

# Hlavné princípy týkajúce sa hodnoty a oceňovania inovatívnych liekov z pohľadu pacientov

---

Jún 2016 – Európske patientske fórum

## Obsah

Hlavné princípy týkajúce sa hodnoty a oceňovania inovácií z pohľadu pacientov.....	1
Úvod.....	3
Súčasný cenový model nie sú v prospech spravodlivého prístupu.....	5
Transparentnosť cien: postupujte opatrne.....	6
Určenie skutočnej hodnoty inovácie.....	7
Prispôbenie systému novej vedeckej a technickej realite.....	9
Spoločné rokovania o cenách – cesta vpred.....	10
Širší uhol pohľadu .....	11
Hlavné princípy hodnoty a oceňovania.....	13
Poznámky a literatúra .....	15

Tento dokument vyhotovil výbor EPF a naša členská základňa ho podporila ako konštruktívny príspevok do debát o hodnote a cene inovácie, ktoré sa v súčasnosti vedú na úrovni EÚ. Nadväzuje na úvodné vyhlásenie distribuované pred neformálnou Zdravotnou radou v polovici apríla.

Cieľom tohto dokumentu je:

- Predstaviť hlavné skutočnosti, ktoré znepokojujú komunitu pacientov, pokiaľ ide o rozdiely v prístupe spojené s aktuálnymi cenovými modelmi
- Opísať pohľad pacientov na súčasné debaty o hodnote inovácie
- Zdôrazniť hlavné princípy, ktoré by mali uplatňovať subjekty prijímajúce politické rozhodnutia v členských štátoch, inštitúcie EÚ a farmaceutický priemysel s cieľom zabezpečiť spravodlivú dostupnosť liečby, ktorá bude založená na potrebe, a nie prostriedkoch, pričom sa zároveň zachová dlhodobá udržateľnosť našich zdravotných systémov.

## Úvod

Víziou Európskeho patientskeho fóra je, aby mali všetci pacienti s chronickými a/alebo celoživotnými zdravotnými problémami v EÚ prístup k vysoko kvalitnej a spravodlivej zdravotnej a sociálnej starostlivosti, uprostred ktorej bude stáť pacient. Dostupnosť zdravotnej starostlivosti vrátane liekov je základné právo, ktoré je presadzované ako spoločná politika na úrovni EÚ. Nerovnaká dostupnosť je hlavným faktorom podieľajúcim sa na nerovnostiach v oblasti zdravia<sup>1, 2</sup> a Európsky parlament vníma pacientov s chronickými ochoreniami ako pacientov patriacich do skupiny, ktorej potreby by sa mali osobitne zvažovať pri riešení nerovností v oblasti zdravia.<sup>3</sup>

Včasná dostupnosť presnej diagnózy a správnej liečby nielen zlepšuje zdravie a pohodu pacienta, ale zároveň dokáže kompenzovať výrazné náklady na systémy zdravotnej a sociálnej starostlivosti v dôsledku zhoršenia zdravotného stavu, ktorému sa je možné vyhnúť. Pre pacientov s chronickými ochoreniami predstavujú lieky dôležitý a niekedy kľúčový aspekt liečby. Nové a lepšie lieky sú prísľubom výrazného zlepšenia zdravia a kvality života, či dokonca životných vyhliadok v podobe vyliečenia.

Dostupnosť liekov môžeme vnímať podobne ako dostupnosť zdravotnej starostlivosti ako takej, dodržiavajúc princíp EPF v podobe spravodlivého prístupu založeného na potrebách a nie prostriedkoch:

- *Dostupnosť:* liek musí byť dostupný na trhu;
- *Prijateľná cena:* pacienti by nemali mať v dôsledku liečby finančné ťažkosti a zdravotné systémy by nemali mať finančné ťažkosti v dôsledku snáh o poskytovanie starostlivosti svojim občanom;
- *Adekvátnosť:* liek by mal byť bezpečný, vysoko kvalitný a účinný;
- *Vhodnosť:* liek musí vyhovovať potrebám pacienta;
- *Prístupnosť:* liek by mal byť distribuovaný dostupnými kanálmi, bez geografických alebo časových bariér.<sup>4</sup>

Prístupnosť sa stáva v zdravotných a sociálnych politikách čoraz naliehavejšou témou. Stále pretrvávajú neakceptovateľné rozdiely v prístupe pacientov k liekom, zatiaľ čo systémy zdravotnej starostlivosti majú stále väčšie problémy s úhradou nákladov na niektoré nové lieky. Existujúce rozdiely sa ešte zhoršili na pozadí úsporných opatrení a klesajúcich výdavkov na zdravotnú starostlivosť v mnohých členských štátoch od roku 2009.<sup>5</sup> Skupiny pacientov vnímajú takéto úsporné politiky ako krátkodobé zisky v rozpočte – škrtý v úhradách zdravotnej starostlivosti a poistnom krytí, zvýšené poplatky pacientov a spoluúčasť pacienta na platbách, ako aj zrušenie sociálnej pomoci a ochrany.

K tejto situácii prispievajú aj zmeny vo výskume v rámci odvetvia a v procese výroby nových liekov. Na jednej strane, mnohým z tzv. blockbusterových liekov sa skončila alebo čoskoro skončí platnosť a zvyšuje sa možnosť vstupu nových generických liekov na trhy. To môže byť vnímané ako dobrá správa pre pacientov, pretože vstup generík môže značne znížiť ceny, ktoré uhrádzajú zdravotné systémy, nakoľko sa zavedie konkurencia.<sup>6</sup> Na druhej strane sa vedecké poznatky rýchlo rozvíjajú. Dochádza k novým, potenciálne prelomovým objavom, vrátane liekov na chronické infekcie a na mieru šitých liekov, či k objavom v genomike.<sup>7</sup> Čoraz väčší počet výskumných projektov a spoločností sa zameriava na vývoj diferencovaných a špecializovaných liekov určených pre menšie skupiny pacientov. Aj to je dobrá správa, pretože je to prísľub účinnejších a na mieru šitých riešení špecifických potrieb pacientov. Tieto nové formy liečby sú však často mimoriadne drahé. Pacienti budú výhody nových terapií môcť využívať len vtedy, keď budú po uvedení na trh dostupné a budú mať prijateľnú cenu pre všetkých, ktorí ich potrebujú.

Praktiky ako „ever-greening“ (získanie patentovej ochrany na už existujúce látky) a dohody s cieľom zabrániť vstupu generických produktov na trh alebo ho odložiť, ako aj „price-gouging“ (prudké zvyšovanie cien), v rámci ktorých niektoré firmy získavajú staré, zabudnuté lieky a premieňajú ich na drahé „nové“ lieky<sup>8</sup> – upozornili na zlyhania a medzery súčasného systému a posilnili hlasy, ktoré volajú po tom, aby farmaceutický priemysel prešiel od slov k činom a vystupoval ako zodpovedná zainteresovaná strana v zdravotnom systéme. Ceny liekov jednoducho nemôžu byť založené na stratégiách zameraných na maximalizovanie zisku bez toho, aby sa zabezpečila dostupnosť liekov pre všetkých, ktorí ich potrebujú.

Všetky členské štáty EÚ sa zaviazali dodržiavať ciele OSN v oblasti udržateľného rozvoja, ktoré zahŕňajú dosiahnutie univerzálneho zdravotného krytia vrátane ochrany pred finančnými rizikami, dostupnosti kvalitných základných služieb zdravotnej starostlivosti a dostupnosti bezpečných, účinných, kvalitných a cenovo prijateľných základných liekov a vakcín pre každého do roku 2030. Nerovnosti v prístupe sú v rozpore s týmito cieľmi, s Chartou základných práv a záväzku k princípu pohody v Zmluve o EÚ<sup>9</sup> a základnými európskymi hodnotami ako rovnosť, solidarita a kvalita zdravotnej starostlivosti.<sup>10</sup>

EPF sa preto domnieva, že je nevyhnutne potrebné reagovať na tento vývoj, identifikovať účinné a konkrétne riešenia na úrovni EÚ a zaistiť, aby mali všetci pacienti v celej Európe prístup k vysoko kvalitnej a cenovo prijateľnej liečbe.

## Súčasné cenové modely nie sú v prospech spravodlivého prístupu

V súčasnosti si mnohí ľudia myslia, že nové lieky sú príliš drahé a ohrozujú nielen rovnosť prístupu k nim, ale aj dlhodobú udržateľnosť európskych zdravotných a sociálnych systémov. Zdravotné systémy sú konfrontované s cieľmi, ktoré si navzájom odporujú – poskytovať spravodlivý prístup k inovačným liekom a zároveň predchádzať neprijateľnému zvyšovaniu nákladov. Bohužiaľ, príliš často sa to snažia vyvážiť tým, že viac nákladov na lieky prenášajú na pacientov – prostredníctvom obmedzovania úhrad alebo zvyšujúcej sa spoluúčasti na platbách – čo sú stratégie, ktoré okrem toho, že z hľadiska spravodlivosti nie sú prijateľné, sú zároveň kontraproduktívne, pretože zhoršujú zdravotné výsledky a zvyšujú spoločenské rozdiely. Podobne aj prídellové systémy, t. j. obmedzovanie prístupu len na určitý počet pacientov výlučne z ekonomických dôvodov, porušujú princípy solidarity a spravodlivosti. Existenčne to ohrozuje záujmy pacientov, ktorým je prístup odopretý napriek zdravotným potrebám.

Členské štáty v snahe znižovať ceny liekov využívajú **externé referenčné oceňovanie (ERP)**.<sup>i, 11</sup> Hoci tento prístup môže z krátkodobého hľadiska priniesť úspory a priestor na presun nákladov, má značné nevýhody, pokiaľ ide o dostupnosť pre pacientov, predovšetkým v chudobnejších členských štátoch – firmy totiž prispôbujú svoje trhové stratégie tak, aby produkty uvádzali na trh najskôr v štátoch, ktoré platia vysoké ceny, čím sa odkladá dostupnosť liekov pre pacientov v ostatných štátoch. Niekedy sa môže stať, že sa firma rozhodne nejaký produkt v istom počte štátov na trh vôbec nedodať, ak sa jej to z komerčného hľadiska neoplatí. ERP môže tiež viesť k cenovej konvergencii, ktorá môže znevýhodniť štáty s už aj tak nízkymi zdravotnými rozpočtami (a priemerným príjmom pacienta), ktoré budú platiť vyššiu cenu, než akú by platili, keby referenčné oceňovanie nepoužívali.<sup>12</sup>

**Diferenčné oceňovanie** ako alternatívnu stratégiu ponúkli tak farmaceutický priemysel, ako aj niektoré iné zainteresované strany.<sup>13</sup> Diferenčné oceňovanie je stratégia, v prípade ktorej sa cena určuje podľa rôznej ekonomickej situácie v jednotlivých štátoch. Doteraz sa o nej diskutovalo prevažne z hľadiska „cenovej diskriminácie“ – typ cenovej stratégie, ktorú si firmy osvojili s cieľom optimalizovať prístup na trh. Avšak diferenčné oceňovanie ako *politická stratégia* podporovaná spoluprácou členských štátov s cieľom zlepšiť spravodlivosť prístupu, je menej preskúmaná oblasť.

V poslednom čase sa pozornosť presunula smerom ku koncepcii **oceňovania podľa hodnoty**. Táto koncepcia je založená na predstave, že ceny liekov by mali byť spojené so zdravotným prínosom pre pacientov a spoločnosť.

<sup>i</sup> Známe aj ako „externé referenčné oceňovanie alebo medzinárodné porovnávanie cien/benchmarking je definované ako postup používania ceny/cien lieku v jednom alebo niekoľkých štátoch s cieľom odvodiť benchmark alebo referenčnú cenu na účely určenia alebo rokovania o cene lieku v danom štáte.“ Obvykle je obmedzené na konkrétne lieky, napríklad originálne lieky, lieky viazané na lekárske predpisy alebo nové lieky. (Štúdia zvýšenia medzištátnej koordinácie v oblasti oceňovania farmaceutických produktov. Záverečná správa, december 2015; strana xiv.)

Je súčasťou širších diskusií o potrebe merania zdravotných výsledkov, ktorá je vo všeobecnosti motivovaná snahou zlepšovať kvalitu starostlivosti a verejné zdravie, ako aj podporiť vyššiu transparentnosť a zodpovednosť zdravotných systémov. Okrem toho sa tiež navrhuje, že oceňovanie založené na cene by mohlo pomôcť vyvážiť krátkodobú cenovú efektívnosť a dlhodobé stimuly pre odvetvie, aby vyvíjali produkty s pridanou hodnotou. EPF prispieva k úvahám o zdravotných výsledkoch, spoločne s ostatnými zainteresovanými stranami.<sup>14</sup>

Podľa správy OECD za rok 2013 už mnohé štáty pri oceňovaní a úhradách používajú nejaký typ politiky „s pridanou hodnotou“, ale spôsob určovania hodnoty a cenovej efektívnosti a jednotlivé faktory používané pri hodnotení sú v jednotlivých štátoch OECD (a EÚ) veľmi odlišné. Neexistuje ani žiadna všeobecne akceptovaná definícia hodnoty.<sup>15</sup>

**EPF si myslí, že budúce prístupy k oceňovaniu a úhradám budú musieť byť prepojené s (pridanou) hodnotou liekov pre pacientov a zahŕňať určitú mieru diferenciácie medzi štátmi.**

Myslíme si, že konštruktívna diskusia na európskej úrovni musí pokračovať a zameriavať sa na politický konsenzus, pokiaľ ide o princípy, rozsah (napríklad konkrétne lieky pre výrazne neplnené potreby) a stratégiu riešenia praktických problémov. Táto diskusia si od členských štátov a odvetvia vyžaduje politickú vôľu a vodcovstvo, ako aj záväzok solidarity a etiky a musia sa jej zúčastňovať aj pacienti a (verejní) platcovia.

Jednou z veľkých prekážok diferenčného oceňovania je existencia **paralelného obchodovania**.<sup>ii</sup> Paralelné obchodovanie je založené na princípe voľného pohybu tovaru na vnútornom trhu, podieľa sa však na nedostatku liekov a môže viesť k obmedzenej dostupnosti. EPF sa domnieva, že členské štáty by mali povýšiť záujmy pacientov a verejné zdravie nad vnútorný trh a prijať opatrenia na obmedzenie negatívnych vplyvov paralelného obchodovania tam, kde to je potrebné. Členské štáty by sa mali dohodnúť na obmedzení externého referencovania v prípade tých liekov, pri ktorých by sa prijala diferenciálna stratégia, ako aj riešiť ďalšie možné praktické problémy.

## Transparentnosť cien: postupujte opatrne

Mnohí sa obávajú, že vnútroštátne rozhodnutia o oceňovaní a úhradách sú obmedzené nedostatočnou transparentnosťou cien liekov a nákladov na výskum a vývoj. Argument hovoriaci v prospech **transparentnosti cien liekov** je, že oceňovanie liekov by sa stalo realistickejšie a spravodlivejšie. V podstate hovoria o tom, že externé referenčné oceňovanie by fungovalo, keby členské štáty poznali skutočné ceny, ktoré platia ostatné členské štáty.

Záver Rady o inovácii v prospech pacientov (december 2014) volajú po väčšej spolupráci pri HTA, ako aj „efektívnejšej výmene informácií o cenách a výdavkoch na lieky vrátane inovačných liekov“. Projekt EURIPID, ktorý financuje EÚ, vytvoril cenovú databázu pre kompetentné orgány, ale doteraz obsahuje len katalógové, nie skutočné ceny.

<sup>ii</sup> Paralelné obchodovanie sa nazýva aj paralelný export. Dochádza k nemu, keď sa liek, ktorý bol pôvodne predaný pod patentovou ochranou, „predá v inom štáte bez kontroly alebo povolenia pôvodného držiteľa patentu... Z právneho hľadiska lieky ako také nepredstavujú výnimku z voľného pohybu tovaru na vnútornom trhu.“ Takto sa lieky zo štátov s nižšou cenou vyvážajú do štátov s vyššou cenou. (Štúdia o zvýšenej medzištátnej koordinácii v oblasti oceňovania farmaceutických produktov. Záverečná správa, december 2015; strana xvii)

Tieto sa dosahujú rokovania s firmami, ktoré sú tajné.

Niektoré zainteresované strany argumentujú tým, že medzi platcami a firmami by nemali existovať tajné dohody a skutočné ceny by sa mali zverejňovať, aby členské štáty mohli ceny znižovať. Farmaceutický priemysel zas argumentuje tým, že úplná transparentnosť by bola pre dostupnosť kontraproduktívna.<sup>16</sup> Názory členských štátov sa rôznia.<sup>17</sup>

V princípe veríme v postup smerom k maximálnej transparentnosti z dôvodov otvorenosti a zodpovednosti systému voči pacientom a občanom. Oceňovanie založené na hodnote a zavádzanie dohôd o rozdelení rizika v spojitosti s výkonom tiež naznačujú potrebu vyššej transparentnosti. Myslíme si však, že je potrebných viac poznatkov o možných neúmyselných alebo nežiaducich vplyvoch transparentnosti skutočných vyrokovaných cien na dostupnosť pre pacienta – napr. z hľadiska poškodzovania cenovej diferenciácie – v dlhodobom časovom horizonte.

Dostupnosť informácií o *procesoch a kritériách* prijímania rozhodnutí o oceňovaní a úhradách je tiež rôzna a niektoré štátne orgány nedodržiavajú *lehoty* 180 dní na prijatie rozhodnutia podľa smernice EÚ o transparentnosti.<sup>18</sup>

Z hľadiska pacientov vyvolávajú divergentné rozhodnutia, ktoré prijali orgány HTA v jednotlivých členských štátoch a niekedy aj v rámci toho istého členského štátu<sup>19</sup> o tých istých liekoch, zmätko a pacienti sa tak ocitajú v nerovnocennej situácii. Pacienti tiež nie vždy vedia, ktoré lieky sa hodnotia, aké kritériá sa používajú a kto je súčasťou procesu. Pacienti dosť často nevedia ani len to, ako sa procesu zúčastniť.

Angažovanosť pacientov je podľa nášho názoru životne dôležitá – tak z morálneho hľadiska, pretože rozhodnutia priamo ovplyvňujú ich životy a pohodu, ale aj z praktického hľadiska, nakoľko zmysluplná definícia „hodnoty“ a „pridanej terapeutickkej hodnoty“ je možná len za účasti pacientov.

## Určenie skutočnej hodnoty inovácie

Aktualizovaná správa *Prioritné lieky pre Európu a svet* (WHO, 2013), správy belgického predsedníctva EÚ o inovácii a solidarite (2010) a závery Rady o inovácii v prospech pacientov (2014) vyvolali otázky súvisiace s dostupnosťou a spochybnili charakter inovácie: čo to znamená „inovačný“, čo by sa malo vnímať ako „cenná“ inovácia a ako by mala byť cenná inovácia adekvátne podporovaná a odmeňovaná?

Podľa názoru EPF má slovo *inovačný* isté normatívne vedľajšie významy. Inovačný liek považujeme za nový liek, ktorý pacientom prináša pridanú hodnotu.<sup>20</sup> Nie všetko, čo je nové, možno považovať za inovačné v pozitívnom zmysle slova, hoci molekulová štruktúra alebo mechanizmus účinku lieku môžu byť nové. Záleží na tom, do akej miery daný liek prináša pacientom hmotný (pozitívny) rozdiel a aký je charakter daného prínosu.

Pojem *pridaná terapeutická hodnota* (ATV), ktorý stojí uprostred súčasných diskusií o oceňovaní liekov, sa týka terapeutickú výhodu, ktorú ponúka nový liek v porovnaní s už existujúcimi liekmi, no neexistuje žiadna všeobecne prijatá definícia tohto pojmu. V nedávnej štúdii Európskeho parlamentu bol definovaný ako „inkrementálna terapeutická hodnota, ktorú prináša nový liek alebo zákrok v porovnaní s tými najlepšimi dostupnými možnosťami liečby, ktoré sú už na trhu. Terapeutickú hodnotu možno definovať v zmysle pre pacienta relevantných koncových parametrov a relevantných úrovní efektívnosti, účinnosti a bezpečnosti.“<sup>21</sup>

O pridanej terapeutickú hodnote inováčných liekov sa vedú diskusie. Niektoré zdroje tvrdia, že väčšina nových liekov nijako výrazne neobohacuje existujúce možnosti liečby a niektoré môžu dokonca narobiť viac škody.<sup>22</sup> Myslíme si, že je v zásade neetické vynakladať obmedzené verejné zdroje na terapie, ktoré nemajú preukázateľnú pridanú hodnotu. Je však ťažké definitívne sa vyjadriť k hodnoteniam konkrétnych liekov, pokiaľ nie je jasné, ako zahrnujú pohľad pacienta na rovnováhu medzi prínosom a ujmom.

Po prvé, je dobre známe, že pacienti môžu mať v porovnaní so zdravotníckymi pracovníkmi veľmi rozdielny pohľad na terapeutický prínos, rôzne priority (tak v zmysle faktorov kvality života, ako aj uprednostňovaných klinických výsledkov) a rôzne úrovne akceptácie potenciálnych rizík.<sup>23</sup> Po druhé, mnohé produkty sa spájajú s vysokou mierou neistoty v čase rozhodnutia o registrácii – t. j. s dôkazmi naznačujúcimi hodnotu, ktorú produkt môže mať, ale s absenciou dostatočne komplexných údajov, ktoré budú tento odhad jednoznačne podporovať. Preto daný produkt nemôže „demonštrovať“ pridanú hodnotu v čase rozhodnutia o registrácii, no môžu je veľmi dobre preukázať po istom čase vďaka nepretržite získavaným údajom z reálneho sveta.

Dôležitosť **zahrnutia pohľadu pacienta do HTA** je čoraz viac uznávaná<sup>24</sup> a začlenenie pacientom hlásených a pre pacientov relevantných meradiel výsledkov (PROM) vrátane kvality života do HTA sa považuje za potrebné v záujme dosiahnutia presného hodnotenia pridanej hodnoty lieku. V praxi je však angažovanosť pacientov v HTA stále veľmi obmedzená a doteraz sa nedosiahla žiadna dohoda na najlepšej metóde zaangažovania pacientov.<sup>25</sup>

Podľa nášho názoru musí stáť hodnota inováčného lieku pre potreby pacienta vždy v centre HTA. Môže byť ťažké plne zachytiť skúsenosť pacienta vo formálnych (kvantitatívnych) meraniach, preto je potrebné začleniť aj kvalitatívne dôkazy. Keď budeme vychádzať z iniciatív ako Podskupina pacientov a občanov v rámci HTAi a existujúcich najlepších postupov orgánov pre HTA na celom svete, bude možné vyvinúť vhodné metodiky a štruktúry.

Prirodzene, pri posudzovaní hodnoty bude zohrávať rolu niekoľko faktorov vrátane hodnoty pre pacienta, hodnoty za peniaze (nákladovej efektívnosti) a vplyvu na rozpočet. Firma by nemala mať možnosť diktovať svoju cenu, a to ani v prípade liekov, ktoré nepredstavujú cennú inováciu, ak sa v dôsledku toho stane inováčný liek cenovo neprístupný a nebude k dispozícii.



## Prispôsobenie systému novej vedeckej a technologickej realite

Vedecký pokrok v oblasti genomiky a personalizovanej medicíny bude mať pravdepodobne významný vplyv na vývoj liekov, povolenia, oceňovanie a úhrady v dlhodobom časovom horizonte, keď sa bude veda posúvať smerom k cielenejším populáciám, presným/personalizovaným terapiám a prediktívnej medicíne. Personalizované alebo stratifikované lieky, kombinácie, hraničné produkty<sup>iii</sup> a vyspelé formy liečby si budú vyžadovať nové spôsoby hodnotenia. Budú potrebné aj nové spôsoby regulácie klinického používania, a aj v prípade, ak úvodné hodnotenie naznačí pozitívny pomer prínosu a rizika, je veľmi pravdepodobné, že v priebehu času bude potrebné získať dodatočné údaje.<sup>26</sup>

Európska komisia nedávno zriadila expertnú skupinu pre bezpečný a včasný prístup pacientov k liekom (STAMP)<sup>27</sup>, v rámci ktorej si odborníci z členských štátov vymieňajú informácie o skúsenostiach jednotlivých členských štátov, skúmajú národné iniciatívy a určujú spôsoby efektívnejšieho používania existujúcich regulačných nástrojov EÚ s cieľom zlepšovať dostupnosť liekov pre pacientov, a to v úzkej spolupráci s Európskou liekovou agentúrou.

Medzi nové koncepcie, ktoré sú predmetom skúmania, patria aj **adaptívne dráhy**.<sup>iv</sup> Tento komplexný prístup naznačuje potrebu výraznejšej spolupráce medzi farmaceutickým priemyslom, odvetvím medicínskej techniky a IT, regulačnými orgánmi, HTA, platcami, zdravotníckymi pracovníkmi a pacientmi. Projekt ADAPT-SMART financovaný v rámci Iniciatívy EÚ pre inovatívne lieky (IMI-JU) momentálne skúma vedecké, praktické, etické a právne aspekty adaptívnych dráh.<sup>28</sup>

Od najpočiatočnejších fáz medicínskeho výskumu a vývoja je potrebný nový postoj založený na spolupráci, ktorého súčasťou bude **skorý dialóg všetkých zainteresovaných strán** na úrovni EÚ, a to v nadväznosti na existujúce príklady, ako sú iniciatívy SEED a MOCA.<sup>29</sup> Mechanizmy zabezpečujúce vklad zo strany pacientov sa musia rozšíriť a posilniť aj na národnej úrovni. Pomôže to pri identifikácii predpokladaných prínosov a hodnoty, výsledkov pre pacientov. Skorý dialóg bude zároveň viesť k spoľahlivejšiemu základu pre oceňovanie založené na hodnote. Proces výskumu a vývoja bude vďaka tomu pre odvetvie predvídateľnejší a mohol by umožniť členským štátom a pacientom, aby zohrávali výraznejšiu riadiacu rolu vo vzťahu k prioritám výskumu a vývoja firiem, aby sa venovala primeraná pozornosť potrebám verejného zdravia.

<sup>iii</sup> Produkty, v prípade ktorých nie je jasné, či vyhovujú definícii lieku alebo patria do nejakej inej kategórie (napríklad zdravotné pomôcky alebo potravinové doplnky) na regulačné účely.

<sup>iv</sup> Koncepcia adaptívnych dráh vníma terapeutický výskum a vývoj, vydávanie licencií a hodnotenie ako jedno kontinuum v priebehu „životného cyklu“ lieku – včasný dialóg a vedecké poradenstvo počas procesu výskumu a vývoja; možné podmienené povolenie/adaptívne licencie; flexibilné modely oceňovania a úhrad; nepretržité monitorovanie zdravotných výsledkov a pravidelné prehodnocovania.

**Systematické získavanie dôkazov z reálneho sveta** je kľúčom k úspechu prístupov k oceňovaniu, ktoré sú založené na hodnote – musia byť zavedené rozsiahle systémy na účely získania údajov po uvedení na trh (o ADR, zmenách v pomere prínosu a rizika, zdravotných výsledkoch v rôznych skupinách pacientov). Musí byť zavedená potrebná infraštruktúra na systematické získavanie dôkazov z reálneho sveta, predovšetkým prostredníctvom dobre navrhnutých a navzájom spolupracujúcich registrov, aby sa zachytili úspešné i neúspešné výsledky liečby vrátane použitia mimo schválenej indikácie. Systém musí zabezpečiť, aby firmy dodržiavali svoje povinnosti v oblasti získavania údajov, pričom získané údaje musia byť následne rýchlo sprístupnené, aby regulačné orgány, odvetvie, zdravotnícki pracovníci a pacienti mohli prijať vhodné opatrenia.

V záujme riadenia rizík spojených s neistotou ohľadom hodnoty nových liekov v porovnaní s vysokými cenami používajú členské štáty čoraz viac celé spektrum nástrojov, ktoré sa súhrnne označujú ako **dohody o riadenom vstupe** (MEA). Ide o nástroje s dosť úzkym finančným zameraním, ako sú rabaty a zľavy spojené s dohodami o cenách a objemoch a systémy limitov až po prístupy viac orientované na výsledky, v prípade ktorých je firma povinná poskytnúť ďalšie údaje o pôsobení lieku v reálnom svete. Všetky majú spoločný cieľ, ktorým je uľahčenie prístupu k novým liekom v kontexte neistoty a vysokých cien.<sup>30</sup>

Z pohľadu pacienta sú čisto finančné merania problematické, pretože predstavujú v prvom rade záplaty, ktoré sú prejavom zlyhaní systému. Navyše majú krátkodobé zameranie a ich prínos je podľa všetkého závislý od utajenia rokovaní. Na druhej strane, MEA zamerané na získavanie dôkazov o výsledkoch liečby v rámci dlhšieho časového obdobia a spojenie oceňovania a úhrad s pridanou hodnotou sú zaujímavejšie, pretože sú zamerané na riadenie neistoty a zabezpečenie toho, aby z liečby profitovali tí správni pacienti.

## Spoločné rokovania o cenách – cesta vpred

V máji 2015 zverejnili EPF a EURORDIS spoločný list, v ktorom vyzvali orgány EÚ v oblasti oceňovania a úhrad, aby podporili rozšírenie foriem skorých rokovaní a vytvorili „harmonogram rokovaní o cenách“ so skupinou členských štátov, t. j. aby zaujali postoj k rokovaniu o cenách liekov s farmaceutickými firmami, ktorý bude založený na európskej spolupráci, a nie postoj, ktorý bude fragmentovaný.<sup>31</sup> Myslíme si, že by to viedlo k lepšej spolupráci medzi odvetvím a platcami a v konečnom dôsledku k lepšiemu prístupu k liekom a zlepšeným zdravotným výsledkom. Takýto harmonogram by najskôr mohla vytvoriť ústredná skupina „ochotných členských štátov“ a postupne by sa mohlo pridávať viac štátov.<sup>32</sup> O spoluprácu majú už teraz záujem niektoré členské štáty; Holandsko, Belgicko a Luxembursko sa nedávno dohodli, že začnú viesť spoločné rokovania o cenách niektorých liekov na zriedkavé choroby s cieľom rozšírenej výmeny informácií a spolupráce pri posudzovaní liekov,<sup>33</sup> do ktorých sa môžu zapojiť aj ďalšie členské štáty. Podobné rozhovory sa začali medzi Bulharskom a Rumunskom.<sup>34</sup>

Tento prístup je možný len vtedy, keď všetky strany prijímú skutočnosť, že diskusie o cenách budú založené na posudzovaní hodnoty – hlavne v prípade produktov v oblastiach s menšími

populáciami a vysokou neistotou – a budú spojené s generovaním dôkazov po uvedení liekov na trh. Ceny by sa mali časom stať flexibilné – malo by byť možné ich upravovanie smerom nahor i nadol.

## Širší uhol pohľadu

Výskum a vývoj vo farmaceutickej oblasti by sa mal zameriavať na nespĺnené potreby pacientov a verejného zdravia vrátane tých, ktoré sú uvedené v aktualizovanej správe WHO o prioritných liekoch z roku 2014. Myslíme si, že o investíciách do zdravia, cennej inovácii, ako aj spoločenských hodnotách a preferenciách či o tom, čo tvorí „spravodlivú“ návratnosť investície by sa mala viesť otvorenejšia debata, ktorá naznačí potrebu väčšej transparentnosti skutočných nákladov na výskum a vývoj liekov. Pacienti a verejnosť/občania zohrávajú v týchto debatách rôzne a navzájom sa dopĺňajúce úlohy – kým spoločenské hodnoty, priority a potreby verejného zdravia si vyžadujú širšiu diskusiu, pokiaľ ide o identifikovanie nespĺnených potrieb na úrovni jednotlivého pacienta alebo ochorenia, je nevyhnutné zaangažovať pacientov a ich organizácie.

Komerčné spoločnosti, ktorých priority sa riadia predovšetkým hodnotou pre akcionárov, sa v súčasnosti zameriavajú skôr na to, čo je z komerčného hľadiska atraktívnejšie než na potreby verejného zdravia ako také. Komerčne založený model však neposkytuje potrebnú inováciu vo vzťahu k mnohým kritickým zdravotným potrebám, predovšetkým v spojitosti ochoreniami súvisiacimi s chudobou a zanedbávanými tropickými chorobami, ako aj antibiotikami.<sup>35</sup> Potrebná je „korekcia“ priorít výskumu, napríklad prostredníctvom výraznejšie verejne financovaného výskumu (vrátane základného výskumu, komparatívneho výskumu existujúcich foriem liečby a ich kombinácií a prehodnotenia účelu). Táto investícia by sa mala plne odzrkadliť v cene finálneho lieku.

EPF sa domnieva, že existuje potreba vytvorenia pravých verejno-súkromných partnerstiev pri riešení nespĺnených potrieb, ktoré môžu podporiť inováciu.<sup>36</sup> Všeobecnejšie povedané, EPF víta nové iniciatívy, ktoré sa snažia nájsť alternatívne modely financovania farmaceutického výskumu a vývoja, ako sú napríklad súbory patentov a iné iniciatívy zamerané na prerušovanie väzieb, ktoré môžu byť obzvlášť relevantné, keď príde na riešenie globálnych zdravotných potrieb a rovnosti v oblasti zdravia.<sup>37</sup>

Medzi ďalšie otázky, ktoré je tiež potrebné riešiť s cieľom zlepšiť cenovú efektívnosť starostlivosti a výsledky pacientov a spoločnosti, patria: obmedzenie plytvania v zdravotných systémoch, boj s nadmernou liečbou a používaním nevhodných terapií alebo služieb, ako aj nedostatočná liečba, zlepšenie dodržiavania liečby zo strany pacientov,<sup>38</sup> boj proti korupcii, ktorá je v niektorých členských štátoch dôležitou prekážkou v dostupnosti, a potláčanie a prevencia neetických postupov niektorých firiem, ktoré by sa mali monitorovať a prísne sankcionovať.

Investície do zdravia sú v konečnom dôsledku politická voľba. Zabezpečenie univerzálneho prístupu k novým, inovačným liekom pre všetkých, ktorí ich potrebujú, je politická voľba. Naliehame na subjekty prijímajúce rozhodnutia, aby odmietli prístup založený na „hre

s nulovým súčtom“, v dôsledku ktorého sa zdravotné rozpočty považujú za fixné a nemenné, a prijali pozitívne opatrenia umožňujúce existenciu inkluzívnej spoločnosti, ktorá si cení zdravie a je pre ňu politickou prioritou

Sme presvedčení, že investícia do cennej inovácie bude mať za následok vznik účinného cyklu, v rámci ktorého lepšie zdravotné výsledky v konečnom dôsledku prispievajú k vyváženiu krátkodobého finančného vplyvu investície a prípadne dokonca z dlhodobého hľadiska vygenerujú vyššiu efektivitu a úspory v celom hospodárstve. Preto vyzývame európske subjekty prijímajúce rozhodnutia a zainteresované strany, aby bolo pre nich zdravie pacientov na prvom mieste a zabezpečili čo najširšie uplatňovanie hlavných princípov EPF vo vzťahu k hodnoteniu a oceňovaniu inovačných liekov. EPF a naši členovia budú aj naďalej zohrávať konštruktívnu rolu v snahe o dosiahnutie tohto cieľa.

# Hlavné princípy hodnoty a oceňovania

## Zdravie a prístup k inovačným liekom

1. Zdravie je základné právo, *ako aj* dôležitá investícia do pohody, hospodárskeho rozvoja a súdržnosti spoločnosti.
2. Lieky nie sú rovnaké ako ostatný spotrebiteľský tovar, pacienti nie sú len spotrebitelia a životy pacientov nemožno merať len v čisto ekonomickom svetle. Lieky sú nevyhnutné a verejné dobro a hlavný prvok zdravotnej politiky.
3. Farmaceutické spoločnosti by mali určovať ceny nových liekov zodpovedne, aby boli dostupné a cenovo prijateľné. Pri oceňovaní by sa malo okrem iného prihliadať aj na relatívnu platobnú kapacitu daného štátu, vplyv na rozpočet, rozsah verejného financovania, ktoré prispelo k vývoju lieku a potrebu zabezpečiť všeobecnú dostupnosť.

## Ústredné postavenie pacientov

4. Je potrebné jednotné vnímanie pojmov „inovácia“, „hodnota“ a „pridaná terapeutická hodnota“. Názory pacientov by mali pri tomto vnímaní zohrávať ústrednú rolu vrátane ich vnímania kvality života, klinických koncových parametrov relevantných pre pacienta a názorov pacientov na prínos a riziká.
5. Pacienti by sa pri oceňovaní liekov a posudzovaní hodnoty mali považovať za najdôležitejšiu zainteresovanú skupinu a ich vnímanie by malo byť pri každom posudzovaní kľúčové.
6. Mali by sa vytvoriť rámce, štruktúry a metodiky na zmysluplné začlenenie dôkazov od pacientov vo všetkých fázach – od úvodného dialógu po hodnotenie zdravotných technológií, hodnotenia relatívnej účinnosti a rozhodnutia o oceňovaní a úhradách prijatých na národnej úrovni.

## Hodnota, oceňovanie a úhrady

7. Na úrovni EÚ by sa mal prostredníctvom konzultácií vedených vládami za účasti všetkých zainteresovaných strán vrátane pacientov vytvoriť koherentný rámec „spravodlivého prístupu“ k inovačným liekom, ktorým sa dosiahne maximalizácia spoločenského prínosu a dostupnosti pre pacientov, pričom sa zároveň zabráni neprijateľnému vplyvu na rozpočty na zdravotnú starostlivosť. Takýto rámec by mal zahŕňať minimálne nasledujúce prvky:
  - užšia spolupráca členských štátov pri rokovaní o cenách a rozšírenie foriem včasného dialógu, ako sú MoCA a SEED;
  - prijatie spoločných princípov a mechanizmov podpory a odmeňovania inovácie s cieľom podnecovať k pokračujúcim investíciám do výskumu a vývoja;
  - skúmanie potenciálnych adaptívnych dráh, dohôd o riadenom vstupe a iných mechanizmov na optimalizáciu prístupu a určenie hodnoty;

- dôkladnejšie skúmanie diferenciálnych mechanizmov oceňovania, prekážok a potenciálnych riešení praktických otázok, ako je napríklad paralelné obchodovanie.
8. Orgány pre oceňovanie a úhrady by mali zabezpečiť transparentnosť svojich rozhodnutí, spôsobov ich prijímania, používaných kritérií a subjektov zaangažovaných do procesu. Informácie, ktoré budú ich rozhodnutia vysvetľovať, by mali byť k dispozícii a ľahko prístupné v zrozumiteľnom formáte, ktorý sa venuje konkrétnym otázkam pacientov a verejnosti.

### Viac než lieky

9. Pacienti majú väčšie potreby než len lieky – patria sem iné terapeutické možnosti, sociálne a komunitné služby a podpora zo strany seberočných. Mala by sa podporovať aj inovácia v tomto širšom zmysle, ktorá bude zahŕňať lepšie spôsoby vytvárania štruktúry a poskytovania integrovanej zdravotnej a sociálnej starostlivosti, vyššiu výkonnosť a efektívnosť, spoločenskú inováciu a vývoj a efektívne používanie nových technológií zameraných na používateľov.

## Poznámky a literatúra

<sup>1</sup> Communication from the Commission to the European Parliament, the Council, the European Economic and Social

Committee and the Committee of the Regions. "Solidarity in health: Reducing health inequalities in the EU". Brussels, 20.10.2009. COM(2009) 567 final.

<sup>2</sup> See EPF's position statements on health inequalities, available at our website: [www.eu-patient.eu/Initatives-Policy/Policy/Health-inequalities/](http://www.eu-patient.eu/Initatives-Policy/Policy/Health-inequalities/)

<sup>3</sup> European Parliament resolution of 8 March 2011 on reducing health inequalities in the EU (2010/2089(INI))

<sup>4</sup> Adapted from EPF position paper "Defining and Measuring Access to Healthcare: the Patients' Perspective," March 2016. Available at [www.eu-patient.eu/whatwedo/Policy/access-to-healthcare/](http://www.eu-patient.eu/whatwedo/Policy/access-to-healthcare/)

<sup>5</sup> OECD (2013) Health at a Glance 2013: OECD Indicators, OECD Publishing. [http://dx.doi.org/10.1787/health\\_glance-2013-en](http://dx.doi.org/10.1787/health_glance-2013-en); Eurofound (2014), Access to healthcare in times of crisis, Publications Office of the European Union, Luxembourg. [www.eurofound.europa.eu/sites/default/files/ef\\_publication/field\\_ef\\_document/ef1442en.pdf](http://www.eurofound.europa.eu/sites/default/files/ef_publication/field_ef_document/ef1442en.pdf)

<sup>6</sup> See e.g., IMS Institute (2015) "The Role of Generic Medicines in Sustaining Healthcare Systems: A European Perspective."

<sup>7</sup> "Shaping Europe's Vision for Personalised Medicine. Strategic Research and Innovation Agenda (SRIA)". Coordination & Support Action (CSA) PerMed, June 2015. Available at [www.permed2020.eu](http://www.permed2020.eu)

<sup>8</sup> "Drug Goes From \$13.50 a Tablet to \$750, Overnight" New York Times, 20 September 2015; "Big Price Increase for Tuberculosis Drug Is Rescinded", New York Times, 21 September 2015.

<sup>9</sup> Article 3, Treaty on European Union

<sup>10</sup> Council Conclusions on Common values and principles in European Union Health Systems (2006/C 146/01)

<sup>11</sup> For definitions and descriptions of different pricing models, please see "Study on enhanced cross-country coordination in the area of pharmaceutical product pricing", final report under contract number 2014 73 03 for the implementation of Framework Contract № EAHC/2013/Health/01 'Health economic reports – analysis and forecasting' (Lot 2), available at [http://ec.europa.eu/health/systems\\_performance\\_assessment/docs/pharmaproductpricing\\_frep\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/systems_performance_assessment/docs/pharmaproductpricing_frep_en.pdf)

<sup>12</sup> EC study on pharmaceutical pricing. See reference 11.

<sup>13</sup> "Improving Patient Access to Innovative Medicines the Framework in Which Differentiated Pricing May Offer a Solution", EFPIA 2014 position paper. Available at [www.efpia.eu/uploads/Modules/Documents/pac-280214-a16-a1-differentiated-pricing-position-paper-final.pdf](http://www.efpia.eu/uploads/Modules/Documents/pac-280214-a16-a1-differentiated-pricing-position-paper-final.pdf)

<sup>14</sup> "Enhancing Value in European Health Systems. The Role of Outcomes Measurement". Multi-stakeholder consensus document (2016). Available at [www.eu-patient.eu/globalassets/policy/patientssafety/value-of-health-consensus-document.pdf](http://www.eu-patient.eu/globalassets/policy/patientssafety/value-of-health-consensus-document.pdf)

<sup>15</sup> Paris V and Belloni A (2013) "Value in pharmaceutical pricing", OECD health working papers, No. 63, OECD Publishing, pp. 11-14.

<sup>16</sup> EFPIA position paper, principle 1. See reference 13.

<sup>17</sup> Member State representatives interviewed in Politico, "Health ministers talk drug prices, information sharing" (18.04.2016), "France wants EU to work together on drugs, but not too closely" (18.04.2016).

<sup>18</sup> EPF statement on the European Commission's proposal for a review of the Transparency Directive, November 2012.

<sup>19</sup> As an extreme example, in March 2016 in the UK, the Scottish HTA body rejected a treatment for advanced skin cancer because of uncertainty around the long-term benefits, considering it not a good use of NHS resources. Whereas in January of 2016, NICE (the HTA body in England) had approved the same treatment.



- <sup>20</sup> EPF's comments on the European Medicines Agency Strategic Framework 2020. Available at [www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about\\_us/general/general\\_content\\_000292.jsp&mid=WC0b01ac05800293a4](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_us/general/general_content_000292.jsp&mid=WC0b01ac05800293a4)
- <sup>21</sup> "Towards a Harmonised EU Assessment of The Added Therapeutic Value of Medicines". Study for the ENVI committee. Directorate General for Internal Policies, Policy Department A: Economic and Scientific Policy, 2015, pp. 14-15. Available at [www.europarl.europa.eu/RegData/etudes/STUD/2015/542219/IPOL\\_STU\(2015\)542219\\_EN.pdf](http://www.europarl.europa.eu/RegData/etudes/STUD/2015/542219/IPOL_STU(2015)542219_EN.pdf)
- <sup>22</sup> "Added Therapeutic Value: European citizens should get their money's worth". Joint position paper by WEMOS, EPHA, SOMA and ISDB. 2014. Available at [www.wemos.nl/files/Documenten%20Informatief/Bestanden%20voor%20'Medicijnen'/Position%20paper%20ATV%20Wemos%20SOMO%20EPHA%20ISDS.pdf](http://www.wemos.nl/files/Documenten%20Informatief/Bestanden%20voor%20'Medicijnen'/Position%20paper%20ATV%20Wemos%20SOMO%20EPHA%20ISDS.pdf)
- <sup>23</sup> See for example: "New Medicines for Serious Conditions: How patients would weigh the risks and benefits," Report of Findings from Phase 1 and 2. Genetic Alliance UK in partnership with the Welsh Institute for Health and Social Care, University of South Wales. April 2014. Available at [www.geneticalliance.org.uk/docs/risks-and-benefits-2-report.pdf](http://www.geneticalliance.org.uk/docs/risks-and-benefits-2-report.pdf)
- <sup>24</sup> EU HTA Network: "Strategy for EU Cooperation on Health Technology Assessment", 2014, p. 8. Available at [http://ec.europa.eu/health/technology\\_assessment/docs/2014\\_strategy\\_eucooperation\\_hta\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/technology_assessment/docs/2014_strategy_eucooperation_hta_en.pdf)
- <sup>25</sup> EPF survey: "Patient Involvement in Health Technology Assessment in Europe," 2013. Available at [www.eu-patient.eu/whatwedo/Initiatives/](http://www.eu-patient.eu/whatwedo/Initiatives/)
- <sup>26</sup> Project ADAPT-SMART: <http://adaptsmart.eu/early-access-is-it-worth-it-2/>
- <sup>27</sup> [http://ec.europa.eu/health/documents/pharmaceutical-committee/stamp/index\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/documents/pharmaceutical-committee/stamp/index_en.htm)
- <sup>28</sup> <http://adaptsmart.eu/>
- <sup>29</sup> Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products ([MoCA](#)); Scientific European Early Dialogue ([SEED](#))
- <sup>30</sup> For an overview of MEAs, see Ferrario, A and Kanavos, P (2013) "Managed entry agreements for pharmaceuticals: the European experience." EMINet, Brussels, Belgium. Available at [http://eprints.lse.ac.uk/50513/1/Libfile\\_repository\\_Content\\_Ferrario%2C%20A\\_Ferrario\\_Managed\\_%20entry\\_%20agreements\\_2013\\_Ferrario\\_Managed\\_%20entry\\_%20agreements\\_2013.pdf](http://eprints.lse.ac.uk/50513/1/Libfile_repository_Content_Ferrario%2C%20A_Ferrario_Managed_%20entry_%20agreements_2013_Ferrario_Managed_%20entry_%20agreements_2013.pdf)
- <sup>31</sup> [www.eu-patient.eu/globalassets/alliance-building/eurordis-epf-letter\\_call-on-payers\\_may2015.pdf](http://www.eu-patient.eu/globalassets/alliance-building/eurordis-epf-letter_call-on-payers_may2015.pdf)
- <sup>32</sup> EPF-EURORDIS joint letter of 18 May 2016. Available at [www.eu-patient.eu/whatwedo/Policy/Pricing--Reimbursement/](http://www.eu-patient.eu/whatwedo/Policy/Pricing--Reimbursement/)
- <sup>33</sup> [www.deblock.belgium.be/fr/grand-duchy-luxemburg-joins-belgium-netherlands-initiative-orphan-drugs](http://www.deblock.belgium.be/fr/grand-duchy-luxemburg-joins-belgium-netherlands-initiative-orphan-drugs)
- <sup>34</sup> <http://www.eiu.com/industry/article/723225456/teaming-up-for-pharma-bargains/2015-06-04>
- <sup>35</sup> Kaplan W et al., (2013) Priority Medicines for Europe and the World. 2013 update. World Health Organisation, Chapter 6.
- <sup>36</sup> Ibid., Chapter 8.1.
- <sup>37</sup> For example the United Nations High – Level Panel on Access to Medicines. [www.unsgaccessmeds.org](http://www.unsgaccessmeds.org)
- <sup>38</sup> For a patient perspective on adherence, see "Adherence and Concordance. EPF position paper" (2015) available at [www.eu-patient.eu/globalassets/policy/adherence-compliance-concordance/adherence-paper-final-rev\\_external.pdf](http://www.eu-patient.eu/globalassets/policy/adherence-compliance-concordance/adherence-paper-final-rev_external.pdf)

