ustaleń z MZ	Tak, w takim zakresie, w jakim istnieją teraz Zespoły Koordynujące dla wybranych programów lekowych
Własność danych	Podmiot odpowiedzialny lub instytucja publiczna w zakresie określonym w RSA	MZ, zgodnie z ustawą o systemie informacji w ochronie zdrowia – zmiana podmiotu wymagałaby zmiany przepisów prawa

Parametr	Warunkowe/Conditional	Outcome based
Dane osobowe	Nie (możliwość zakodowania tych danych)	Tak – konieczność powiązania danych klinicznych z rozliczeniowymi w ramach systemu płatnika
Jednostkowe dane medyczne	Tak	Tak

Rozwiązaniem alternatywnym do systemu publicznego jest tworzenie rejestrów (prywatnych) przez wnioskodawców. Warunkiem takiego rozwiązania, i jego głównym ograniczeniem, wyłączając kwestie organizacyjne i finansowe, jest fakt, iż nie można uzależnić udzielenia świadczenia pacjentowi od udziału w tego typu badaniu, skutkiem czego nie ma możliwości zapewnienia, iż 100% leczonych pacjentów będzie poddanych obserwacji. Dlatego też rozwiązanie to nie może zostać zastosowane w przypadku instrumentów typu *outcome based*, za to jak najbardziej znajduje swoje miejsce w przypadku refundacji warunkowej.

Rozwiązanie to mogłoby być więc stosowane w przypadku wskazań, gdzie nawet stosunkowo niewielka liczba osób w badaniu w odniesieniu do pełnej ich populacji pozwalałaby na prowadzenie badań przynoszących odpowiednie wnioski co do skuteczności rzeczywistej lub standardu leczenia w Polsce, przez to pozwalając na podejmowanie dalszych decyzji refundacyjnych czy określanie realizacji skutków wynikających z instrumentu. Zaletą takiego rozwiązania jest fakt, iż możliwe byłoby ono również w przypadku leków stosowanych w lecznictwie otwartym – dostępnych w aptekach (gdzie istotny jest fakt, że systemy NFZ nie zbierają danych klinicznych, z wyjątkiem tych o utylizacji).

Nie bez znaczenia pozostaje kwestia wzajemnego zaufania strony publicznej i wnioskodawców, rzutująca na ewentualny wybór rejestrów prowadzonych przez podmioty prywatne. Na przyszłe decyzje w tym zakresie wpływać będzie nie tylko możliwość dostarczenia przez podmioty odpowiedzialne wiarygodnych danych klinicznych, ale również zaufanie (i wiedza instytucji publicznych) w otrzymane wyniki i możliwość weryfikacji otrzymanych rezultatów.

Instrumenty dzielenia ryzyka oparte o efekty zdrowotne oraz ewentualnie o badania kliniczne doskonale wpisują się więc w politykę prowadzoną przez ministra zdrowia i planowane działania dotyczące zbierania danych rzeczywistych z praktyki klinicznej (co widać na podstawie wprowadzanych i nowelizowanych kolejnych aktów prawnych – np. wspomnianej już ustawie o systemie informacji w ochronie zdrowia czy ustawie o świadczeniach w zakresie oceny potrzeb zdrowotnych i tworzenia map potrzeb zdrowotnych Polski i podejmowaniu działań służących planowaniu opieki zdrowotnej w Polsce, takich jak utworzenie Departamentu Analiz i Strategii w Ministerstwie Zdrowia). Należy jednak zaznaczyć, iż same publiczne systemy informatyczne będą posiadały o wiele za dużo danych, i to nie zawsze potrzebnych w danym przypadku. O ile więc możliwy będzie ich *data mining* – przekopywanie w poszukiwaniu przydatnych informacji, o tyle ze względu na ograniczone możliwości ich przetworzenia, instrumentów dzielenia ryzyka nie da się realizować bez osobnych – dedykowanych – rejestrów (systemów zbierania danych), nastawionych na celowe zbieranie informacji określonego typu.

Załączniki

Załącznik 1. Wytyczne wniosków RSA

Australia

W Australii funkcjonują zarówno odrębne wytyczne dotyczące umów podziału ryzyka (*Guidelines for Deeds of Agreement for the Pharmaceutical Benefits Scheme*²⁰⁶), jak i szablon RSA (*Deed Between The Commonwealth of Australia and Company in relation to Sharing the Costs the Commonwealth Subsidy for the Supply of Drug*²⁰⁷). Zgodnie z założeniem wytycznych RSA w Australii mają one służyć lepszemu zrozumieniu informacji dotyczących wymagań dla zawieranych umów. Ich celem jest poprawa poziomu zrozumienia w zakresie terminologii, ram czasowych oraz elementów dzielenia ryzyka. Wytyczne zostały przygotowane dla zwiększenia świadomości wnioskodawców w zakresie procesu zawierania umów oraz istotności wczesnego rozpoczynania negocjacji w oparciu o dotychczasowe doświadczenia. Zgodnie z założeniem wytycznych jest to dokument, który będzie ewoluował w miarę następowania nieuchronnych zmian.

Zgodnie z założeniem australijskie wytyczne stanowią wyłącznie dokument informacyjny. Materiały zawarte w wytycznych są udostępniane z zastrzeżeniem, że państwo nie udziela w nich żadnych porad prawnych ani profesjonalnych. W szczególności nie jest gwarantowana poprawność, kompletność i wiarygodność informacji zawartych w wytycznych. Nie ma gwarancji, że informacje zawarte w wytycznych są aktualne, ponieważ mogą one ulegać okresowym zmianom. Państwo wyraźnie zrzuca się wszelkiej odpowiedzialności za straty wynikające z zaniedbania, czy w inny sposób powstałe w związku z wykorzystaniem lub poleganiem na informacjach zawartych w wytycznych.

Z konieczności informacje zawarte w wytycznych mają ogólny charakter i mogą nie mieć zastosowania we wszystkich sytuacjach. Dodatkowo zastrzeżono, że organy państwowe mogą dowolnie decydować o nieprzestrzeganiu wytycznych w wybranych aspektach. W przypadku zawarcia umowy pomiędzy państwem a wnioskodawcą umowa ta będzie stanowiła całość porozumienia pomiędzy stronami w zakresie jej przedmiotu, zaś omawiane wytyczne nie będą miały na nią żadnego wpływu.

Szablon australijskiego wniosku o RSA składa się z kilku części. Pierwsza zawiera określenie stron porozumienia wraz z wprowadzeniem odpowiednich pojęć i definicji. W dalszej części zostają ustalone ramy czasowe funkcjonowania proponowanego instrumentu wraz z uwzględnieniem wpływu ewentualnych zmian prawnych na wnioskowany RSA. W dalszej części zostaje określone w sposób szczegółowy funkcjonowanie proponowanego RSA wraz z metodą naliczania wynikających z niego zobowiązań. Kolejne części szablonu odnoszą się do kwestii płatności oraz fakturowania zobowiązań wynikających z porozumienia, jak również poruszają problem dostarczania danych potrzebnych do prawidłowego funkcjonowania instrumentu. Zgodnie z australijskim szablonem wniosku o RSA nie może zabraknąć również rozstrzygnięcia w aspekcie poufności. Na końcu wniosku powinny się znaleźć informacje techniczne, takie jak potwierdzenie zobowiązań wnioskodawcy czy określenie sposobu rozstrzygania kwestii spornych.

²⁰⁶ Guidelines for Deeds of Agreement for the Pharmaceutical Benefits Scheme. http://www.pbs.gov.au/industry/listing/elements/deeds-agreement/Guidelines_for_Deeds_of_Agreement.pdf

²⁰⁷ Deed Between The Commonwealth of Australia and Company in relation to Sharing the Costs the Commonwealth Subsidy for the Supply of Drug. http://www.pbs.gov.au/industry/listing/elements/deeds-agreement/Attachment_B_Basic_deed_example.pdf

Anglia

W Anglii funkcjonują zarówno odrębne wytyczne dotyczące umów podziału ryzyka (dwa dokumenty: *Process for advising on the feasibility of implementing a patient access scheme* oraz *Hints and tips for companies considering a Patient Access Scheme (PAS) proposal in England*), jak i szablony RSA (pełny i uproszczony *Patient Access Scheme proposal template*).²⁰⁸

Angielskie wytyczne dla RSA zawierają:

- przedstawienie kontekstu systemowego,
- przedstawienie uczestników procesu opracowywania RSA,
- przedstawienie ram współpracy z wnioskodawcami,
- opis przebiegu oceny wniosku,
- przedstawienie zasad postępowania na poszczególnych etapach oceny RSA,
- opis kryteriów oceny RSA,
- określenie ram czasowych oceny RSA.

W Anglii RSA w postaci *Patient Access Scheme* wprowadzone zostały w celu umożliwienia firmom farmaceutycznym zaproponowania instrumentów pozwalających na dostęp pacjentów do technologii medycznych charakteryzujących się wysokimi kosztami stosowania. *Pharmaceutical Price Regulation Scheme* (PPRS) obowiązujący od początku 2014 r. dopuszcza przedstawianie propozycji PAS Departamentowi Zdrowia przez firmy farmaceutyczne. PAS obejmują innowacyjne porozumienia cenowe, mające na celu poprawę efektywności kosztowej danej technologii medycznej oraz ułatwienie pacjentom dostępu do tej technologii. W celu nawiązania współpracy z producentami rozważającymi zaproponowanie PAS dla swojej technologii utworzono przy NICE na zlecenie Departamentu Zdrowia specjalną jednostkę zwaną *Patient Access Scheme Liaison Unit* (PASLU). PASLU sprawdza wniosek złożony przez producenta pod kątem jego zgodności z funkcjonującym systemem zdrowotnym i stanowi organ doradczy dla producentów rozważających zaproponowanie PAS.²⁰⁹

Producenci, którzy chcą przedstawić PAS, muszą odbyć wstępną dyskusję dotyczącą takiego zamiaru z Departamentem Zdrowia. W dalszej kolejności producenci powinni wypełnić szablon wniosku o PAS. Szablon jest narzędziem PASLU wykorzystywanym do zbierania informacji o proponowanym rozwiązaniu, niezbędnych do oceny, czy proponowany system dostępu pacjenta jest możliwy w ramach NHS w Anglii i Walii. Producent uzupełnia szablon, a następnie przekazuje go do Departamentu Zdrowia (z wszelkimi dokumentami uzupełniającymi). Departament Zdrowia przesyła otrzymane dokumenty do oceny przez PASLU.²¹⁰

Szablon wniosku dla instrumentów dzielenia ryzyka ma około 20 stron. We wniosku są zbierane informacje dotyczące rodzaju i warunków stosowanego instrumentu, szczegółowe przedstawienie zasad funkcjonowania instrumentu, opis konsultacji z NICE. Przewidziane jest również poruszenie kwestii danych zbieranych w czasie realizacji proponowanego instrumentu, określenie przepływów finansowych oraz odniesienie się do zgodności wprowadzanych rozwiązań z przepisami prawa.

Pierwszą część szablonu wniosku stanowi wstęp opisujący *Pharmaceutical Price Regulation Scheme* jako umowę pomiędzy Departamentem Zdrowia a Stowarzyszeniem Brytyjskiego Przemysłu Farmaceutycznego. PAS przedstawiony jest jako jedno z narzędzi służących realizacji celów określonych w PPRS. Zgodnie z zawartym we wstępie opisie PAS w ramach instrumentu wnioskodawcy mogą proponować różnego rodzaju rozwiązania obniżające koszty stosowania danej technologii medycznej, które mogą być uzależnione od szacowanej liczby pacjentów stosujących daną technologię, odpowiedzi klinicznej uzyskiwanej u leczonych pacjentów lub zebrania nowych dowodów naukowych świadczących o efektywności technologii. Proponowane rozwiązania powinny dążyć do poprawy

²⁰⁸ Strona internetowa NICE. <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Patient-access-schemes-liaison-unit>

²⁰⁹ Strona internetowa NICE. <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Patient-access-schemes-liaison-unit>

²¹⁰ Strona internetowa NICE. <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Patient-access-schemes-liaison-unit>

kosztowej efektywności interwencji, pozwalającej NICE na wydanie pozytywnej rekomendacji. We wstępie wniosku o PAS podkreślona jest potrzeba zapewnienia wykonalności skumulowanych obciążeń NHS związanych z realizacją PAS, w związku z czym zawieranie PAS powinno być raczej wyjątkiem niż regułą. Dodatkowo zauważono, że najkorzystniejsze z punktu widzenia obu stron PAS są jak najprostsze rozwiązania, których realizacja sprawia stosunkowo niewiele problemów i generuje minimalne dodatkowe obciążenia dla systemu. W związku z powyższym każdorazowo w przypadku propozycji bardziej skomplikowanego rozwiązania wnioskodawcy muszą uzasadnić swój wybór i wyższość proponowanego instrumentu nad PAS w najprostszej formie.

Druga część szablonu wniosku zawiera instrukcje dla wnioskodawców. Na wstępie jest zaznaczone, iż wniosek ten powinien być czytany razem z wytycznymi dla PAS. Jeżeli wnioskodawca chce, aby Departament Zdrowia rozważył pełną propozycję PAS, powinien zastosować się do przygotowanego szablonu wniosku i w nim zawrzeć wszelkie dane i informacje pozwalające na właściwą ocenę PAS. Szablon wniosku dostępny jest w dwóch wersjach – pełnej i uproszczonej. W przypadku gdy wnioskodawca proponuje proste rozwiązanie w ramach PAS, powinien on posłużyć się wzorem uproszczonym, dla którego przygotowano również uproszczoną wersję wytycznych. Szablon określony jest jako narzędzie dla wnioskodawców pozwalające na przekazanie PASLU wszelkich informacji niezbędnych do oceny PAS pod kątem jego zgodności z PPRS. Dodatkowo w szablonie jest wyjaśnione, jak informacje danego rodzaju powinny być prezentowane. W przypadku braku możliwości zastosowania się wnioskodawcy do istniejącego szablonu we wniosku musi znaleźć się odpowiednie uzasadnienie tego faktu. W miejscach szablonu, które wnioskodawca uważa za nieistotne w przypadku proponowanego rozwiązania, powinien on wstawić „N/A” wraz z uzasadnieniem. Wszystkie odpowiedzi na zagadnienia zawarte w szablonie powinny być jak najbardziej zwięzłe, jednakże równocześnie zawierać wszelkie istotne informacje. Wypełniony wniosek należy złożyć do Departamentu Zdrowia, skąd przesyłany jest do oceny przez PASLU. Należy pamiętać o podpisaniu składanego wniosku. W dalszej części znajduje się informacja o tym, że PASLU rozpatrzy wniosek i, przy udziale niezależnych ekspertów, przygotuje końcową rekomendację dla Departamentu Zdrowia w sprawie możliwości realizacji proponowanego PAS w Anglii i Walii. Do Departamentu Zdrowia należy ostateczna decyzja, czy PAS może być uwzględniony w prowadzonej przez NICE ocenie danej technologii.

W kolejnej części wniosku w formie tabelarycznej przedstawione są podstawowe kryteria, zgodnie z którymi będzie on oceniany. Wnioskodawcy są proszeni o wskazanie dowodów świadczących o ich spełnieniu.

Jednocześnie załącznik A wzoru przedstawia podstawowe zasady wdrażania instrumentów, obejmujące:

1. wszelkie koszty związane z wprowadzeniem i funkcjonowaniem proponowanych PAS ponoszone przez NHS powinny być uwzględnione w procesie oceny technologii;
2. PAS powinny być wiarygodne pod względem klinicznym i możliwe do monitorowania (przykładowo, jeżeli instrument odnosi się do uzyskiwania odpowiedzi na leczenie, odpowiedź ta musi być mierzalna w stosunkowo prosty sposób);
3. PAS powinny być wykonalne dla NHS bez konieczności nadmiernego ich monitorowania, nieproporcjonalnych dodatkowych kosztów i biurokracji. Wszelkie obciążenia NHS powinny być proporcjonalne do korzyści płynących z proponowanego rozwiązania, zarówno dla NHS, jak i dla pacjentów. Wymagane jest również jasne określenie czasu trwania umowy oraz warunków jej zakończenia;
4. ważne jest, że skumulowany ciężar PAS spada na wszystkie zaangażowane strony, w tym poszczególnych pracowników NHS. W związku z tym uzasadnione jest wzięcie tego aspektu pod uwagę przez Departament Zdrowia przy rozważaniu opłacalności wprowadzania poszczególnych systemów. Priorytetowa może być realizacja instrumentów przynoszących największe korzyści dla pacjentów, przez umożliwienie sprostania przez NHS ich niezapkojonym dotychczas potrzebom;
5. PAS powinny być zgodne z funkcjonującymi obecnie w NHS przepływami finansowymi, powinno być także możliwe ich lokalne uruchamianie (np. płatnicy powinni być w stanie obliczyć efektywną cenę stosowania danej technologii w ich populacji pacjentów, co za tym idzie koszty i oszczędności powinny być naliczane na poziomie lokalnym, gdzie podejmowane są decyzje dotyczące leczenia);

6. konieczne są konsultacje z NHS w Anglii i Walii dotyczące proponowanych PAS, w szczególności w przypadku potrzeby gromadzenia dodatkowych danych.

Na powyższych zasadach kończy się opisowa część wzoru wniosku, kolejne części są przeznaczone do uzupełnienia przez wnioskodawcę, który na wstępie proszony jest o podanie odpowiednich danych kontaktowych. Następnie konieczne jest określenie rodzaju proponowanego PAS, określenie czy stanowi on instrument finansowy, oraz czy jest uzależniony od uzyskiwanych efektów zdrowotnych (zgodnie z definicją z PPRS). Jeżeli PAS jest uzależniony od efektów zdrowotnych, wnioskodawca proszony jest o przedstawienie w osobnym załączniku szczegółów dotyczących proponowanej miary efektu zdrowotnego wraz z uzasadnieniem jej wyboru. W załączniku tym powinien być również określony sposób, w jaki potrzebne do oceny efektów zdrowotnych dane będą kolekcjonowane na potrzeby PAS. W następnym kroku wnioskodawca jest proszony o uzupełnienie informacji związanych z ocenianą technologią medyczną, takich jak nazwa i wskazania (aktualne i planowane). Dalej wnioskodawca wskazuje wszystkie dodatkowe dokumenty stanowiące załącznik do składanego wniosku.

W kolejnej części wniosku producent jest proszony o ustosunkowanie się do następujących aspektów:

- określenie celu tworzenia PAS dla danej technologii,
- uzasadnienie wyboru rodzaju instrumentu, ze szczególnym uzasadnieniem w przypadku rezygnacji z PAS o mniej skomplikowanej formie,
- przedstawienie w formie diagramu funkcjonowania PAS,
- opisanie poszczególnych kroków funkcjonowania PAS, z uwzględnieniem osób zaangażowanych na każdym poziomie,
- przedstawienie aktualnej ścieżki leczenia pacjentów oraz konkretnych zmian związanych z wprowadzaniem PAS.

Ostatnim elementem tej części wniosku jest tabela, w której wnioskodawca określa wykonalność danego PAS w określonych warunkach praktyki klinicznej (opieka domowa, prywatna opieka szpitalna, prywatna opieka w szpitalach NHS, realizacja przez NHS zleceń wydawanych przez organizacje niezależne od NHS, realizacje recept wydawanych przez apteki ogólnodostępne). W razie stwierdzenia kompatybilności PAS z danymi warunkami wnioskodawca jest proszony o określenie szczegółów funkcjonowania PAS w danej sytuacji oraz jest pytany, czy w danej kwestii przeprowadzone zostały konsultacje z NHS.

Kolejna część wniosku odnosi się do monitorowania danych w ramach PAS. W razie konieczności zbierania jakiegokolwiek rodzaju danych wnioskodawca jest proszony o określenie, czy i w jaki sposób potrzebne dane są zbierane aktualnie oraz o określenie zmian w tym aspekcie związanych z wprowadzeniem PAS. Kolejne pytania o zbieranie danych na potrzeby PAS odnoszą się do osób (organów) zaangażowanych i odpowiedzialnych za przeprowadzanie tego procesu, jak również możliwości i sposobu uwzględniania zbieranych danych na potrzeby Departamentu Zdrowia i NICE (PASLU).

W następnym kroku wnioskodawca jest proszony o wskazanie korzyści płynących z wprowadzenia proponowanego schematu, czemu ma służyć określenie:

- wskazań obejmowanych przez proponowany PAS wraz z określeniem chorobowości i zapadalności (wraz z określeniem źródeł danych),
- odsetka pacjentów z określonych populacji, którzy będą spełniać kryteria PAS (wraz ze wskazaniem źródeł danych),
- estymowanej liczby pacjentów mogących stosować ocenianą technologię medyczną,
- stopnia zaspokojenia przez ocenianą technologię potrzeb pacjentów, niezaspokojonych obecnie przez NHS.

Przedostatnia część szablonu wniosku RSA dotyczy przepływów finansowych związanych z funkcjonowaniem proponowanego PAS, zgodnie z zasadą mówiącą o tym, że PAS powinien być zgodny z przepływami finansowymi

istniejącymi w NHS oraz organach lokalnych. W pierwszym kroku wnioskodawca zobligowany jest do określenia kosztów wdrożenia i administracji proponowanego PAS, które powinny zostać uwzględnione w procesie oceny danej technologii medycznej.

W ostatnim paragrafie szablon wniosku odnosi się do zarządzania proponowanym PAS w myśl zasady, że musi on być zgodny z kryteriami zarządzania obowiązującymi w NHS, jak również zasadami prawa w Anglii i Walii. Szczególnym aspektem prawnym funkcjonowania PAS jest rozwiązanie kwestii równego dostępu pacjentów do danej technologii medycznej. Wnioskodawca jest zobligowany do identyfikacji wszystkich potencjalnych problemów związanych z funkcjonowaniem PAS w zgodzie z obowiązującymi aktualnie przepisami prawa, w szczególności w aspekcie poufności danych o pacjentach.

Wypełniony wniosek jest składany do Departamentu Zdrowia, skąd jest odsyłany do oceny przez PASLU. Producenci powinni zaznajomić się z wytycznymi opisującymi, jak PASLU ocenia propozycje PAS oraz wskazującymi momenty, w których producenci mają możliwość:

- złożenia wyjaśnień w odniesieniu do zawartości PAS,
- zaznajomienia się i skomentowania wstępnej wersji rekomendacji dla Departamentu Zdrowia.

PAS są oceniane przez Panel Ekspertów na planowanych co miesiąc spotkaniach. Wnioski rozpatrywane są na posiedzeniu Panelu minimum 8 tygodni po ich otrzymaniu przez PASLU. PASLU przedstawia swoje stanowisko Departamentowi Zdrowia w ciągu 4 tygodni od spotkania Panelu Ekspertów²¹¹.

Walia

W Walii funkcjonują zarówno odrębne wytyczne dotyczące umów podziału ryzyka (*Wales Patient Access Scheme {WPAS} Process Guidance*²¹²), jak i szablon RSA (*Submission form for complex Wales patient access schemes*²¹³).

Zakres szczegółowych informacji dotyczących RSA wymaganych w Walii:

- cel, rodzaj, schemat instrumentu zgodny z ustaloną klasyfikacją,
- zasady zbierania informacji o wynikach terapii (jeżeli takie informacje są niezbędne do realizacji instrumentu),
- wskazanie populacji pacjentów, którzy mogą być leczeni z zastosowaniem danej interwencji, wraz z określeniem kryteriów włączenia i odsetka pacjentów spełniających te kryteria,
- odniesienie się do równości dostępu do terapii i sposobu ich zaadresowania,
- określenie sposobu rozwiązywania problemu poufności i ochrony danych pacjenta,
- określenie ewentualnych skutków komercyjnych wprowadzenia instrumentu oraz wpływu instrumentu na wybór alternatywnych terapii,
- określenie czasu realizacji instrumentu,
- opis obsługi administracyjnej i przewidywanych kosztów ponoszonych przez płatnika, a także schematów finansowych i organizacyjnych funkcjonowania instrumentu,
- określenie korzyści klinicznych wynikających z zastosowania proponowanego instrumentu oraz uzasadnienie wniosku, w szczególności z wyjaśnieniem przyczyn odstąpienia od zastosowania najprostszych mechanizmów.

²¹¹ Strona internetowa NICE. <https://www.nice.org.uk/About/What-we-do/Patient-access-schemes-liaison-unit>

²¹² Wales Patient Access Scheme (WPAS) Process Guidance <http://www.awmsg.org/docs/awmsg/appraisaldocs/inforandforms/Wales%20Patient%20Access%20Scheme%20process%20guidance.pdf>

²¹³ Submission form for complex Wales patient access schemes <http://www.awmsg.org/docs/awmsg/appraisaldocs/inforandforms/Submission%20Form%20for%20a%20Complex%20Wales%20Patient%20Access%20Scheme.docx>

W przypadku szablonu wniosku o PAS funkcjonującego w Walii pomimo odrębności od wersji angielskiej, zarówno pod względem struktury, jak i zawartości te dwa dokumenty są do siebie bardzo zbliżone. Walijski szablon wniosku również składa się z kilku części, z których pierwsze dwie dotyczą prawnego kontekstu funkcjonowania PAS oraz wprowadzają podstawowe instrukcje dla wnioskodawców. W kolejnych częściach szablonu są opisywane szczegóły funkcjonowania proponowanego PAS oraz jego wykonalności w kontekście istniejących rozwiązań systemowych. Następnie zostaje poruszona kwestia monitorowania i administracji wnioskowanego instrumentu i obciążenia płatnika z tym związane. Wnioskodawca jest proszony również o wskazanie korzyści wynikających z wdrożenia proponowanych rozwiązań. Pod koniec wniosku producent powinien określić sposób zarządzania RSA oraz zadeklarować przekazanie do organu oceniającego wszelkich istotnych informacji z punktu widzenia procesu oceny.

Szkocja

W Szkocji funkcjonują zarówno odrębne wytyczne dotyczące umów podziału ryzyka, jak i szablon RSA²¹⁴ (*Patient Access Scheme Assessment Group*). Występują odrębne wytyczne dla NHS²¹⁵ oraz przemysłu farmaceutycznego²¹⁶.

Wytyczne dla NHS składają się z pięciu rozdziałów i szeregu załączników. Na wstępie zaznaczono adresata i cel wytycznych, w których z założenia ma być opisany proces składania oraz oceny PAS w NHS w Szkocji. Dodatkowo w wytycznych opisano sposób komunikowania decyzji organu odpowiedzialnego w Szkocji za ocenę PAS – *Patient Access Scheme Assessment Group* (PASAG). W dalszej części wytycznych opisana jest struktura oraz rola PASAG. Organ ten jest odpowiedzialny za uzgodnienie odpowiednich PAS z firmami farmaceutycznymi. Dopiero po uzgodnieniu proponowanego porozumienia z PASAG producenci mogą uwzględnić je w składanym wniosku refundacyjnym. PAS powinny służyć zwiększeniu opłacalności leków oraz umożliwieniu pacjentom dostępu do innowacyjnych technologii. PASAG funkcjonuje w ramach szkockiego NHS i składa się z jego członków różnych specjalizacji. Dodatkowo w spotkaniach PASAG uczestniczy kilku obserwatorów, którzy w razie potrzeby mają też merytoryczny wkład w prowadzone dyskusje. Praca PASAG jest wspierana przez sekretariat tegoż organu, który ocenia każdy złożony PAS, porozumiewa się z firmami farmaceutycznymi oraz NHS, a także przedstawia zagadnienia do rozpatrzenia PASAG.

W Szkocji firma farmaceutyczna może zaproponować PAS:

- jako część wniosku do Scottish Medicines Consortium (SMC). PASAG ocenia PAS, a SMC ocenia kliniczną i kosztową efektywność danej technologii. W przypadku zaakceptowania PAS SMC rozważa korzyści finansowe wypływające z proponowanego PAS w ramach oceny leku. Zwykle uwzględnienie PAS nie wpływa na termin rozpatrywania wniosku przez SMC, przy jasnej komunikacji z PASAG;
- w ramach specjalnego rodzaju oceny NICE – *Multiple Technology Appraisal* (MTA). W takim trybie PASAG ocenia PAS, natomiast organ *Healthcare Improvement Scotland* (HIS) zatwierdza rekomendację NICE jako właściwą również w warunkach Szkocji.

Przy składaniu propozycji PAS do PASAG są producenci zobowiązani do zaakceptowania podstawowych warunków dla PAS, zawartych w tzw. *Scotland Standard Terms*. Przewodnik we wspomnianym dokumencie stanowi jeden z załączników opisywanych wytycznych. Wniosek o PAS musi zawierać między innymi: informacje dotyczące leku oraz wskazania, którego dotyczy proponowane porozumienie, dane o dawkowaniu leku oraz opis sposobu funkcjonowania PAS w ramach szkockiego NHS. Wszystkie składane propozycje PAS są oceniane przez PASAG w odniesieniu do spełnienia tzw. *Key Principles*, które również stanowią załącznik do opisywanych wytycznych. PAS są oceniane również w kontekście ich akceptowalności finansowej, praktyczności w zastosowaniu oraz zgodności z zasadami etyki oraz obowiązującymi przepisami prawa. PAS mogą zostać zakwalifikowane do jednej z dwóch kategorii:

- porozumienia oparte na ocenie efektów zdrowotnych, w których korzyści wynikające z porozumienia uzależnione są od uzyskanej przez pacjenta odpowiedzi na leczenie, lub

²¹⁴ Patient access scheme assessment group http://www.scottishmedicines.org.uk/files/PAS/PASAG_Industry_Application_Pack_FINAL_0513.doc

²¹⁵ Patient access scheme assessment group. Guidance for NHS Boards https://www.scottishmedicines.org.uk/Submission_Process/Submission_Guidance_and_Templates_for_Industry/PASAG_NHS_Boards_Guidance_v5_0813.pdf

²¹⁶ Patient access scheme assessment group. Industry Guidance https://www.scottishmedicines.org.uk/files/PAS/PASAG_Industry_Guidance_v8_0813.pdf

- porozumienia oparte na wykorzystaniu środków, określone mianem instrumentów finansowych, w których korzyści wynikające z porozumienia nie zależą od generowanych efektów zdrowotnych. Tego typu instrumenty mogą być realizowane jako prosta obniżka ceny widniejącej na liście leków objętych refundacją.

Sposób, w jaki PAS generuje korzyści, może być prosty lub złożony:

- proste instrumenty są związane z bezpośrednimi obniżkami względem cen urzędowych. Obniżka jest stosowana na poziomie faktury do całkowitej długości terapii oraz wszystkich wskazań danej technologii. Nie ma potrzeby identyfikacji i monitorowania przebiegu leczenia pojedynczych pacjentów;
- proste instrumenty w ramach podstawowej opieki zdrowotnej są związane ze zniżkami naliczanymi retrospektywnie na podstawie zebranych przez NHS danych o zużyciu leków, których kwota wpłacana jest bezpośrednio do NHS;
- złożone instrumenty są bardzo zróżnicowane. Uwzględniać mogą rabaty finansowe i rzeczowe naliczane na różnych stadiach terapii pacjenta. Tego typu instrumenty mogą być również ograniczone do określonej podgrupy pacjentów. złożone instrumenty wymagają monitorowania przebiegu terapii pacjentów, przy zachowaniu zasad dotyczących poufności danych. W celach monitorowania leczenia każdemu pacjentowi, któremu przepisywane są leki w ramach PAS, zostaje nadany unikatowy identyfikator (szczegóły tego procesu zawarte są w jednym z załączników do omawianych wytycznych). Żaden PAS wymagający zbierania danych pozwalających na identyfikację pacjentów nie będzie akceptowany przez PASAG.

Porozumienia oparte na ocenie efektów zdrowotnych są zawsze instrumentami złożonymi, podczas gdy porozumienia oparte na wykorzystaniu środków mogą być zarówno złożone, jak i proste. Niektóre z proponowanych PAS oferują kombinację obniżek cenowych dla wybranych elementów prowadzonej terapii. Tego typu instrumenty powinny być zawsze uznawane za złożone, z uwagi na dodatkowe obciążenia związane z administracją tego typu PAS. Ocena PAS obejmuje proces dążenia producentów oraz NHS do wprowadzenia efektywnego PAS o minimalnym obciążeniu administracyjnym. Po ocenie, PASAG doradza SMC lub HIS odnośnie tego, czy PAS jest właściwy do implementacji, czy też jego zastosowanie nie jest rekomendowane. Jeżeli PAS jest częścią wniosku refundacyjnego, wtedy produkt może zostać zaakceptowany do stosowania bez ograniczeń lub z ograniczeniami z zastosowaniem albo bez zastosowania PAS. W przypadku zaproponowania PAS w ramach NICE MTA, HIS może zatwierdzić rekomendację NICE z PAS lub bez ocenianego PAS.

Dalsza część omawianych wytycznych dotyczy aspektu komunikowania podjętych decyzji przez PASAG oraz implementacji ocenianych PAS. Opis procesu implementacji PAS stanowi jeden z załączników do wytycznych. Osobami odpowiedzialnymi za kontakt w sprawie PAS oraz weryfikację jego prawidłowej implementacji są przedstawiciele NHS wybrani spośród biorących udział w ocenie danego PAS. Poniżej zaprezentowano tabelę zaczerpniętą z omawianych wytycznych, przedstawiającą przebieg procesu implementacji PAS w zależności od akceptacji PAS przez PASAG, SMC lub HIS.

Tabela 18. Scenariusze implementacji PAS

Scenariusz	PASAG	SMC lub HIS	Proces
PAS zaakceptowany przez PASAG, lek dopuszczony do stosowania z ograniczeniami lub bez przez SMC lub HIS (na podstawie rekomendacji MTA)	+	+	Lek może być przepisywany w ramach NHS i PAS może zostać zaimplementowany. PASAG przygotowuje pakiet wdrożeniowy dla proponowanego PAS.
PAS zaakceptowany przez PASAG, lek niedopuszczony do stosowania przez SMC lub HIS (na podstawie rekomendacji MTA)	+	-	Lek nie powinien być przepisywany w ramach NHS. Pakiet wdrożeniowy dla PAS nie jest przygotowywany, gdyż PAS nie może być zastosowany bez pozytywnej rekomendacji SMC lub HIS. W ramach NHS zostanie wprowadzony system rozpatrywania indywidualnych wniosków o refundację leczenia z zastosowaniem danego produktu. W przypadku akceptacji takiego wniosku NHS może bezpośrednio z firmą farmaceutyczną ustalać obowiązujące lokalnie ceny leku.

Scenariusz	PASAG	SMC lub HIS	Proces
PAS nierekomendowany przez PASAG, lek dopuszczony do stosowania z ograniczeniami lub bez przez SMC lub HIS (na podstawie rekomendacji MTA)	-	+	Lek może być przepisywany w ramach NHS bez uwzględnienia PAS. PASAG nie przygotowuje pakietu wdrożeniowego dla PAS, ponieważ bez rekomendacji PASAG instrument ten nie może być zastosowany. NHS może bezpośrednio z firmą farmaceutyczną negocjować ceny leku obowiązujące lokalnie.
PAS nierekomendowany przez PASAG, lek niedopuszczony do stosowania przez SMC lub HIS (na podstawie rekomendacji MTA)	-	-	Lek nie powinien być przepisywany w ramach NHS. PASAG nie przygotowuje pakietu wdrożeniowego dla PAS, ponieważ instrument nie może być zastosowany gdy: • PASAG nie rekomenduje PAS, • SMC nie rekomenduje stosowania leku, • HIS nie zatwierdza MTA. W ramach NHS zostanie wprowadzony system rozpatrywania indywidualnych wniosków o refundację leczenia z zastosowaniem danego produktu. W przypadku akceptacji takiego wniosku NHS może bezpośrednio z firmą farmaceutyczną ustalać obowiązujące lokalnie ceny leku.
Ocena SMC lub HIS wyprzedza PASAG. Ceny negocjowane lokalnie nie powinny być określone jako PAS	Brak oceny	+	Tylko umowy zaakceptowane przez PASAG powinny być określone jako PAS. W przypadku braku ogólnego PAS ceny negocjowane są przez NHS na poziomie lokalnym.

Ostatnia część wytycznych dotyczy aspektu poufności w kontekście PAS. Odpowiedzialność za utrzymanie warunków PAS leży po stronie NHS. Za dokumenty poufne uznaje się:

- wniosek o PAS,
- wytyczne dotyczące implementacji PAS,
- rejestr prowadzony na potrzeby PAS,
- dokument zatwierdzający PAS.

Wniosek o PAS może zawierać informacje, które – jeśli zostaną ujawnione – mogą spowodować znaczne straty dla firmy farmaceutycznej. Udowodnione naruszenie poufności danych dotyczących PAS może prowadzić do zakończenia obowiązywania umowy.

Funkcjonujące w odrębnej postaci wytyczne dla przemysłu farmaceutycznego²¹⁷ są w formie i treści bardzo zbliżone do przedstawionych powyżej wytycznych dla NHS²¹⁸.

Wzór wniosku o PAS²¹⁹ podzielony jest na kilka sekcji (od A do F). Pierwsza część służy określeniu przez producenta dokumentów składanych razem z wnioskiem i upewnieniu się, że wszystkie wymagane dokumenty zostały dołączone do wniosku. Kolejna sekcja polega na wypełnieniu informacji o leku i wskazaniach w odniesieniu do proponowanego PAS. Wypełnienie tej sekcji wniosku polega na odpowiedzi na kilka pytań typu TAK/NIE. Między innymi producent musi określić, czy proponowany PAS jest typu prostego. Jeżeli nie, powinien on krótko opisać korzyści płynące z zawierania PAS. W kolejnych częściach wniosku producent wypełnia szczegóły dotyczące PAS. Części te są podzielone w zależności od tego, czy proponowany PAS jest instrumentem prostym czy złożonym.

²¹⁷ Patient access scheme assessment group. Industry Guidance https://www.scottishmedicines.org.uk/files/PAS/PASAG_Industry_Guidance_v8_0813.pdf

²¹⁸ Patient access scheme assessment group. Guidance for NHS Boards https://www.scottishmedicines.org.uk/Submission_Process/Submission_Guidance_and_Templates_for_Industry/PASAG_NHS_Boards_Guidance_v5_0813.pdf

²¹⁹ Patient access scheme assessment group. Industry Application Pack http://www.scottishmedicines.org.uk/files/PAS/PASAG_Industry_Application_Pack_FINAL_0513.doc

Załącznik 2. Refundacja leków w lecznictwie zamkniętym

Zawieranie umów ze świadczeniodawcami

Tabela 19. Zestawienie najważniejszych aktów prawnych w zakresie RSA w aspekcie umów ze świadczeniodawcami

Ustawy
Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.).
Rozporządzenia
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 6 maja 2008 r. w sprawie ogólnych warunków umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej (Dz.U. Nr 81., poz. 484); - Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 15 grudnia 2004 r. w sprawie sposobu ogłaszania o postępowaniu w sprawie zawarcia umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej przez Narodowy Fundusz Zdrowia, zapraszania do udziału w rokowaniach, składania ofert, powoływania i odwoływania komisji konkursowej oraz jej zadań (Dz.U. Nr 273, poz. 2719).
Akty wewnętrzne Narodowego Funduszu Zdrowia
- Zarządzenie Nr 57/2013/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 2 października 2013 r. w sprawie warunków postępowania dotyczących zawierania umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej; - Zarządzenie Nr 3/2014/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 23 stycznia 2014 r. w sprawie określenia kryteriów oceny ofert w postępowaniu w sprawie zawarcia umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej; - Zarządzenie Nr 26/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie chemioterapii; - Zarządzenie Nr 27/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe); - Regulamin Pracy Komisji Konkursowej – Uchwała Nr 36/2005/I Rady NFZ z 4 października 2005 r.

Umowy ze świadczeniodawcami są zawierane w drodze konkursów ofert przez OW NFZ w oparciu o zarządzenia przyjęte przez prezesa NFZ. Zarządzenia prezesa przyjmowane są na podstawie opublikowanych przez ministra zdrowia obwieszczeń zawierających wykazy refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

Umowy są zawierane w ramach jawnego postępowania zwanego konkursem ofert lub, w przypadkach wskazanych w ustawie, w ramach rokowań. Postępowanie składa się z części jawnej i niejawnej. Część jawna obejmuje stwierdzenie prawidłowości ogłoszenia konkursu lub rokowań, otwarcie kopert z ofertami i stwierdzenie spełnienia wymogów konkursu. Część niejawna może obejmować negocjacje ze świadczeniodawcami liczby lub ceny udzielanych świadczeń.

Tabela 20. Kryteria wyboru ofert w postępowaniu o udzielenie świadczeń opieki zdrowotnej

1. Jakość udzielanych świadczeń opieki zdrowotnej – oceniana w szczególności poprzez: - kwalifikacje personelu, jego umiejętności oraz doświadczenie, - wyposażenie w sprzęt i aparaturę medyczną, - zewnętrzną ocenę potwierdzoną certyfikatem, m.in. certyfikatem systemu zarządzania lub certyfikatem akredytacyjnym ministra zdrowia, z zastrzeżeniem ust. 2 i 3, - ocenę kontroli zakażeń szpitalnych i polityki antybiotykowej, - wyniki ostatniej kontroli przeprowadzonej przez Narodowy Fundusz Zdrowia i zakończonej wystąpieniem pokontrolnym z uwzględnieniem ewentualnych zastrzeżeń wniesionych do dyrektora oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia do wystąpienia pokontrolnego. Wyniki kontroli odnoszą się do całego okresu obowiązywania umowy zawartej na realizację świadczeń w danym zakresie świadczeń, obowiązującej w roku poprzedzającym rok, którego dotyczy postępowanie w sprawie zawarcia umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej;

2. Zapewnienie kompleksowości udzielanych świadczeń opieki zdrowotnej – rozumianej jako możliwość realizacji świadczeń opieki zdrowotnej w danym zakresie, obejmującą wszystkie etapy i elementy procesu ich realizacji, ocenianej w szczególności poprzez:
f. planowaną strukturę świadczeń opieki zdrowotnej w danym zakresie lub planowany profil leczonych przypadków, g. dostęp do badań i zabiegów, h. posiadanie w strukturze organizacyjnej poradni/oddziałów/pracowni diagnostycznych, w tym potwierdzone wpisem w rejestrze podmiotów wykonujących działalność leczniczą, i. ofertę udzielania świadczeń opieki zdrowotnej w innych rodzajach lub zakresach, zapewniającą łącznie ciągłość procesu diagnostycznego lub terapeutycznego;
3. Dostępność do świadczeń opieki zdrowotnej – ocenianej w szczególności poprzez:
j. liczbę dni i godziny pracy w harmonogramie pracy, k. organizację przyjęć świadczeniobiorców, l. brak barier dla osób niepełnosprawnych;
4. Ciągłość udzielanych świadczeń opieki zdrowotnej – rozumianą jako organizację udzielania świadczeń opieki zdrowotnej zapewniającą kontynuację procesu diagnostycznego lub terapeutycznego, w szczególności ograniczającą ryzyko przerwania procesu leczenia świadczeniobiorców w ramach danego zakresu świadczeń opieki zdrowotnej realizowanego na podstawie umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej, w dniu złożenia oferty w postępowaniu w sprawie zawarcia umów – ocenianej w szczególności poprzez:
m. organizację świadczeń/turnusów zapewniającą systematyczny rozkład świadczeń w okresie obowiązywania umowy, n. realizację procesu leczenia świadczeniobiorców w ramach danego zakresu świadczeń w dniu złożenia oferty na podstawie umowy zawartej z dyrektorem oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia;
5. Cena świadczeń opieki zdrowotnej – oceniana poprzez odniesienie ceny jednostki rozliczeniowej zaproponowanej przez oferenta w ofercie lub stanowiącej końcowy wynik negocjacji w stosunku do ceny oczekiwanej przez Narodowy Fundusz Zdrowia w danym postępowaniu w sprawie zawarcia umowy.

Tabela 21. Zestawienie – elementy umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej

• rodzaj i zakres udzielanych świadczeń opieki zdrowotnej, • warunki udzielania świadczeń opieki zdrowotnej, • wykaz podwykonawców, • zasady rozliczeń pomiędzy NFZ a świadczeniodawcami, • kwotę zobowiązania NFZ wobec świadczeniodawcy, • zasady rozpatrywania kwestii spornych, • postępowanie o rozwiązaniu umowy, które może nastąpić za uprzednim, nie krótszym niż 3 miesiące okresem wypowiedzenia, chyba że strony postanowią inaczej, • postanowienie o karze umownej w przypadku niezastosowania terminu i trybu rozwiązania umowy, • zobowiązanie do stosowania sposobu realizacji instrumentu dzielenia ryzyka, • zobowiązanie do uzupełniania dokumentacji dodatkowej w postaci rejestru powikłań i działań niepożądanych (System Monitorowania Programów Terapeutycznych) – tylko w przypadku wybranych programów lekowych.
--

Tabela 22. Zestawienie – informacje o zawartych umowach publikowane przez OW NFZ

• maksymalna kwota zobowiązania Funduszu wobec świadczeniodawcy wynikająca z zawartej umowy, • rodzaj, liczba i cena zakupionych świadczeń albo rodzaju zakupionych świadczeń, • liczba jednostek rozliczeniowych (miara przyjęta do określenia wartości świadczenia opieki zdrowotnej w określonym zakresie lub rodzaju, w szczególności: punkt, porada, osobodzień), wyrażających wartość świadczenia oraz cenę jednostki rozliczeniowej, • maksymalna kwota zobowiązania NFZ wobec świadczeniodawcy wynikająca ze wszystkich zawartych umów.
--

Nabywanie leków przez świadczeniodawców

Tabela 23. Zestawienie – informacje o zawartych umowach publikowane przez OW NFZ

- Ustawa z dnia 29 stycznia 2004 r. – Prawo zamówień publicznych (Dz.U. 2013 r., poz. 907, z późn. zm.);
- Ustawa z dnia 2 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.);
- Ustawa z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz.U. 2001 nr 126 poz. 271, z późn. zm.);
- Ustawa z dnia 15 kwietnia 2011 r. o działalności leczniczej (Dz.U. 2013, poz. 217, z późn. zm.).

Podpisanie umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w ramach programów lekowych czy chemioterapii skutkuje przygotowaniem przez świadczeniodawcę przetargu na zakup substancji czynnej właściwej dla zakontraktowanego świadczenia. Postępowanie toczy się w oparciu o Specyfikację Istotnych Warunków Zamówienia (SIWZ), opracowaną przez świadczeniodawcę, w której definiuje on kryteria, jakimi będzie się kierował przy wyborze oferty, znaczenie podanych kryteriów oraz sposób oceny ofert. Świadczeniodawca przy dokonywaniu wyboru winien wybrać ofertę najkorzystniejszą, czyli taką, która przedstawia najkorzystniejszy bilans ceny oraz innych kryteriów odnoszących się do zamówienia publicznego albo ofertę ewentualnie z najniższą ceną²²⁰.

Przetarg na zakup leku trwa około od 1 do 3 miesięcy. W większości przypadków zakup leku następuje przed rozpoczęciem realizacji danego programu lekowego, czyli przed zgłoszeniem się i zakwalifikowaniem pacjenta do programu i leczenia. Zdarza się jednak, że najpierw zgłasza się pacjent, a później następuje przetarg i zakup leku do danego programu. Jest tak szczególnie w przypadkach chorób rzadkich, przy wielu warunkach kwalifikacji pacjenta do programu lub w sytuacji długiego oczekiwania pacjentów na wprowadzenie programu – zarówno w przypadku oczekiwania na decyzję refundacyjną, jak i po jej wejściu.

Tabela 24. Zestawienie – dane dotyczące nabycia leków przekazywane przez świadczeniodawcę do NFZ

Dane przekazywane przez świadczeniodawcę:

- NIP sprzedającego,
- numer faktury,
- data wystawienia faktury,
- nazwa międzynarodowa leku wg katalogu leków refundowanych stosowanych w chemioterapii lub w programach lekowych,
- nazwa handlowa leku,
- kod EAN lub inny odpowiadający kodowi EAN,
- postać farmaceutyczna leku,
- dawka leku w postaci farmaceutycznej,
- ilość fakturowanego leku (sztuki),
- całkowita ilość fakturowanego leku (mg),
- całkowita wartość leku na fakturze (w zł).

²²⁰ Ustawa z dnia 29 stycznia 2004 r. Prawo zamówień publicznych (Dz.U. z 2013 r., poz. 907, z późn. zm.).

Sprawozdanie udzielonych świadczeń do Narodowego Funduszu Zdrowia

Tabela 25. Zestawienie – najważniejsze akty prawne w zakresie sprawozdawania udzielonych świadczeń

Ustawy
Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2008 r., Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.).
Rozporządzenia
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 20 czerwca 2008 r. w sprawie zakresu niezbędnych informacji gromadzonych przez świadczeniodawców, szczegółowego sposobu rejestrowania tych informacji oraz ich przekazywania podmiotom zobowiązanym do finansowania świadczeń ze środków publicznych (Dz.U. z 2013 r., poz. 1447); - Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 18 kwietnia 2013 r. w sprawie zakresu niezbędnych informacji gromadzonych przez świadczeniodawców posiadających umowę z Narodowym Funduszem Zdrowia o udzielanie całodobowych lub całodziennych świadczeń zdrowotnych związanych z nabywaniem leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2013 r., poz. 489); - Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 27 lipca 2005 r. w sprawie zakresu niezbędnych informacji gromadzonych w systemie informatycznym Narodowego Funduszu Zdrowia oraz sposobu ich przekazywania ministrowi właściwemu do spraw zdrowia oraz wojewodom i sejmikom województw (Dz.U. z 2005 r., Nr 152, poz. 1271, z późn. zm.).
Akty wewnętrzne Narodowego Funduszu Zdrowia
- Zarządzenie Nr 57/2013/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 2 października 2013 r. w sprawie warunków postępowania dotyczących zawierania umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej; - Zarządzenie Nr 3/2014/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 23 stycznia 2014 r. w sprawie określenia kryteriów oceny ofert w postępowaniu w sprawie zawarcia umowy o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej; - Zarządzenie Nr 26/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenia szpitalne w zakresie chemioterapii; - Zarządzenie Nr 27/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenia szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe); - Regulamin Pracy Komisji Konkursowej – Uchwała Nr 36/2005/I Rady NFZ z 4 października 2005 r.

Rozliczenie wykonanych świadczeń pomiędzy Narodowym Funduszem Zdrowia a świadczeniodawcami następuje w okresach miesięcznych. Odbywa się ono na podstawie sprawozdawczości elektronicznej, wymienianej pomiędzy świadczeniodawcą a NFZ. Świadczeniodawca do 10 dnia każdego miesiąca przesyła raport statystyczny²²¹, który podlega weryfikacji i walidacji informatycznej przez Fundusz, na podstawie której wystawiana jest faktura i dokonywana płatność. Należności z tytułu realizacji umowy za okres sprawozdawczy OW NFZ wypłaca za miesiąc poprzedni, w terminie 15 dni po dacie dostarczenia przez świadczeniodawcę danych rozliczeniowych. Rozliczenie wykonania umowy za dany okres rozliczeniowy powinno nastąpić w ciągu 45 dni od jego zakończenia. W tym okresie świadczeniodawca może korygować wystawione dokumenty. Zgodnie z ogólnymi warunkami umów okres rozliczeniowy wynosi rok kalendarzowy lub inny okres czasu, który jest określony w umowie. Może to być jeden miesiąc, a okres sprawozdawczy zgodnie z ogólnymi warunkami umów wynosi jeden miesiąc.

Sprawozdawczość i rozliczenie następuje przy użyciu odpowiednich komunikatów w ramach systemu Rejestru Usług Medycznych (RUM-NFZ). Szczegółowy zakres i format informacji przekazywanych na potrzeby dokonywanych rozliczeń określa prezes NFZ w zarządzeniach w sprawie szczegółowych komunikatów XML na podstawie ustawy o świadczeniach i wydanych do niej rozporządzeń.

Portale i komunikaty sprawozdawcze – Portal świadczeniodawców, Portal świadczeniodawców SZOI, SWIAD, FZX, SMPT

Wyboru portalu dokonuje indywidualnie każdy oddział wojewódzki Narodowego Funduszu Zdrowia. Zasady korzystania z portali zostały szczegółowo opisane w Regulaminie korzystania z portalu Narodowego Funduszu Zdrowia²²².

²²¹ W formie komunikatu xml wygenerowanego z Portalu Świadczeniobiorcy (SZOI).

²²² Załącznik nr 1 do zarządzenia prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 5 października 2009 r. nr 45/2009/DSOZ w sprawie korzystania z Portalu Narodowego Funduszu Zdrowia z późn. zm.

Tabela 26. Podział oddziałów wojewódzkich NFZ ze względu na wykorzystywane Portale sprawozdawcze

Portal świadczeniodawców	Portal świadczeniodawców SZOI
Województwo dolnośląskie	Województwo kujawsko-pomorskie
Województwo lubuskie	Województwo lubelskie
Województwo opolskie	Województwo mazowieckie
Województwo podkarpackie	Województwo podlaskie
Województwo pomorskie	Województwo świętokrzyskie
Województwo łódzkie	Województwo warmińsko-mazurskie
Województwo małopolskie	Województwo wielkopolskie
Województwo śląskie	Województwo zachodniopomorskie

Sprawozdanie następuje z wykorzystaniem dwóch podstawowych komunikatów elektronicznych: SWIAD oraz FZX. Pierwszy z nich służy sprawozdawaniu udzielonych świadczeń, a drugi – nabytych przez świadczeniodawcę leków wykorzystanych w realizacji świadczenia opieki zdrowotnej w zakresie programów zdrowotnych (lekowych), terapeutycznych programów zdrowotnych oraz chemioterapii.

Tabela 27. Zakres danych przekazywanych w komunikatach SWIAD²²³

Element	Opis elementu
Komunikat	Główny element komunikatu wymiany danych, obejmujący wszystkie inne elementy zawierające poszczególne grupy informacji. Postać zgodna z ogólnym formatem nagłówka wszystkich komunikatów
Świadczeniodawca	Identyfikacja świadczeniodawcy i jego systemu informatycznego
Zestaw świadczeń	Element umożliwiający grupowanie świadczeń, niezbędny dla tych przypadków, gdy ze względu na przyjęte zasady sprawozdawczości muszą być one przekazywane równocześnie. W szczególności dotyczy to wszystkich pobytów na oddziałach podczas hospitalizacji pacjenta
Dane zestawu	Element pomocniczy (techniczny), występujący wtedy, gdy przekazywane są informacje charakteryzujące wykonane świadczenie. Nie występuje (a wraz z nim żaden z podległych elementów), jeżeli świadczeniodawca przekazuje jedynie informację o potrzebie usunięcia danych o zestawie świadczeń, wysłanych w jednym z poprzednich komunikatów
Pacjent	Element obejmujący dane charakteryzujące świadczeniobiorcę, o których mowa w §4 rozporządzenia
NFZ: program zdrowotny	Element zawierający dodatkowe dane dotyczące programów zdrowotnych leczenia dzieci ze śpiączką
Zlecenie	Element zawierający podstawowe dane dotyczące fazy zlecenia świadczenia. Nie występuje, jeżeli świadczenia udzielono bez zlecenia
Hospitalizacja	Element obejmujący dodatkowe dane wymagane tylko w przypadku sprawozdawania obejmującego świadczenia udzielone podczas hospitalizacji
Świadczenie	Element obejmujący dane charakteryzujące świadczenie
Dane świadczenia	Element techniczny, obejmujący wszystkie podległe elementy, wykorzystywany do czytelnego wydzielenia informacji nieprzekazywanych w przypadku usuwania świadczenia
kom-org	Dane identyfikujące komórkę organizacyjną, w której udzielono świadczenia
personel-real	Dane identyfikujące osobę udzielającą lub odpowiedzialną za udzielenie świadczenia
NFZ: autoryzacja	Dane dot. autoryzacji wykonania świadczenia (np. kupon RUM)
Przyczyna	Przyczyny medyczne udzielenia świadczenia
Transport	Element zawierający dodatkowe dane rejestrowane w związku z przewozem pacjenta

²²³ Załączniki do zarządzenia Nr 103/2012/DSOZ prezesa Narodowy Funduszu Zdrowia z dnia 24 grudnia 2012 r. w sprawie określenia szczegółowych komunikatów sprawozdawczych XML dotyczących świadczeń ambulatoryjnych i szpitalnych.

Element	Opis elementu
NFZ: sesja	Dodatkowe dane rejestrowane w związku z sesją lub cyklami leczenia, w ramach których udzielono świadczenia grupuje pacjentów uczestniczących w tej samej sesji lub cyklu leczenia
Procedura	Element umożliwiający przekazanie precyzyjniejszych danych o wykonanym świadczeniu, np. konkretne procedury medyczne
Ratownictwo	Dodatkowe dane rejestrowane w związku z wyjazdem
NFZ: wystawione zlecenia	Dane charakteryzujące zlecenia wystawione w trakcie udzielania świadczeń medycznych (np. skierowanie do specjalisty, wystawiona recepta) Element przetwarzany tylko w Śląskim OW NFZ
NFZ: pozycja rozliczeniowa	Pozycja rozliczeniowa (zrealizowany produkt) związana z wykonanym świadczeniem

Tabela 28. Zakres danych zbieranych w komunikacie FZX

Znaczniki			
Elementy	Atrybuty	Opis elementu lub atrybutu	Ograniczenia i inne zależności
komunikat		Element główny komunikatu	
	typ	Typ komunikatu	FZX – Komunikat zawiera informacje o fakturach zakupu w zakresie produktów leczniczych stosowanych w chemioterapii, programach terapeutycznych i programach lekowych
	wersja	Numer wersji komunikatu	1.06
	oddz-nfz	Kody jednostki organizacyjnej NFZ 1..16 OW NFZ	Adres komunikatu
	kod-swd	Stosowany do identyfikacji świadczeniodawców kod nadany przez płatnika	
	id-inst	Identyfikator wyróżniający instalację systemu informatycznego u danego świadczeniodawcy	Świadczeniodawca zapewnia unikalność identyfikatora instalacji w ramach posiadanych instalacji w których kiedykolwiek przekazywano dane do płatnika
	nr-gen	Nr kolejnej generacji komunikatu	
naglowek-faktury	czas-gen	Data i czas generacji komunikatu	
			Atrybuty nip i nr-faktury wyznaczają jednoznacznie fakturę w ramach świadczeniodawcy W przypadku konieczności zmiany numeru NIP lub numery faktury należy usunąć obraz faktury z błędnym numerem i przesłać nowy obraz z poprawnymi danymi W przypadku przesłania nowej wersji faktury jej obraz w systemie zostanie zastąpiony aktualnie przesłanym W przypadku nie przesłania informacji o fakturze jej obraz w systemie pozostanie niezmienny
	nr-faktury	Numer dokumentu	Należy zawsze przekazywać numer dokumentu pierwotnego
	data-wyst	Data wystawienia	
	nip	Nip dostawcy leków	Numer NIP przekazywany bez oddzielania grup cyfr łącznikiem
	wersja	Identyfikator techniczny informujący która wersję faktury przesłano.	Każdy nowy obraz faktury lub żądanie jej usunięcia powinno być przesyłane z nową wersją
	usuniecie	Atrybut przekazywany w przypadku usuwania faktury	T – Tak
dane-faktury		Nagłówek faktury	Element nie jest przekazywany w przypadku usuwania faktury
	data-sprzedazy	Data sprzedaży	W przypadku braku dnia sprzedaży należy wykazać ostatni dzień miesiąca sprzedaży
	kwota	Kwota dokumentu	
dostawca		Dodatkowe dane na temat dostawcy leków, który wystawił fakturę	
	nazwa-dostawcy		

Znaczniki			
Elementy	Atrybuty	Opis elementu lub atrybutu	Ograniczenia i inne zależności
adres-dostawcy		Adres siedziby lub adres główny miejsca wykonywania działalności gospodarczej	
	panstwo	Kod państwa	Według normy PN-ISO 3166-1
	kod-pocztowy	Kod pocztowy, jeżeli występuje	
	miescowosc	Miejscowość	
	ulica	Ulica	
	nr-domu	Numer domu	
	nr-lok	Numer lokalu	
	teryt	Kod gminy krajowego rejestru urzędowego podziału terytorialnego kraju TERYT	Przekazywany jeżeli //dostawca/adres-dostawcy@panstwo = „PL”
poz-faktury		Pozycja faktury	
	nr-poz	Numer pozycji na fakturze	Unikalny numer pozycji w ramach faktury
	kod-prod-handl	Kod produktu handlowego wg słownika NFZ	
	ilosc-opak	Ilość fakturowanego leku w opakowaniach	
	cena-opak	Cena brutto opakowania leku zgodna z fakturą zakupu leku	
	lb-sztuk	sumaryczna liczba sztuk (np. tabl, amp.)	
	ilosc-subst	Sumaryczna ilość substancji czynnej (np. mg, ml)	Jednostka w jakiej przekazywana jest ilość wynika bezpośrednio z kodu produktu handlowego
	wartosc	Wartość pozycji faktury	Wartość wyznaczana poprzez przemnożenie ilości fakturowanego leku w opakowaniach (ilość-opak) i ceny brutto opakowania leku (cena-opak)
	typ-leku	Szczegółowe określenie typu leku	Przekazywane w poniższych przypadkach:
	ean	Europejski kod towarowy (EAN) produktu lekowego lub inny kod odpowiadający kodowi EAN	Od 1 września 2013 r. atrybut obligatoryjny dla leków stosowanych w chemioterapii niestandardowej i programach lekowych (katalog 1m) Atrybut nieobligatoryjny dla leków zakupionych w ramach importu docelowego w przypadku braku kodu EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN. Kod EAN leku lub inny kod odpowiadający kodowi EAN, zgodnie z aktualnym obwieszczeniem ministra właściwego do spraw zdrowia, publikowanym w dziennikach urzędowych ministra zdrowia, wydanym na podstawie art. 37 ust. 1 ustawy refundacyjnej, obowiązującym w dniu zastosowania (podania)
lista-korekt		Lista faktur korygujących modyfikujących fakturę pierwotną	Z każdym obrazem faktury należy przysłać pełną listę faktur korygujących
	nr-korekty	Numer faktury korygującej	
	data-wystawienia	Data wystawienia faktury korygującej	

Odrębnym systemem jest System Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMPT), stanowiący rejestr powikłań i działań niepożądanych. SMPT funkcjonuje niezależnie od systemu RUM-NFZ, w ramach którego NFZ otrzymuje i przetwarza komunikaty sprawozdawcze SWIAD i FZX. Systemy te nie są interoperacyjne, tj. brak jest możliwości łatwego łączenia, porównywania i wspólnego przetwarzania zebranych w nich danych.

Ze względu na ukierunkowanie programów lekowych na rozwiązanie konkretnego problemu zdrowotnego każdy moduł aplikacji SMPT zawiera inny, specyficzny dla danego programu zestaw danych medycznych o terapii pacjenta. Stąd też rejestr SMPT jest tworzony dla każdego programu lekowego odrębnie, a jednocześnie nie dla każdego programu musi istnieć. Decyduje o tym Ministerstwo Zdrowia, umieszczając bądź nie wymóg raportowania przez SMPT w opisie programu lekowego, stanowiącego załącznik do wyżej wspomnianego obwieszczenia ministra zdrowia.

Tabela 29. Uprozczone zestawienie danych zbieranych w ramach SMPT

Zakres danych zbieranych w SMPT

- **Dane pacjenta:** numer PESEL, nazwisko, imię, OW NFZ, wiek, płeć.
- **Dane o kwalifikacji do programu:** wniosek kwalifikacyjny przesyłany do Zespołu Koordynującego z prośbą o zatwierdzenie kwalifikacji, zawierający wyniki wszystkich niezbędnych badań pacjenta wymaganych w opisie programu lekowego z obwieszczenia ministra zdrowia.
- **Informacje o programie ogólne:** świadczeniodawca, kod OW, OW NFZ, numer programu, status, data rozpoznania, data zgłoszenia do programu, Data kwalifikacji, Data rozpoczęcia leczenia, Lek (Lista leków do wyboru stosowana i refundowana w ramach danego programu lekowego, leki ujęte po nazwie, bez kodu EAN), data podania leku, lekarz, daty kolejnych wizyt monitorujących, data zakończenia i przyczyna zakończenia programu.
- **Informacje o programie indywidualne dla danego schorzenia** (przykładowo wypisane z programów): pacjent w trakcie podawania leku biologicznego, lek, wniosek, obecnie stosowane przewlekłe leczenie niebiologiczne (astma, łuszczyca plackowata), pacjent z zespołem Gilberta, przerzuty do wątroby (czerniak), faza białaczki i wcześniejsze leczenie Interferon Alfa, lista zapotrzebowania na czynnik (hemofilia).
- **Dane medyczne indywidualne dla danego schorzenia – wyniki badań** (przykładowo): wzrost, waga, stan sprawności wg WHO, BMI, ASPAT, ALAT, bilirubina, płytki krwi, hemoglobina, bezwzględna liczba neutrofili, kreatynina we krwi, mocznik we krwi, próby wątrobowe, RTG płuc, morfologia krwi, OB.
- **Dane z punktu kontrolnego:** kalendarz badań, numer punktu, status punktu kontrolnego, data badania, przyczyna przekroczenia terminu punktu kontrolnego, aktualne wyniki badań kontrolnych, ocena odpowiedzi na leczenie przez lekarza, brak spadku liczby zaostrzeń w stosunku do okresu przed leczeniem (tak/nie), informacja o małej aktywności leczenia, informacja o remisji, toksyczność leczenia, nadwrażliwość na lek, działania niepożądane, opis stanu zdrowia pacjenta.

SMPT został stworzony przez Departament Gospodarki Lekami Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia. Pełna wartość tego systemu jest niewidoczna dla Wydziałów Gospodarki Lekami w oddziałach wojewódzkich NFZ i na dziś nie pozwala na monitorowanie regionalnie wyników leczenia. Utrzymaniem SMPT zajmuje się Departament Informatyczny Centrali Narodowego Funduszu Zdrowia. Sama baza tworzona jest każdorazowo osobno dla danego programu lekowego. Proces tworzenia aplikacji, słowników i implementacji SMPT trwa od 1 do 2 miesięcy. Może to skutkować opóźnieniami sprawozdawczości ze strony świadczeniodawców wynikającymi z potencjalnego braku dostępności do danych w systemie informatycznym NFZ i stąd – braku możliwości wprowadzenia informacji dla nowego leku bądź programu lekowego wraz z wdrożeniem nowego programu. Istnieje możliwość uzupełnienia danych w systemie w czasie późniejszym, bez straty niezbędnych danych zbieranych przez NFZ.

Dane pacjentów ze strony świadczeniodawcy są wprowadzane do rejestru SMPT przez lekarzy prowadzących. W ocenie użytkowników (ze strony szpitali) system wymaga czasochłonnej obsługi i dość często jest niedostosowany funkcjonalnie do danego programu lekowego (brak właściwych słowników, brak możliwości wyboru konkretnego preparatu, brak możliwości wyboru właściwego schematu leczenia). Uzupełnianie danych pacjenta na bieżąco przez personel prowadzący jest w systemie w zasadzie niemożliwe, ze względu na czasochłonność i trudność techniczną obsługi aplikacji. W większości przypadków dane uzupełniane są post factum i retrospektywnie przez szpital. Brak jest oficjalnych danych dotyczących czasu zmian oraz czasu rzeczywistego dostosowywania systemów do bieżącej obsługi przez szpitale. System jest kontrolowany i zarządzany na bieżąco wewnętrznie przez centralę NFZ, niezależnie od zaleceń i wymogów Ministerstwa Zdrowia.

Poniżej przedstawiono zbiorczo informacje o systemach i komunikatach sprawozdawczych NFZ, a także zestawiono przekazywane w nich informacje oraz dane zawarte w poszczególnych systemach, mające zastosowanie do realizacji RSA. Powiązanie ze sobą danych zbieranych za pomocą wszystkich komunikatów i systemów może umożliwić wdrożenie poszczególnych RSA.

Tabela 30. Zbiorcze zestawienie systemów i komunikatów sprawozdawczych do NFZ w ramach realizacji programów lekowych i chemioterapii

Komunikat	Język danych	Format	Cel	Zakres	Regulacje prawne	Kto korzysta
SWIAD (w ramach RUM-NFZ)	XML	Komunikaty XML, formaty rozliczeniowe służące do wystawiania dokumentów do OW NFZ (*ERX – rachunek, *EFX – faktura, *ENX – nota)	Ofertowanie do NFZ, sprawozdanie i rozliczenie świadczeń wykonanych dla danego pacjenta, wystawianie dokumentów będących podstawą do refundacji	Wszystkie za-kontraktowane świadczenia ambulatoryjne i szpitalne ze wszystkich zakresów specjalizacji (w tym programy lekowe i chemioterapia), zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie, deklaracja POZ, zarządzanie kolejkami oczekujących	Zarządzenie Nr 103/2012/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 24 grudnia 2012 r. (ostatnia aktualizacja Zarządzenie Nr 14/2013/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 21 marca 2013 r.) Zarządzenia Nr 71/2013/DI Prezesa NFZ z dnia 29 listopada 2013 r. (ostatnia aktualizacja zarządzenie Nr 56/2014/DI Prezesa NFZ z dnia 29 sierpnia 2014 r.) Zarządzenia nr 70/2013/DI Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29 listopada 2013 r. (aktualizacja Zarządzenia nr 32/2014/DI Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 12 czerwca 2014 r.) Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 5 października 2009 r. nr 45/2009/DSOZ	Świadczeniodawca, oddziały wojewódzkie NFZ
FZX (w ramach RUM-NFZ)	XML	*FZX	Informacja o fakturach zakupu w zakresie produktów leczniczych stosowanych w chemioterapii, programach terapeutycznych i programach lekowych	Programy lekowe i chemioterapia	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 20 czerwca 2008 r. Zarządzenie Nr 26/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r. Zarządzenie Nr 27/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r.	Świadczeniodawcy, oddziały wojewódzkie NFZ, Centrala NFZ
SMPT	Aplikacja Web	n/a	Monitorowanie przebiegu i rejestr efektów klinicznych w realizowanym programie zdrowotnym	Programy lekowe	Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 22 października 2014 r. Zarządzenia Nr 27/2012/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 maja 2012 r.	Świadczeniodawcy, oddziały wojewódzkie NFZ, Centrala NFZ (DGL), Zespoły Koordynujące

Tabela 31. Dane zbierane w ramach systemów sprawozdawczych do NFZ – zestawienie zbiorcze

	Dane zbierane w ramach systemu sprawozdawczego/ komunikatu	Portal świadczeniodawców/SZOI	FZX	SMPT
Świadczeniodawca	Nazwa, adres, kod świadczeniodawcy	x	x	x
	Kod OW NFZ	x	x	x
	Okres sprawozdawczy	x	x	x
	Numer umowy świadczeniodawcy	x		
Pacjent	Dane osobowe pacjenta	x		x
	PESEL pacjenta	x		x
	Masa lub powierzchnia ciała pacjenta	x		x
Faktura	Nr faktury	x	x	
	Data wystawienia	x	x	
	NIP sprzedającego	x	x	
	Numer i wartość pozycji na fakturze	x	x	
	Identyfikator zakupionego leku	x	x	
	Nazwa międzynarodowa leku wg katalogu leków refundowanych stosowanych w programach lekowych	x	x	
	Nazwa handlowa leku	x	x	
	Kod EAN	x	x	
	Postać farmaceutyczna leku	x	x	
	Dawka leku w postaci farmaceutycznej	x	x	
	Jednostka miary leku (mg)	x	x	
	Ilość fakturowanego leku (sztuki)	x	x	
	Sumaryczna ilość substancji czynnej (mg)	x	x	
	Cena jednostkowa leku / cena za opakowanie – cena z faktury nie wyższa niż cena z obwieszczenia MZ	x	x	
	Całkowita wartość leku na fakturze (zł)	x	x	
Udzielone świadczenie	Kod udzielonego świadczenia/kod ICD 10	x		
	Data wykonania świadczenia (od... do)	x		
	Przyczyna udzielenia świadczenia	x		
	Krotność realizacji świadczenia	x		
	Wariant schematu leczenia (tylko dla PL)	x		
	Data podania leku	x		
	Kod substancji czynnej	x		
	Ilość podanej pacjentowi substancji czynnej (wielokrotność lub część jednostki miary leku)	x		
	Kod EAN	x		
	Taryfa lub jednostka rozliczeniowa	x		
	Waga punktowa jednostki miary leku lub świadczenia	x		
	Wartość punktowa jednostki miary leku lub świadczenia	x		
	Liczba jednostek rozliczeniowych	x		
	Cena 1 jednostki rozliczeniowej	x		
	Waga punktowa	x		
	Informacja o lekach wydanych pacjentowi do domu	x		
Dane terapeutyczne	Kwalifikacja do programu lekowego			x
	Opis stanu zdrowia pacjenta			x
	Efekt terapeutyczny			x

Tabela 32. Zakres danych zbieranych przez systemy sprawozdawcze w kontekście różnych typów RSA

Typ RSA	SWIAD	FZX	SMPT
RSA finansowe (Payback, PVA, Cena maksymalna, Cap na opakowanie)	PESEL, Nazwa leku, kod EAN, ilość zakupionego leku (szt.), ilość zakupionego leku (mg); wartość leku na fakturze (zł), cena za jednostkę leku, cena za opakowanie leku, ilość leku zużyta (szt.) ilość leku zużyta (mg), ilość opakowań leku wydana pacjentowi do domu	Nazwa leku, kod EAN, ilość zakupionego leku (szt.), ilość zakupionego leku, (mg); wartość leku na fakturze (zł)	PESEL, Wielkość zużytego leku, opakowania (bez kodu EAN) w powiązanie z PESEL, wybrane dane charakterystyki pacjentów, data podania leków, daty kontroli pacjenta
RSA z rabatem rzeczowym	PESEL, Nazwa leku, kod EAN, ilość zakupionego leku (szt.), ilość zakupionego leku, (mg); wartość leku na fakturze (zł), cena za jednostkę leku, cena za opakowanie leku, ilość leku zużyta (szt.) ilość leku zużyta (mg), ilość opakowań leku wydana pacjentowi do domu	Nazwa leku, kod EAN, ilość zakupionego leku (szt.), ilość zakupionego leku, (mg); wartość leku na fakturze (zł)	PESEL, wielkość zużytego leku, opakowania (bez kodu EAN) w powiązaniu z PESEL, wybrane dane charakterystyki pacjentów, data podania leków, daty kontroli pacjenta
Outcome based lub conditional reimbursement (możliwe jedynie w ramach programów lekowych)	PESEL pacjenta, nazwa leku, kod EAN, ilość zakupionego leku (szt.), ilość zakupionego leku, (mg); wartość leku na fakturze (zł), cena za jednostkę leku, cena za opakowanie leku, ilość leku zużyta (szt.) ilość leku zużyta (mg), schemat leczenia	Nazwa leku, kod EAN, ilość zakupionego leku (szt.), ilość zakupionego leku, (mg); wartość leku na fakturze (zł)	PESEL pacjenta, efekt kliniczny na poszczególnych etapach leczenia dla danego pacjenta, schemat leczenia (prognozowana ilość zużycia leku) wraz z danymi charakterystyki pacjentów

Kontrola świadczeniodawców przez NFZ

Informacje zebrane za pośrednictwem SWIAD oraz FZX dostępne są dla pracowników NFZ poprzez system informatyczny Funduszu CBS – Centralna Baza Świadczeń. Dane przechodzą weryfikację poprawności w systemach:

- CLO – weryfikacja świadczeń,
- SDWSZ – System Dodatkowej Weryfikacji Świadczeń Zdrowotnych,
- SORK – System Obsługi Rozliczeń Kontraktowych,

oraz w ramach kontroli dokumentacji świadczeniodawców przez NFZ.

Na tym etapie są wykluczane podstawowe błędy w sprawozdaniach (przede wszystkim brak danych). Przykładem może być brak wypełnionego kodu EAN, kiedy system odrzuca dane i świadczenie nie może być rozliczone. Inne najczęściej popełniane błędy, tzw. błędy merytoryczne, to przykładowo niepoprawna taryfa i/lub przekroczenie zalecanej dawki leku. Fundusz, pomimo nieprawidłowości występujących w sprawozdaniach, jest zobowiązany dokonać refundacji na rzecz szpitala dla każdego przypadku błędu, który jest przepuszczany przez system weryfikacyjny w ramach tzw. „miękkiej bramki”.

Ustawa o świadczeniach zdrowotnych określa zasady przeprowadzania kontroli świadczeniodawców przez oddziały wojewódzkie NFZ, do której muszą oni się zobowiązać, podpisując umowę o realizacji świadczeń²²⁴. W oparciu o przekazane dane elektroniczne NFZ może przeprowadzić kontrolę, polegającą na weryfikacji dodatkowej dokumentacji szpitala i porównaniu jej z wpisami dokonanymi na rzecz NFZ. Postępowanie kontrolne może skutkować wezwaniem świadczeniodawcy do korekty sprawozdania. Kontrola sensu stricto może dotyczyć zarówno roku bieżącego, jak i lat ubiegłych. Zazwyczaj dokonuje się jej po zamknięciu danego roku, ze względu na brak możliwości poprawy przez świadczeniodawcę sprawozdawczości w trakcie jej trwania, co w praktyce ułatwia jej prowadzenie i ustalenie stanu faktycznego.

²²⁴ Art. 64. 1. Ustawy o świadczeniach, szczegółowe procedury kontrolne opisane są w Zarządzeniu Nr 55/2014/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 21 sierpnia 2014 r. w sprawie planowania, przygotowywania i prowadzenia kontroli oraz realizacji wyników kontroli świadczeniodawców.

Bibliografia

- Aggarwal R.: Risk-sharing Agreements: Country Experiences and Challenges. INSEAD Healthcare Management Initiative, 2014.
- AIFA. Regulacja cen leków. <http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/la-regolazione-dei-prezzi-dei-farmaci> (13.08.2014).
- AIFA. Wycena i refundacja. <http://www.agenziafarmaco.gov.it/en/content/pricing-and-reimbursement> (13.08.2014).
- Art. 64. 1. Ustawy o świadczeniach, szczegółowe procedury kontrolne opisane są w zarządzenie Nr 55/2014/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 21 sierpnia 2014 r. w sprawie planowania, przygotowywania i prowadzenia kontroli oraz realizacji wyników kontroli świadczeniodawców.
- Australian National Audit Office (ANAO), Performance Audit Pharmaceutical Benefits Scheme PBS: <http://tinyurl.com/dyy556>.
- Bogusławski S, Smaga A, Falkiewicz B, Kielczewski T, Burliński P, Matczak M, Czarnuch M, Piekłak M, Łajszczak Sz.: Wpływ ustawy o refundacji leków na dostęp pacjenta do farmakoterapii, budżet NFZ oraz branżę farmaceutyczną. Ocena skutków regulacji. INFARMA. Warszawa 2014.
- Carlson J, Gries K, Yeung K.: Current Status and Trends in Performance-Based Risk-Sharing Arrangements Between Healthcare Payers and Medical Product Manufacturers. Applied Health Economics and Health Policy, 2014.
- Carlson J, Sullivan D, Garrison L.: Linking payment to health outcomes: A taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy, 2010.
- Chalkidou K, Hoy A, Littlejohns P. Making a decision to wait for more evidence: when the National Institute for Health and Clinical Excellence recommends a technology only in the context of research, JRSM, 2007.
- Communication from the Commission to the European Parliament, The Council, The European Economic Committee and the Committee of the Regions on Rare Diseases: Europe's challenges [COM (2008) 679] – http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf
- Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases (2009/C 151/02) – <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>
- Dane Narodowego Funduszu Zdrowia zaprezentowane podczas Międzynarodowej Konferencji Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego ISPOR POLAND 2013, która odbyła się 5 grudnia 2013 r. w Warszawie
- Dane prezentowane przez W. Matuszewicza w referacie „Rola AOTMiT w ocenie propozycji RSA przedstawianych w raportach HTA” podczas X Forum Rynku Zdrowia (Warszawa, 23-24 października 2014 r.).
- de Pouvourville G. Risk-sharing agreements for innovative drugs. A new solutions to old problems? Springer Medizin Verlag 2006.
- Dyrektywa Rady z dnia 21 grudnia 1988 r. dotycząca przejrzystości środków regulujących ustalanie cen na produkty lecznicze przeznaczone do użytku przez człowieka oraz włączenia ich w zakres krajowego systemu ubezpieczeń zdrowotnych (89/105/EWG), Dz.Urz. UE L 40 z 11 lutego 1989 r., str. 8).
- Espin J, Rovira J, Garcia L.: Experiences and Impact of European Risk-Sharing Schemes Focusing on Oncology Medicines. Andalusian School of Public Health, 2011.
- Espin J.: Analysis of differences and commonalities in pricing and reimbursement systems in Europe, 2007.
- Exploring the impact of NICE technology appraisals. <https://www.nice.org.uk/proxy/?sourceurl=http://www.nice.org.uk/newsroom/features/exploringtheimpactofnicetechnologyappraisals.jsp>
- Ferrario A, Kanavos P.: Managed entry agreements for pharmaceuticals: The European experience. London School of Economics and Political Science, 2013.

- Guidelines for Deeds of Agreement for the Pharmaceutical Benefits Scheme. http://www.pbs.gov.au/industry/listing/elements/deeds-agreement/Guidelines_for_Deeds_of_Agreement.pdf
- <http://www.mstrust.org.uk/research/risksharingscheme/>
- Jarosławski S, Toumi M.: Market Access Agreements for pharmaceuticals in Europe: diversity of approaches and underlying concepts. BMC Health Services Research, 2011.
- Jommi C. Conditional pricing / reimbursement in Italy. 8grudnia 2009 – Paryż. Dostępne na: http://www.emaud.org/Doc/Jommi_1.pdf.
- Klemp M, KB Frønsdal, K Facey, and HTAi Policy Forum. What principles should govern the use of managed entry agreements? Int J Technol Assess Health Care 27 (1):77-83.
- Łanda K. (red.): Pricing. Ceny leków refundowanych, negocjacje i podział ryzyka. CEESTAHC, Warszawa/Kraków 2009.
- Łączne sprawozdanie finansowe Narodowego Funduszu Zdrowia za okres 1.01-31.12.2013 r. (publikowane na stronie internetowej http://www.nfz.gov.pl/new/art/6269/Bilans_2013_NFZ.pdf).
- Møldrup C. No Cure, no Pay. BMJ, 2005, Vol. 330: 1262-1264.
- Morel T, Aricx F, Befrits G, i in.: Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. Orphanet Journal of Rare Diseases 2012, 8:198.
- National Institute for Health and Clinical Excellence, NICE. 2011. Erlotinib monotherapy for maintenance treatment of non-small-cell lung cancer. In NICE technology appraisal guidance 227.
- NHS Devon. 2011. Risk Sharing Schemes (RSS) and Patient Access Schemes (PAS).
- NICE, Summary of VELCADE® Response Scheme.
- Palace J M. UK multiple sclerosis risk-sharing scheme: a new natural history dataset and an improved Markov model. BMJ Open 2014;4:e004073.
- Patient access scheme assessment group. Guidance for NHS Boards https://www.scottishmedicines.org.uk/Submission_Process/Submission_Guidance_and_Templates_for_Industry/PASAG_NHS_Boards_Guidance_v5_0813.pdf
- Patient access scheme assessment group. http://www.scottishmedicines.org.uk/files/PAS/PASAG_Industry_Application_Pack_FINAL_0513.doc
- Patient access scheme assessment group. Industry Application Pack http://www.scottishmedicines.org.uk/files/PAS/PASAG_Industry_Application_Pack_FINAL_0513.doc
- Patient access scheme assessment group. Industry Guidance. https://www.scottishmedicines.org.uk/files/PAS/PASAG_Industry_Guidance_v8_0813.pdf
- Pharmaceutical Benefits Pricing Authority Policies Procedures and Methods used in the pricing of pharmaceutical products, December 2006: <http://tinyurl.com/c34sa6>
- Proponowane art. 31a i 31b ustawy o refundacji, zawarte w art. 1 pkt 23 projektu ustawy o zmianie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z 18 września 2013 r., dostępnego na stronie internetowej Ministerstwa Zdrowia pod adresem: http://www2.mz.gov.pl/wwwfiles/ma_struktura/docs/ustawarefundacja_20130919.pdf
- Pugatch M, Healy P, Chu r. Sharing the Burden: Could risk-sharing change the way we pay for healthcare? The Stockholm Network, 2010.
- Refundacja we Włoszech: <http://www.ispor.org/HTARoadMaps/Italy.asp> (19.11.2014).
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu. <http://isap.sejm.gov.pl/DetailsServlet?id=WDU20120000388>
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. z 2012 r., poz. 388).
- Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 20 grudnia 2012 r. w sprawie wzorów wniosków w zakresie refundacji leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobu medycznego (Dz.U. z 2013 r., poz. 44).

- Rozporządzenie nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie sierocych produktów leczniczych (Dz. U. UE L 18 z 22.1.2000, str. 1).
- Spooks J. Patient access schemes in the new NHS. *British Journal of Healthcare Management*, 2012.
- Strona internetowa NICE. <https://www.nice.org.uk>
- Submission form for complex Wales patient access schemes. <http://www.awmsg.org/docs/awmsg/appraisaldocs/inforandforms/Submission%20Form%20for%20a%20Complex%20Wales%20Patient%20Access%20Scheme.docx>
- Ustawa CIPE z dnia 1 lutego 2001, nr 3. Kryteria negocjacji cen leków. http://www.edizionieuropee.it/data/html/48/zn86_02_183.html (13.08.2014).
- Wales Patient Access Scheme (WPAS) Process Guidance <http://www.awmsg.org/docs/awmsg/appraisaldocs/inforandforms/Wales%20Patient%20Access%20Scheme%20process%20guidance.pdf>
- Williamson S.: A Report into the Uptake of Patient Access Schemes in the NHS. British Oncology Pharmacy Association. London, 2009.
- Wypowiedź podsekretarza stanu Igora Radziejewicza-Winnickiego podczas 61. posiedzenia Senatu RP VIII kadencji dostępna na stronie internetowej Senatu pod adresem: <http://www.senat.gov.pl/prace/senat/posiedzenia/przebieg,283,2.html>
- Wytyczne do przekazywania danych Małopolskiego Oddziału Wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia pod adresem https://isi.nfz-krakow.pl/?p=fo_zasady
- Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA). <http://www.aotm.gov.pl/www/index.php?id=765>
- Załącznik nr 1 do Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 5 października 2009 r. nr 45/2009/DSOZ w sprawie korzystania z Portalu Narodowego Funduszu Zdrowia z późn. zm.
- Załączniki do Zarządzenia Nr 103/2012/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 24 grudnia 2012 r. w sprawie określenia szczegółowych komunikatów sprawozdawczych XML dotyczących świadczeń ambulatoryjnych i szpitalnych.
- Zarządzenia Nr 26/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie chemioterapii; Zarządzenie Nr 27/2012/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 maja 2012 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe).
- Zarządzenie Nr 70/2013/DI Prezesa NFZ z dnia 29 listopada 2013 r. w sprawie szczegółowych komunikatów XML dotyczących przekazywania w formie elektronicznej danych zawartych w fakturze, rachunku lub notcie oraz rozliczania świadczeń ambulatoryjnych i szpitalnych, zaopatrzenia w wyroby medyczne wydawane na zlecenie oraz deklaracji POZ/KAOS oraz Zarządzenie Nr 71/2013/DI Prezesa NFZ z dnia 29 listopada 2013 r. w sprawie szczegółowego komunikatu XML dotyczącego przekazywania dokumentów rozliczeniowych w postaci dokumentu elektronicznego.

