



## Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji



Fundusze Europejskie  
Wiedza Edukacja Rozwój



Rzeczpospolita  
Polska

Unia Europejska  
Europejski Fundusz Społeczny



# **Analiza instrumentów dzielenia ryzyka proponowanych we wnioskach refundacyjnych dla leków stosowanych w chorobach onkologicznych w ramach programów lekowych, przekazanych do AOTMiT w latach 2012-2018.**

**Autorzy:** Tymoteusz Iwańczuk<sup>1</sup>, Iwona Tomaszewska<sup>1</sup>, Aleksandra Wyszowska<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Dział Programów Lekowych, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Warszawa, sierpień 2019 r.

## ABSTRAKT

**Cel:** W ramach niniejszej publikacji przeprowadzono analizę umów podziału ryzyka załączonych do wniosków refundacyjnych i przesłanych przez Ministerstwo Zdrowia do AOTM/AOTMiT w okresie 2012-2018. **Metodyka:** Analizie poddano wnioski refundacyjne obejmujące produkty lecznicze wnioskowane do finansowania w ramach programów lekowych we wskazaniach onkologicznych. Umowy podziału ryzyka podzielono zgodnie z klasyfikacją przedstawioną w Ustawie o Refundacji. **Wyniki:** W latach 2012-2018 oceniano łącznie 315 wniosków dotyczących oceny produktów leczniczych stosowanych w programach lekowych, z czego 115 analiz (36,5%) stanowiły leki we wskazaniach onkologicznych. Wykazano, że najczęściej proponowanymi rodzajami RSS były rabat cenowy (43%) oraz „pay-back” (25%). Najrzadziej samodzielnie proponowanym instrumentem były RSS oparte o efekty zdrowotne (1%) i „price volume” (1%). Znaczny udział wynoszący 30%, miał też RSS w postaci innych warunków, niesklasyfikowanych do pierwszych czterech kategorii. **Wnioski:** Najczęściej proponowanymi były RSS łatwe do zaimplementowania i rozliczenia. Wdrożenie odpowiedniego systemu monitorowania wyników leczenia umożliwiłoby stosowanie na większą skalę umów opartych o efekt.

Słowa kluczowe: *program lekowy, onkologia, instrument podziału ryzyka, RSS, umowa podziału ryzyka*

## ABSTRACT

**Objective:** To analyze and classify the risk sharing schemes proposed in the reimbursement applications forwarded by the Ministry of Health to AOTM/AOTMiT from 2012 to 2018. **Methods:** Reimbursement applications for medicines to be financed within oncological drug programmes were analyzed. Risk sharing agreements were classified according to the Polish Act on the Reimbursement. **Results:** During the studied period, 315 reimbursement applications for drug programmes were received, of which 115 (36,5%) were concerning drugs to be used in oncological indications. The most common category of the proposed RSSs was discounts (43%) followed by “pay-back” (25%). The least frequently proposed instrument was RSS based on health effects (1%) and “price volume” (1%). Other, unclassified RSSs constituted 30% of all. **Conclusions:** The most frequently proposed RSSs were easy to implement and manage. The implementation of an appropriate monitoring system of treatment effects would allow usage of outcome-based agreements on a larger scale.

Key words: *drug programme, oncology, risk sharing scheme, RSS, risk sharing agreement*

## 1. Cel pracy i wprowadzenie

Celem niniejszej analizy była ocena ilościowa i jakościowa propozycji instrumentów podziału ryzyka (RSS, ang. risk sharing scheme) załączonych do wniosków refundacyjnych kierowanych do Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM)/Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) obejmujących leki stosowane w chorobach onkologicznych w ramach programów lekowych w latach 2012-2018.

### 1.1. Wprowadzenie

Rosnące koszty opieki zdrowotnej to problem, który napotyka w ostatnich latach większość krajów Unii Europejskiej. Obserwowany wzrost kosztów związany jest m.in. ze znacznymi wydatkami ponoszonymi na terapie przeciwnowotworowe, które zwykle są wyższe niż średnie koszty leków (1). Wiele krajów finansuje leki przeciwnowotworowe poprzez publiczne programy refundacyjne. Takie finansowanie zapewnia obywatelom równy dostęp do leczenia, eliminując bezpośrednie koszty dla pacjentów (1). W związku ze wspomnianym wzrostem kosztów konieczne było opracowanie nowych narzędzi ustalania cen leków tak, aby publiczny płatnik mógł, przy ograniczonym budżecie, zapewnić pacjentom dostęp do innowacyjnych leków (2). Analiza danych przeprowadzona przez Ministerstwa Zdrowia (MZ) za lata 2004-2009 wykazała istotny wzrost wydatków na refundację apteczną (od 6 118 389 PLN w 2004 r. do 8 213 409 PLN w 2009 r.) i wzrost kosztów programów terapeutycznych i chemioterapii (od 227 663 PLN w 2004 r. do 1 013 223 PLN w 2009 r.) (3). Obserwowany wzrost wydatków na refundację wynikał z coraz większej ilości przedkładanych wniosków refundacyjnych, a w konsekwencji także z wprowadzania na wykazy leków refundowanych coraz bardziej kosztochłonnych programów terapeutycznych. Potrzeba racjonalizacji wydatków na refundację i zapewnienie stabilności finansowej systemu przy coraz większym zapotrzebowaniu społecznym na dostęp do nowoczesnych terapii, było przyczyną wprowadzenia przez Ministerstwo Zdrowia nowych elementów do systemu prawnego (3, 4):

- negocjacji i instrumentów podziału ryzyka,
- stałych cen i marż,
- całkowitego budżetu na refundację.

Wyżej wymienione narzędzia, w tym instrumenty dzielenia ryzyka, zostały po raz pierwszy zaimplementowane do polskiego systemu prawnego Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (zwana dalej: Ustawą o Refundacji) (5). Ustawa o Refundacji wymienia następujące rodzaje/kategorie umów podziału ryzyka (art. 11 ust. 5 pkt 1-5):

*„5. Instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w ust. 2 pkt 7, mogą dotyczyć:*

- 1) uzależnienia wielkości przychodu wnioskodawcy od uzyskiwanych efektów zdrowotnych;*
- 2) uzależnienia wysokości urzędowej ceny zbytu od zapewnienia przez wnioskodawcę dostaw po obniżonej ustalonej w negocjacjach cenie leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobu medycznego;*
- 3) uzależnienia wysokości urzędowej ceny zbytu od wielkości obrotu lekiem, środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobem medycznym;*
- 4) uzależnienia wysokości urzędowej ceny zbytu od zwrotu części uzyskanej refundacji podmiotowi zobowiązanemu do finansowania świadczeń ze środków publicznych;*
- 5) ustalenia innych warunków refundacji mających wpływ na zwiększenie dostępności do świadczeń gwarantowanych lub obniżenie kosztów tych świadczeń.”*

Wprowadzanie RSS pozwala na ograniczenie wydatków płatnika publicznego, a jednocześnie umożliwia zachowanie ceny urzędowej na poziomie wyższym, odpowiadającym cenom w innych krajach Unii Europejskiej. Zgodnie z uzasadnieniem do Ustawy o Refundacji „(...) producenci leków, w tym w szczególności leków innowacyjnych prowadzą globalną politykę cenową. Zapewnienie dostępu polskich pacjentów do nowych technologii lekowych jest możliwe jedynie poprzez uzgadnianie preferencyjnych warunków cenowych dla Polski, odbiegających niejednokrotnie w sposób istotny od cen w pozostałych państwach Unii Europejskiej” (4). W związku z tym ustalenie dodatkowych warunków, mających na celu obniżenie ceny leku, stało się niezbędne dla osiągnięcia akceptowalnych dla płatnika kosztów leczenia.

Ustawa o Refundacji wprowadziła możliwość zawierania umów podziału ryzyka pomiędzy Ministrem Zdrowia a podmiotem odpowiedzialnym (wnioskodawcą). Wymienione w Ustawie o Refundacji instrumenty dzielenia ryzyka są katalogiem otwartym, co oznacza dowolność w kształtowaniu propozycji dzielenia ryzyka, w tym m.in. umożliwia połączenie kilku rodzajów instrumentów w ramach jednej umowy oraz dostosowanie umowy do wnioskowanych warunków refundacji.

Wprowadzenie instrumentów dzielenia ryzyka pozwoliło między innymi na (3):

- zwiększenie liczby refundowanych produktów leczniczych w ramach istniejących środków;
- ograniczenie wydatków płatnika publicznego na nowe rejestrowane technologie lekowe;
- ograniczenie ryzyka podjęcia błędnej decyzji/konieczność ograniczenia niepewności odnośnie efektywności praktycznej;
- zabezpieczenie budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia przed nadmiernymi/niekontrolowanymi wydatkami.

Z uwagi na poufność umów dotyczących podziału ryzyka, nie istnieją dostępne publiczne dane bądź zestawienia obrazujące skalę stosowania wszystkich umów podziału ryzyka w Polsce.

Należy mieć na uwadze, iż liczba i rodzaj analizowanych w niniejszej publikacji instrumentów dzielenia ryzyka odnoszą się do wnioskowanych warunków refundacji, a więc mogą nie odzwierciedlać ostatecznie zawartych umów pomiędzy podmiotem odpowiedzialnym a MZ.

## 2. Metodyka

W ramach niniejszej publikacji przeprowadzono analizę ilościową i jakościową umów podziału ryzyka załączonych do wniosków refundacyjnych i przesłanych przez Ministerstwo Zdrowia do AOTM/AOTMiT w latach 2012-2018. Spośród wszystkich przesłanych wniosków refundacyjnych wybrano te, które dotyczą produktów leczniczych, wnioskowanych do finansowania w ramach programów lekowych we wskazaniach onkologicznych. Rozpoznanie onkologiczne ustalano w oparciu o Międzynarodową Statystyczną Klasyfikację Chorób i Problemów Zdrowotnych ICD-10 (ang. International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems) włączając rozpoznania oznaczone literą C00-D48. Wnioski refundacyjne obejmujące leczenie wspomagające w przebiegu choroby nowotworowej były odrzucane (np.: produkt leczniczy stosowany dla zwiększenia mobilizacji macierzystych komórek krwiotwórczych do krwi obwodowej w celu ich pobrania, a następnie autologicznego przeszczepienia tym pacjentom z chłoniakiem lub szpiczakiem mnogim, u których mobilizacja tych komórek innymi metodami jest niewystarczająca, ICD-10: C81-85, C90).

Umowy podziału ryzyka, załączone do wybranych zgodnie z wyznaczonymi kryteriami wniosków refundacyjnych, podzielono zgodnie z klasyfikacją przedstawioną w Ustawie o Refundacji.

Wymienione w Ustawie o Refundacji instrumenty podziału ryzyka można scharakteryzować w następujący sposób:

1. „płacenie za efekt” – umowa warunkująca wielkość refundacji danego leku zależnie od uzyskiwanych korzyści zdrowotnych;
2. „price volume” – umowa, w której dochodzi do określenia ilości opakowań leku lub wielkości populacji, dla której lek będzie sprzedawany po uzgodnionej cenie oraz ustalenie warunków, na jakich lek będzie sprzedawany po przekroczeniu ustalonego limitu;
3. „rabat cenowy” – umowa regulująca wielkość rabatu na lek;
4. „pay-back” – umowa zobowiązująca producenta leku do zwrotu części lub całości kwoty po przekroczeniu określonego budżetu przez płatnika;
5. „inne/inne warunki” – ustalenie innych warunków refundacji mających wpływ na zwiększenie dostępności do świadczeń gwarantowanych lub obniżenie kosztów tych świadczeń.

Do kategorii „inne” włączano umowy podziału ryzyka składające się:

- z dwóch lub więcej kategorii (np.: 1. Proponowany instrument podziału ryzyka zakłada, że wnioskodawca zapewni dostawy po cenie 200 PLN brutto („rabat”), a dodatkowo zapewni pokrycie kosztu wszystkich niezbędnych urządzeń potrzebnych do podania leku („inne”); 2. Wnioskodawca zobowiązał się do zapewnienia, iż świadczeniodawca nabeędzie lek po cenie nie wyższej niż 150 PLN („rabat”), a dodatkowo wnioskodawca zobowiązuje się dokonywać zwrotu do NFZ kwoty będącej iloczynem 15 PLN i liczby opakowań leku zrefundowanych przez NFZ („pay-back”)) lub
- gdy propozycji umowy podziału ryzyka nie można było przyporządkować do którejś z pierwszych czterech kategorii (np.: wnioskodawca zobowiązuje się do zapewnienia świadczeniodawcom realizującym program bezpłatny dostęp do testów diagnostycznych umożliwiających potwierdzenie określonej mutacji).

W analizie wyszczególniono także sytuację kiedy wniosek refundacyjny nie zawierał umowy podziału ryzyka („brak RSS”).

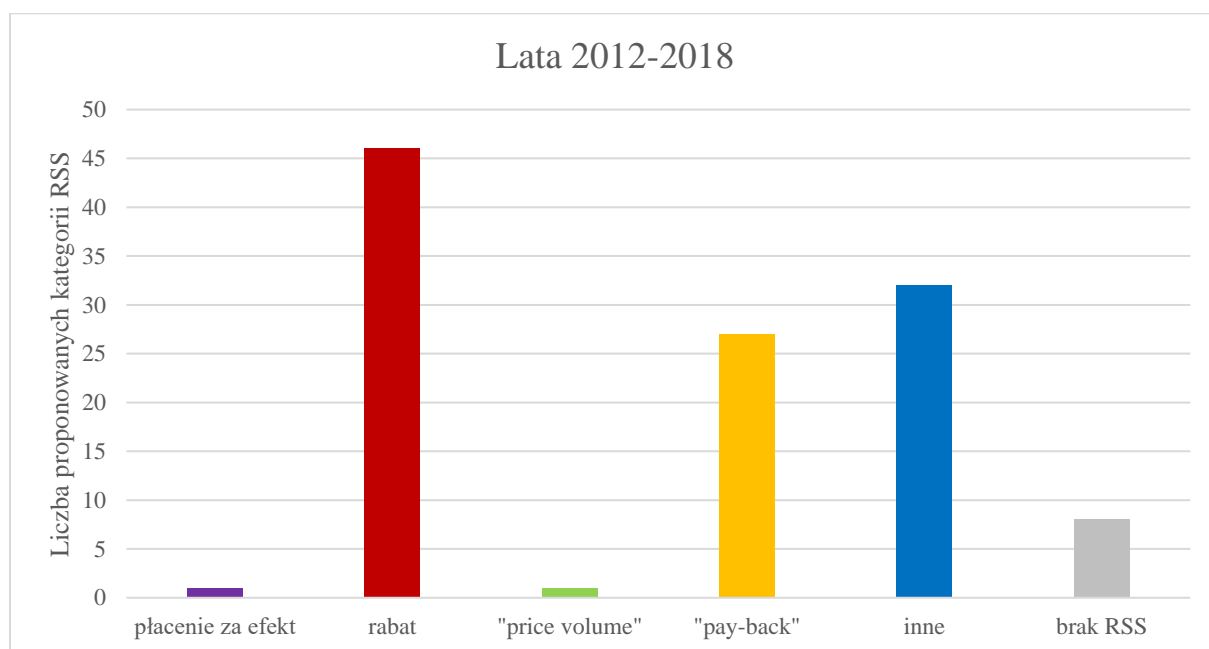
Wyniki analizy przedstawiono w podziale na poszczególne lata 2012-2018, w celu zobrazowania trendów w proponowanych przez wnioskodawców umowach podziału ryzyka. Dane zaprezentowano w postaci grafów wraz

ze statystyką opisową, na którą składały się bezwzględne wartości liczbowe oraz wartości procentowe określające udział poszczególnych kategorii RSS wśród wszystkich wnioskowanych umów w danym roku. Dane zostały zebrane w maju 2019 r.

### 3. Wyniki

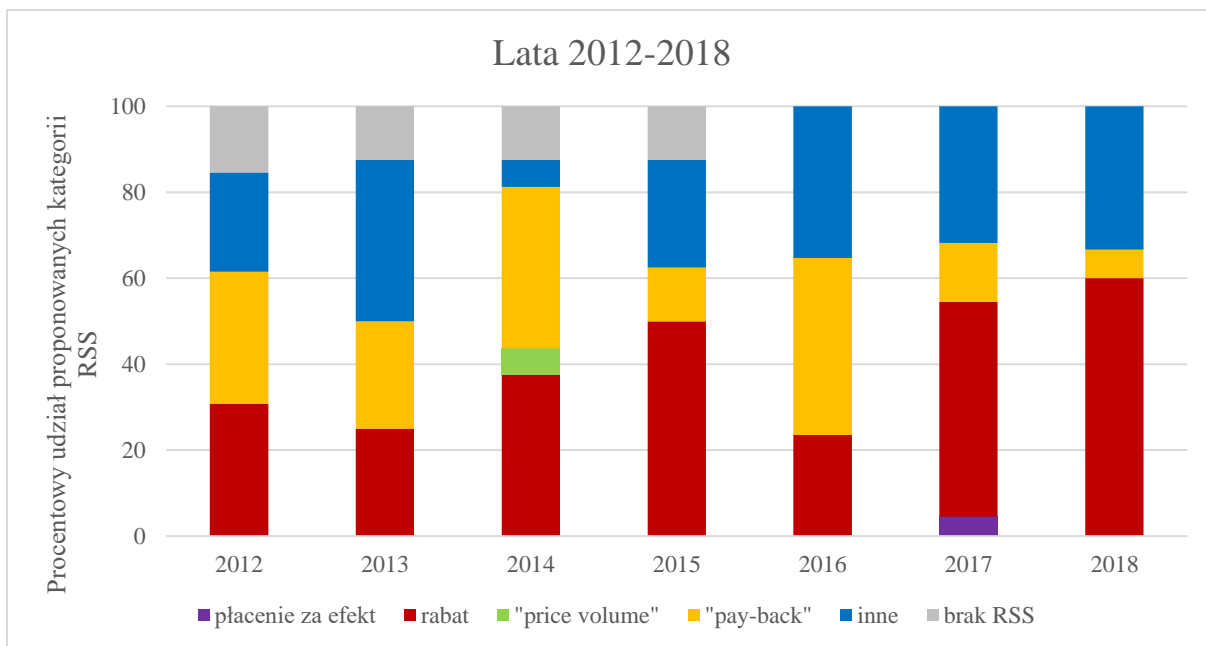
W latach 2012-2018 w ramach realizacji statutowych zadań AOTM/AOTMiT analizowano łącznie 315 wniosków dotyczących oceny produktów leczniczych stosowanych w programach lekowych, z czego 115 analiz (36,5%) stanowiły leki we wskazaniach onkologicznych. Liczba wniosków wynosiła od 13 (w 2012 r.) do 22 (w 2017 r.) rocznie. Wśród 115 wniosków dla leków przeciwnowotworowych stosowanych w programach lekowych, w przypadku 107 zaproponowano instrumenty podziału ryzyka, a tylko w przypadku 8 (7%) nie przedstawiono propozycji RSS. Brak propozycji RSS dotyczył wniosków z lat 2012-2015. Od 2016 roku wszystkie wnioski dla leków przeciwnowotworowych stosowanych w programach lekowych, które wpłynęły do AOTMiT zawierały propozycję podziału ryzyka.

Do najczęściej analizowanych propozycji RSS w latach 2012-2018 należał „rabat” (n=46, 43%). Najrzadziej proponowanym RSS było „płacenie za efekt” oraz „price-volume” – każdy z nich stanowił jedynie 1% wszystkich wnioskowanych RSS (n=1 w obu kategoriach). Ponadto, propozycje RSS kwalifikowane jako „inne” stanowiły 30% (n=32), a „pay-back” 25% (n=27). Na rys. 1 przedstawiono skumulowaną liczbę poszczególnych kategorii RSS w analizowanych latach. Rys. 2 pokazuje zestawienie udziałów każdej z kategorii RSS dla analizowanych lat.



Rysunek 1. Skumulowana liczba kategorii RSS proponowanych w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w latach 2012-2018.

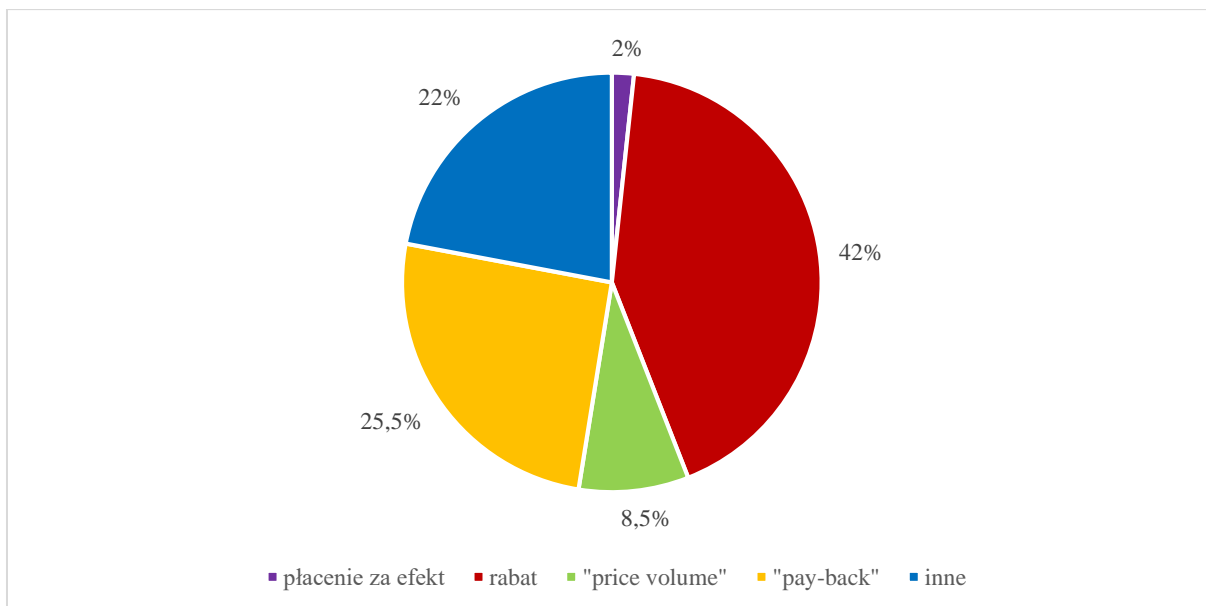
Źródło: opracowanie własne



Rysunek 2. Kategorie RSS proponowane w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w poszczególnych latach 2012-2018.

Źródło: opracowanie własne

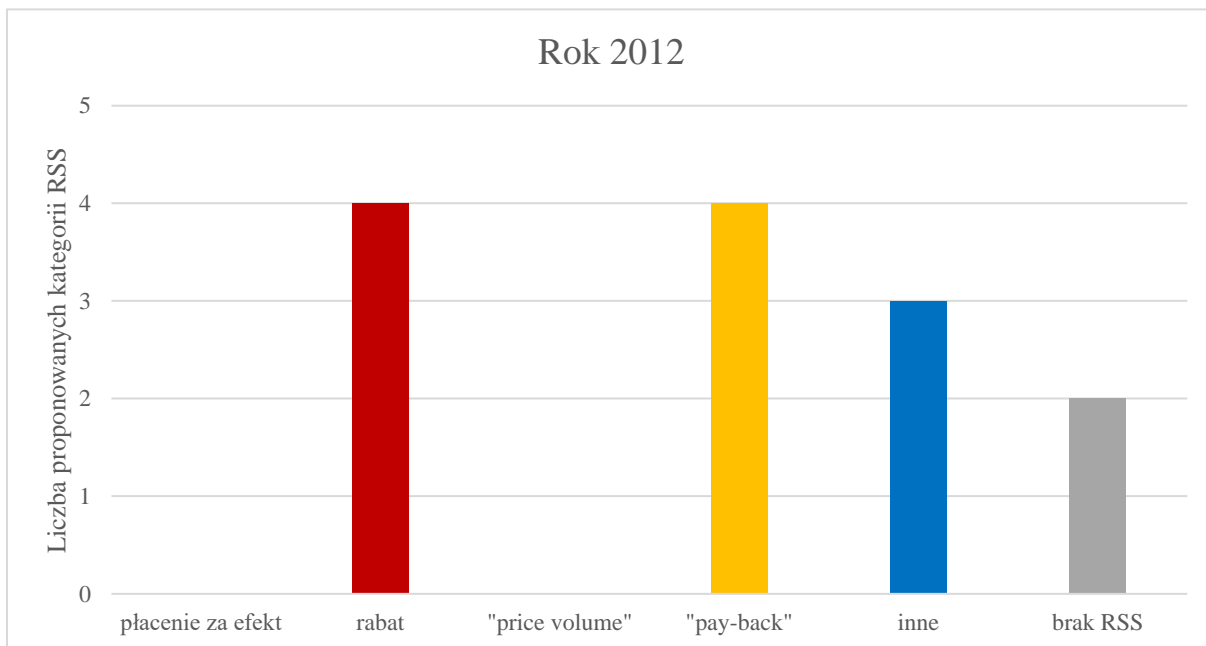
Na kategorię „inne” składały się głównie: „rabat” (n=25, 42%), „pay-back” (n=15, 25,5%) oraz inne niekwalifikujące się do poszczególnych kategorii (n=13, 22%). Do pozostałych składowych kategorii „inne” należały: „price-volume” (n=5, 8,5%) i „płatność za efekt” (n=1, 2%).



Rysunek 3. Składowe kategorii „inne” w latach 2012-2018.

Źródło: opracowanie własne

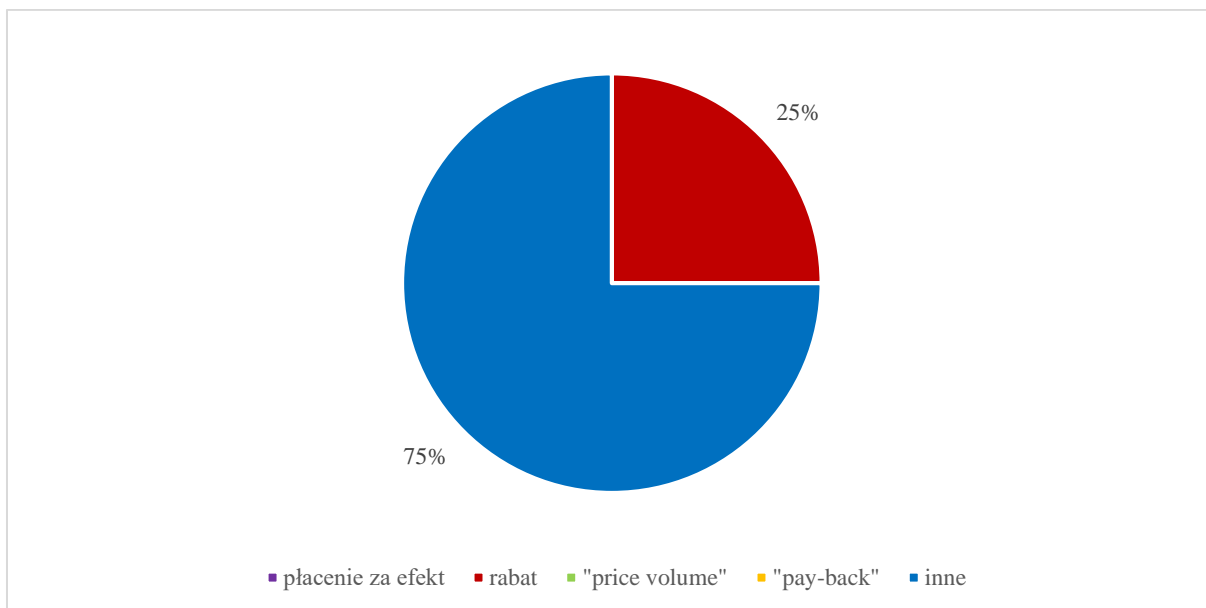
W 2012 roku przedłożono 13 wniosków dla programów lekowych w chorobach onkologicznych. Spośród nich, otrzymano 11 propozycji RSS (85%). W roku tym najczęściej proponowanymi instrumentami RSS były „rabat”, „pay-back” (n=4, 36% w obu kategoriach), a także „inne” (n=3, 27%). Nie zidentyfikowano wniosków z RSS w postaci „płacenia za efekt” oraz „price volume”.



**Rysunek 4. Liczba poszczególnych kategorii RSS proponowanych w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w 2012 r.**

**Źródło: opracowanie własne**

Na kategorię dotyczącą innych warunków składały się różne kombinacje poszczególnych instrumentów podziału ryzyka. W ramach kategorii „inne” uwzględniano propozycje RSS niesklasyfikowane do głównych kategorii (n=3, 75%) oraz „rabat” (n=1, 25%). W jednym przypadku zaproponowano RSS złożony z dwóch części: „rabatu” oraz innych warunków. Pozostałe przypadki stanowiły wyłącznie propozycje niesklasyfikowane do pozostałych kategorii.

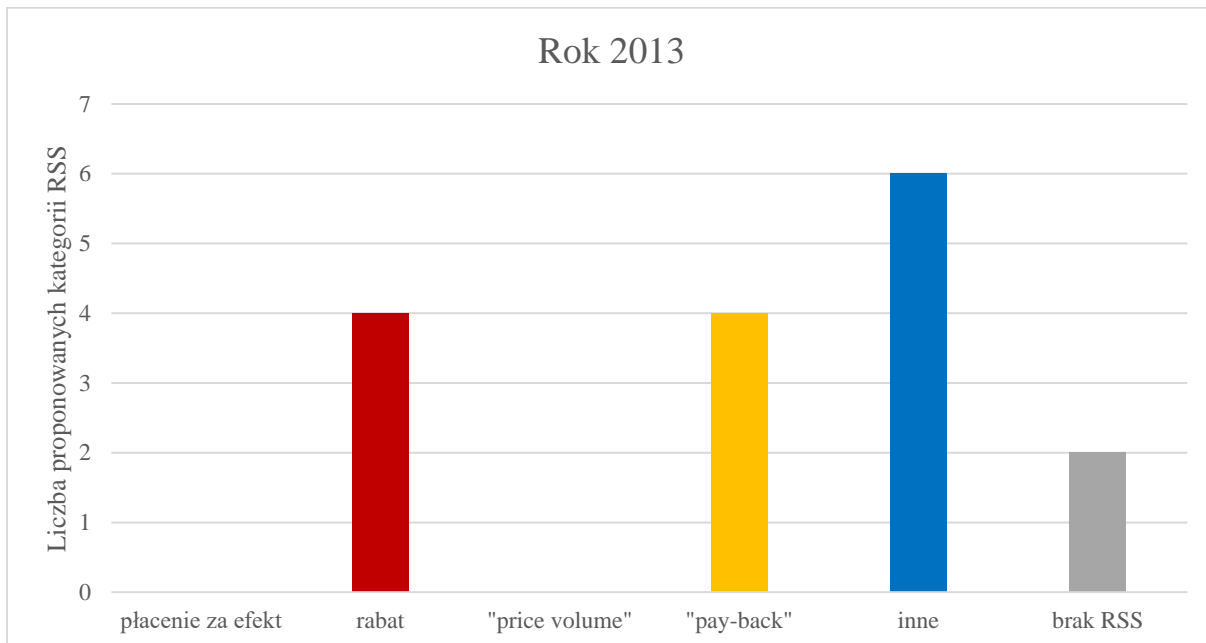


**Rysunek 5. Składowe kategorii „inne” w 2012 r.**

**Źródło: opracowanie własne**



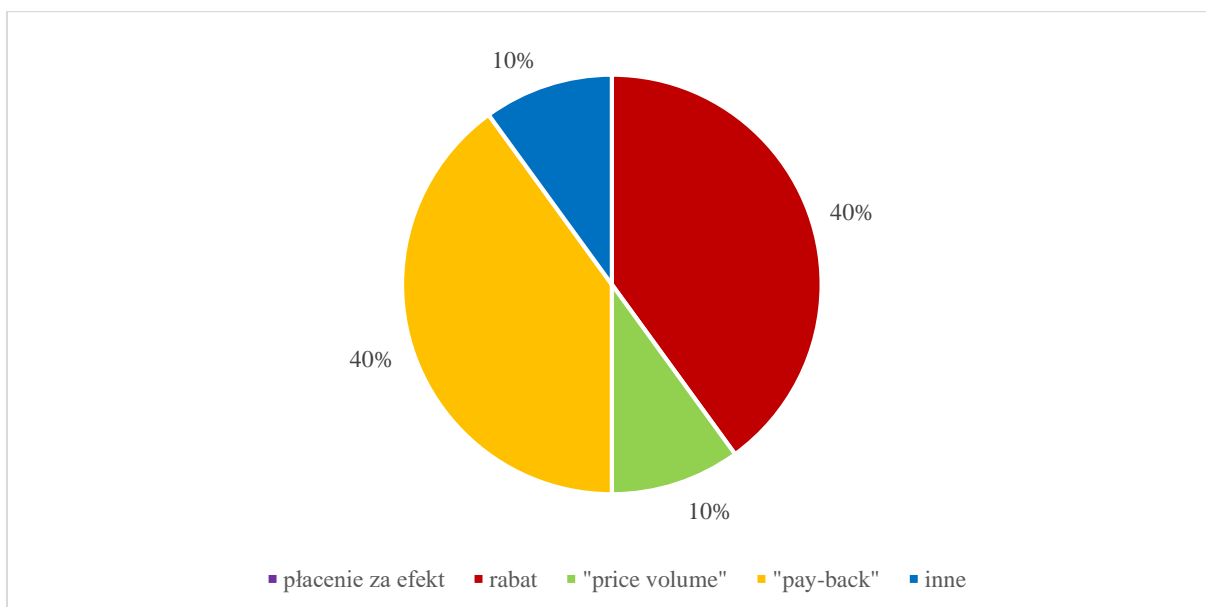
W 2013 roku analizowano 16 wniosków dla leków onkologicznych w programie lekowym, z czego większość (n=14, 88%) zawierała propozycję RSS. W analizowanym roku na wnioskowane RSS składały się przeważnie: „inne” (n=6, 43%), „rabat” (n=4, 29%) oraz „pay-back” (n=4, 29%). Podobnie jak w roku ubiegłym, żadna z propozycji RSS nie odnosiła się do „płacenia za efekt” oraz „price volume”.



Rysunek 6. Liczba poszczególnych kategorii RSS proponowanych w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w 2013 r.

Źródło: opracowanie własne

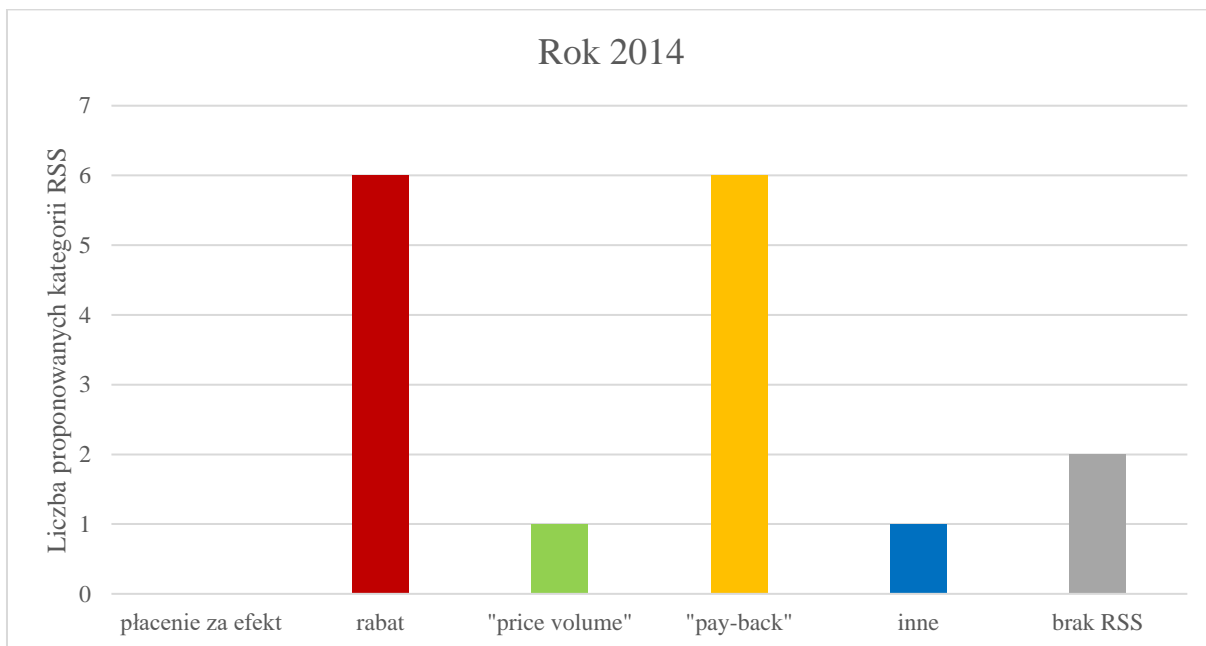
Na kategorię dotyczącą innych warunków składały się różne kombinacje poszczególnych instrumentów podziału ryzyka. Składowymi kategorii „inne” były: „rabat” (n=4, 40%), „pay-back” (n=4, 40%), „price volume” (n=1, 10%) oraz inne warunki (n=1, 10%). W ramach tej kategorii najczęściej proponowano RSS będący połączeniem „rabatu” oraz „pay-back” (wystąpił w trzech na pięć propozycji). W pozostałych przypadkach zastosowano kombinację „price volume” z „pay-back” oraz „rabatu” z innymi niesklasyfikowanymi warunkami.



Rysunek 7. Składowe kategorii „inne” w 2013 r.

Źródło: opracowanie własne

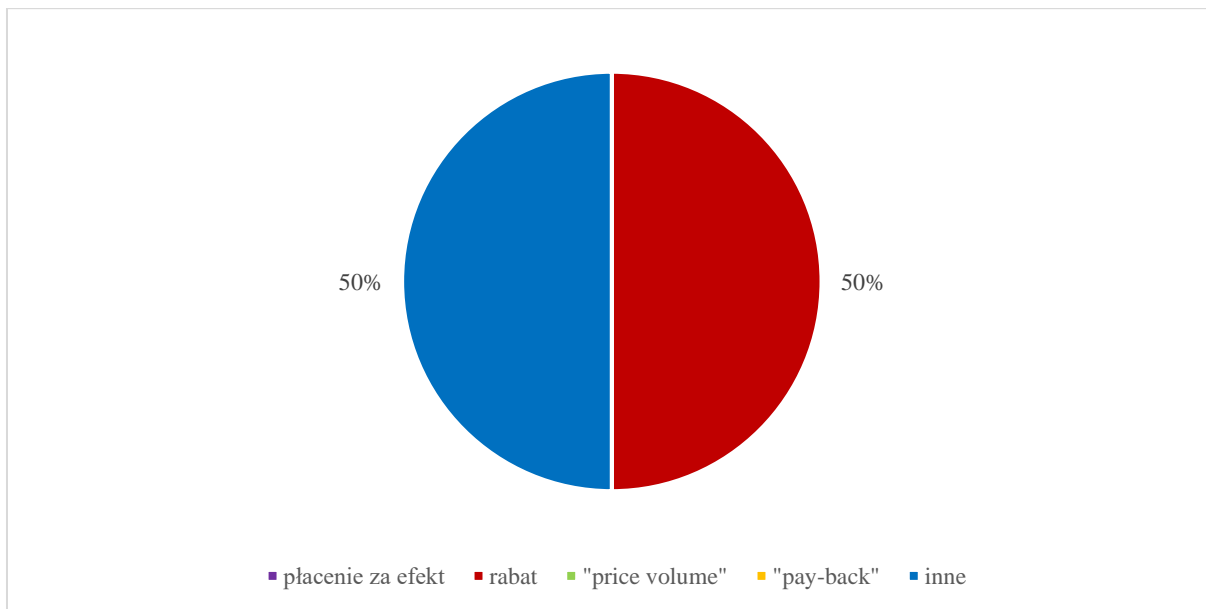
W 2014 roku analizowano 16 wniosków dotyczących terapii przeciwnowotworowej w ramach programu lekowego. Podobnie jak w roku ubiegłym, w przypadku większości wniosków (n=14, 88%) dołączono propozycję RSS. Zdecydowana większość wnioskowanych RSS była w postaci rabatu (n=6, n=43%) lub „pay-back” (n=6, n=43%). Ponadto na proponowane RSS składały się także „price volume” (n=1, 7%) oraz „inne” (n=1, 7%). Również w tym roku żadna z propozycji RSS nie uwzględniała „płacenia za efekt”.



**Rysunek 8. Liczba poszczególnych kategorii RSS proponowanych w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w 2014 r.**

Źródło: opracowanie własne

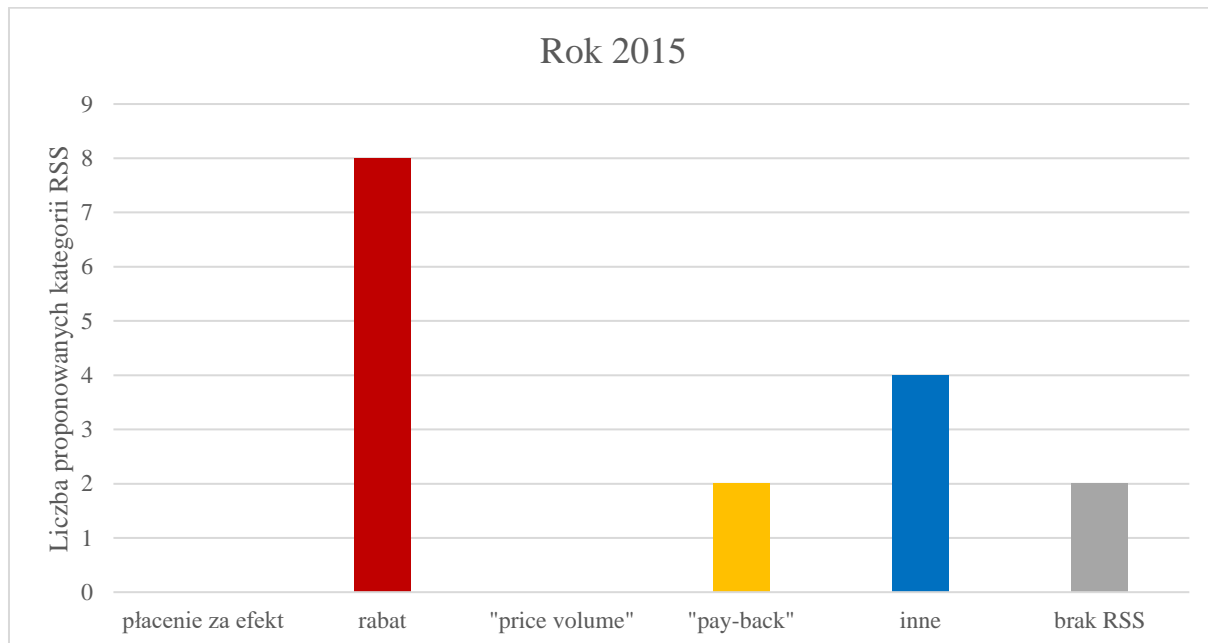
W ramach kategorii „inne” wnioskowane było połączenie „rabatu” z innym rodzajem instrumentu ryzyka („inne”).



**Rysunek 9. Składowe kategorii „inne” w 2014 r.**

Źródło: opracowanie własne

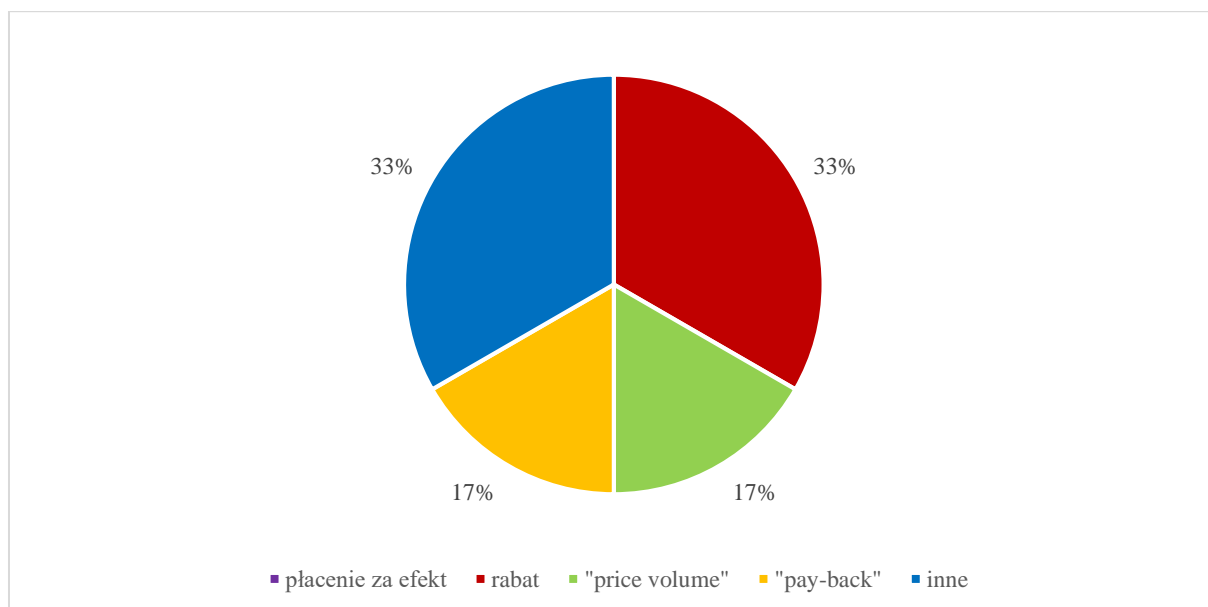
W 2015 roku złożono 16 wniosków dla programów lekowych w chorobach onkologicznych. Wśród nich 14 wniosków uwzględniło RSS (88%). Ponad połowa proponowanych RSS była w postaci „rabatu” (n=8, 57%). Do pozostałych kategorii należały: „inne” (n=4, 29%) oraz „pay-back” (n=2, 14%). W żadnym z analizowanych wniosków nie zawarto „płacenia za efekt” i „price volume”.



Rysunek 10. Liczba poszczególnych kategorii RSS proponowanych w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w 2015 r.

Źródło: opracowanie własne

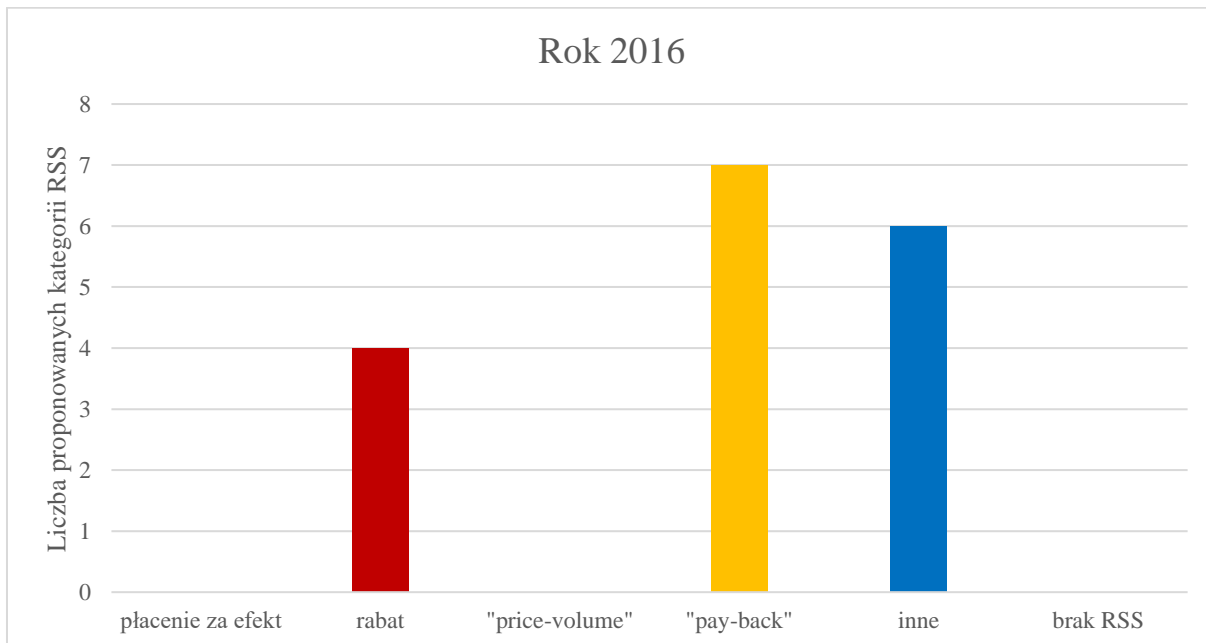
Na kategorię dotyczącą innych warunków składały się różne kombinacje poszczególnych instrumentów podziału ryzyka. Składowymi kategorii „inne” były: „rabat” (n=2, 33%), „inne” (n=2, 33%), „price volume” (n=1, 17%), a także „pay-back” (n=1, 17%). W ramach tej kategorii proponowane było połączenie: „rabatu” z „pay-back” oraz „rabatu” z „price volume”. W dwóch pozostałych przypadkach RSS stanowiły wyłącznie propozycje niesklasyfikowane do pozostałych kategorii.



Rysunek 11. Składowe kategorii „inne” w 2015 r.

Źródło: opracowanie własne

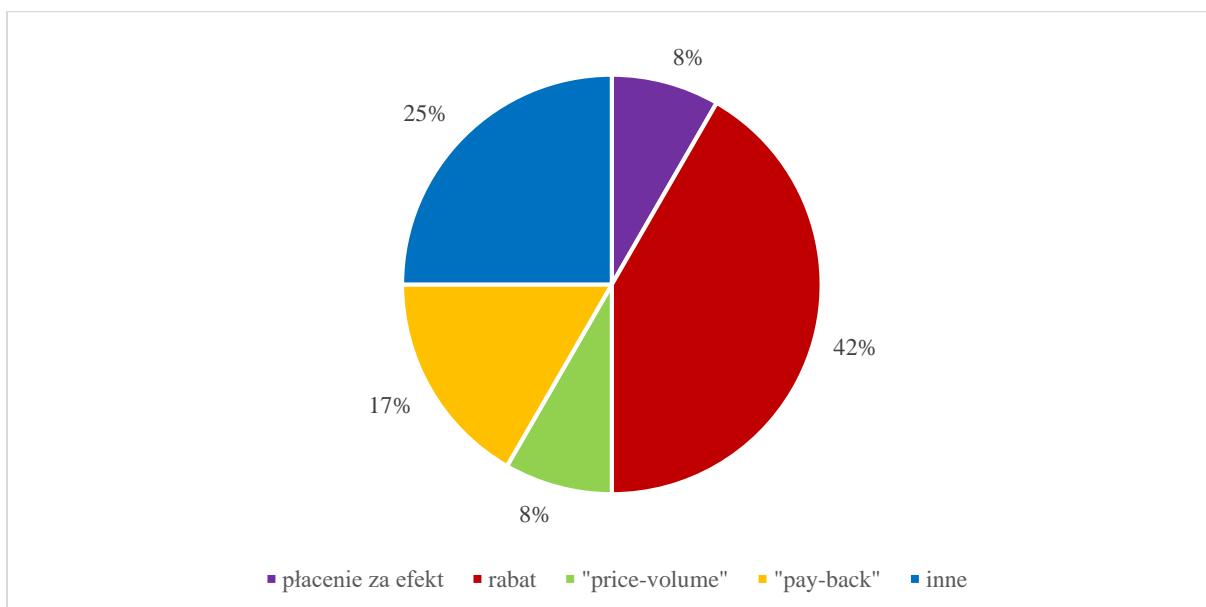
W 2016 roku złożono 17 wniosków dla programów lekowych w chorobach onkologicznych. Najczęściej proponowano „pay-back” – w 7 wnioskach (41%). Poza tym raportowano również „rabat” (n=4, 24%) i „inne warunki” (n=6, 35%). Nie zidentyfikowano wniosków, w których zaproponowanym RSS było „płacenie za efekt” lub „price volume”.



**Rysunek 12. Liczba poszczególnych kategorii RSS proponowanych w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w 2016 r.**

**Źródło: opracowanie własne**

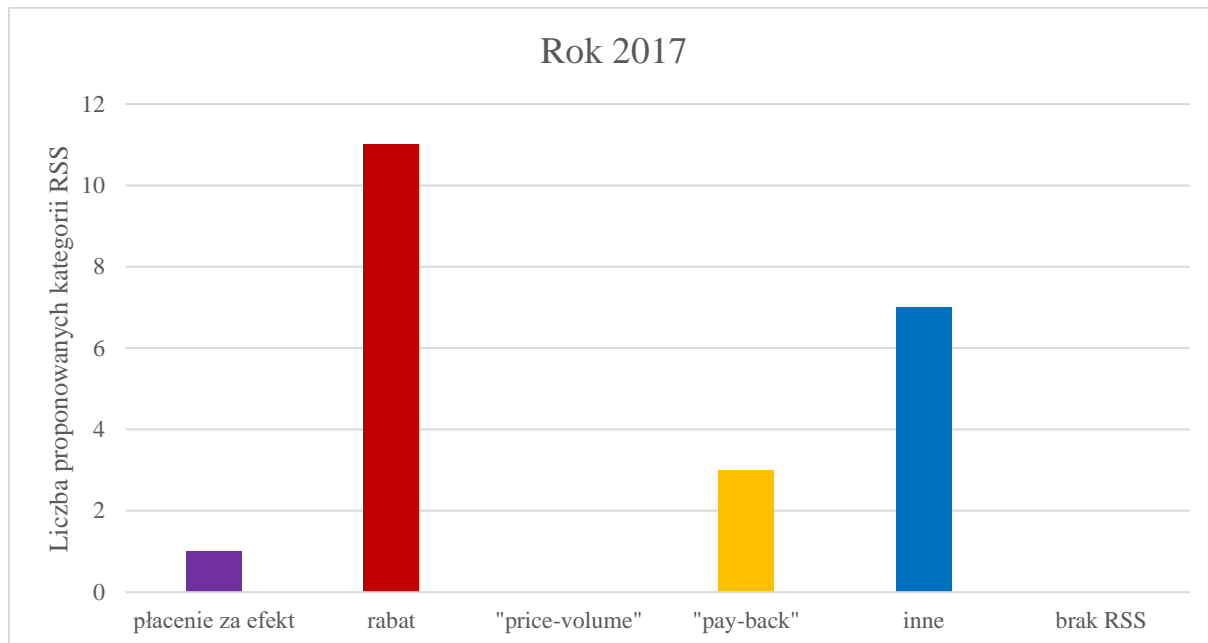
W ramach kategorii „inne” uwzględniano: „płacenie za efekt” (n=1, 8%), „rabat” (n=5, 42%), „price volume” (n=1, 8%), „pay-back” (n=2, 17%) oraz inne propozycje (n=3, 25%). Na kategorię dotyczącą innych warunków składały się różne kombinacje poszczególnych instrumentów podziału ryzyka. Najczęściej proponowano RSS składający się z dwóch propozycji, m.in. „rabatu” i „pay-back”. Najczęściej występującą składową RSS opierającego się o „inne warunki” był „rabat” (na sześć propozycji wystąpił w pięciu z nich).



**Rysunek 13. Składowe kategorii „inne” w 2016 r.**

**Źródło: opracowanie własne**

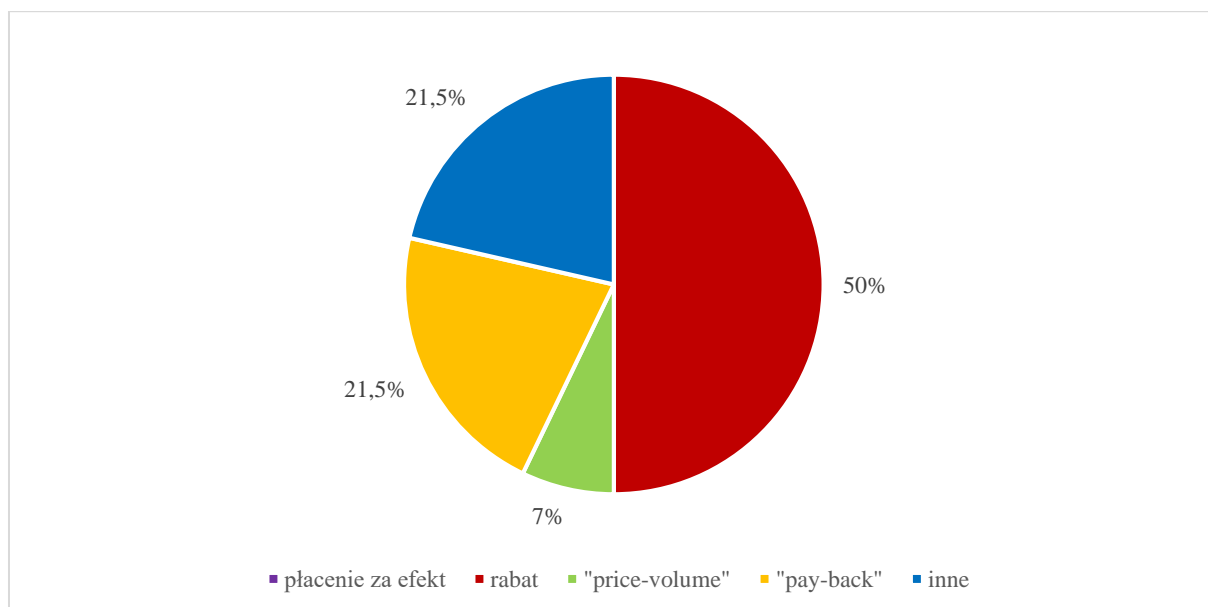
W 2017 roku złożono 22 wniosków dla programów lekowych w chorobach onkologicznych. Najczęściej proponowanym instrumentem podziału ryzyka był „rabat” – w 11 wnioskach (50%). Poza tym raportowano również „płacenie za efekt” (n=1, 4%), „pay-back” (n=3, 14%) oraz „inne warunki” (n=7, 32%). Nie zidentyfikowano wniosków, w których zaproponowanym RSS było „price volume”.



Rysunek 14. Liczba poszczególnych kategorii RSS proponowanych w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w 2017 r.

Źródło: opracowanie własne

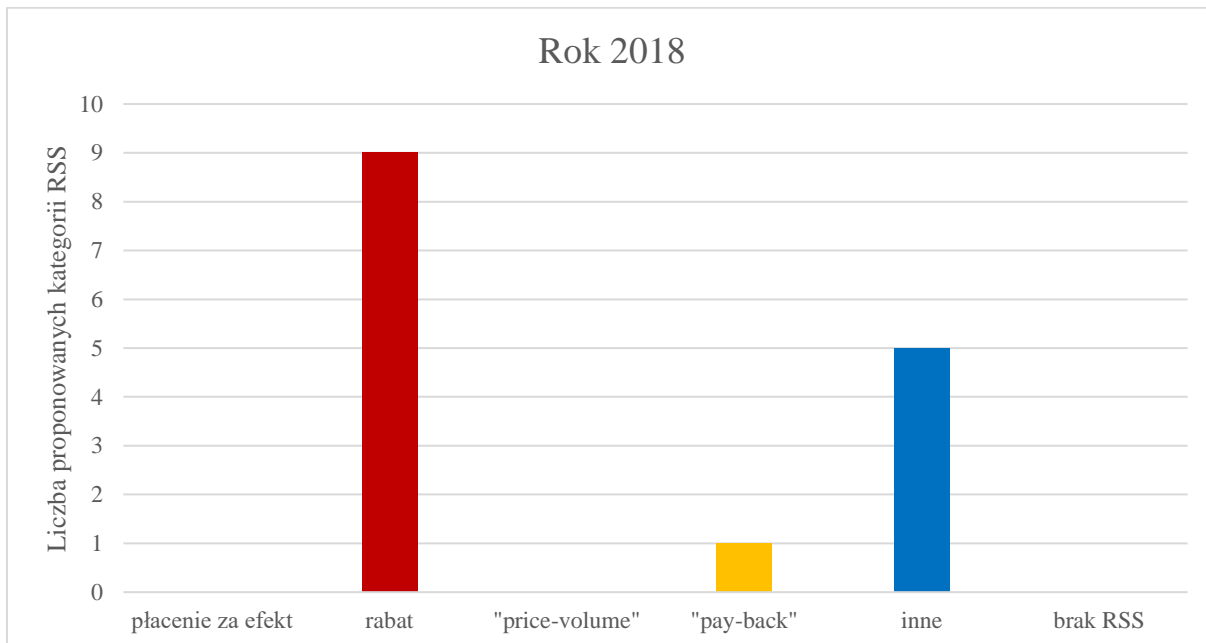
W ramach kategorii „inne” uwzględniano: „rabat” (n=7, 50%), „price volume” (n=1, 7%), „pay-back” (n=3, 21,5%) oraz inne propozycje (n=3, 21,5%). Na kategorię dotyczącą innych warunków składały się różne kombinacje poszczególnych instrumentów podziału ryzyka. Najczęściej proponowano RSS składający się z dwóch propozycji, m.in. „rabatu” i „pay-back”. Najczęściej występującą składową RSS opierającego się o „inne warunki” był „rabat” (wystąpił we wszystkich sześciu wnioskach).



Rysunek 15. Składowe kategorii „inne” w 2017 r.

Źródło: opracowanie własne

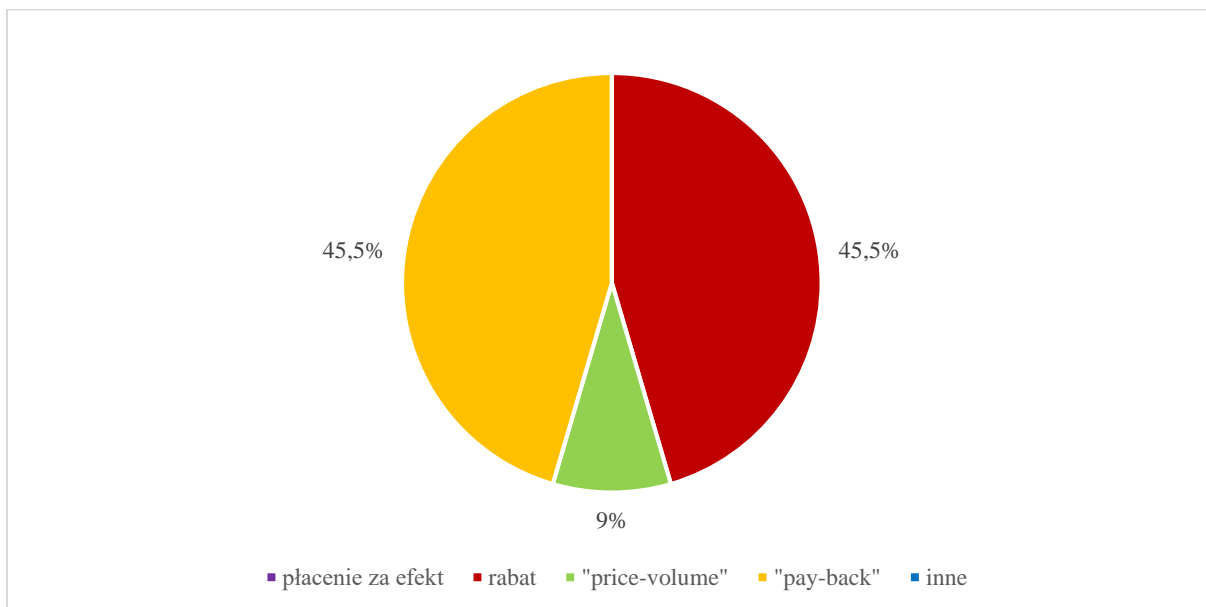
W 2018 roku złożono 15 wniosków dla programów lekowych w chorobach onkologicznych. Najczęściej proponowanym instrumentem podziału ryzyka był „rabat” – w 9 wnioskach (60%). Poza tym, raportowano również „pay-back” (n=1, 7%) oraz „inne warunki” (n=5, 33%). Nie zidentyfikowano wniosków, w których zaproponowanym RSS było „płacenie za efekt” lub „price volume”.



**Rysunek 16. Liczba poszczególnych kategorii RSS proponowanych w ramach wniosków dla leków onkologicznych w programach lekowych w 2018 r.**

**Źródło: opracowanie własne**

W ramach kategorii „inne” uwzględniano: „rabat” (n=5, 45,5%), „price volume” (n=1, 9%) oraz „pay-back” (n=5, 45,5%). Na kategorię dotyczącą innych warunków składały się różne kombinacje poszczególnych instrumentów podziału ryzyka. W jednym przypadku zaproponowano RSS złożony z „rabatu”, „price volume” oraz „pay-back”. W pozostałych przypadkach zaproponowano RSS złożony z „rabatu” i „pay-back”.



**Rysunek 17. Składowe kategorii „inne” w 2018 r.**

**Źródło: opracowanie własne**

#### 4. Dyskusja

Przedstawiona powyżej analiza wniosków refundacyjnych z lat 2012-2018 dotyczących oceny produktów leczniczych stosowanych w chorobach onkologicznych w ramach programów lekowych wykazała, że najczęściej proponowanymi rodzajami RSS były instrumenty stosunkowo łatwe do zaimplementowania, tj. „rabat cenowy” (43%) oraz „pay-back” (25%). Najrzadziej samodzielnie proponowanym instrumentem były RSS oparte o efekty zdrowotne (1%) i „price volume” (1%). Ponadto, znaczny udział wynoszący 30%, miały RSS w postaci innych warunków, niesklasyfikowanych do pierwszych czterech kategorii. Łącznie w latach 2012 - 2018 w ramach „innych warunków” najczęściej pojawiała się propozycja stanowiąca połączenie co najmniej dwóch kategorii, głównie „rabatu cenowego” (42%) i „pay-back” (25,5%). Należy jednak podkreślić, że w ramach „innych warunków” znalazły się również propozycje „price volume” (8,5%) i „płacenie za efekt” (1%). W ostatnich latach (2016-2018) nie zdarzyła się sytuacja, w której nie zaproponowano instrumentu dzielenia ryzyka. Widoczną tendencją był wzrost udziału rabatów cenowych (od 30% do 50%) w latach 2012 – 2015. W 2016 nastąpił spadek udziałów „rabatu” do 23% kosztem wzrostu udziałów „pay-back”, a od 2017 zaobserwowano ponowny wzrost udziałów rabatów cenowych od 50% do 60% w 2018. W przypadku „pay-back” w latach 2012-2014 udziały oscylowały pomiędzy 30% a 37,5%, w 2015 spadły do 12,5%. W 2016 zaobserwowano znaczny wzrost do 42%, a od 2017 obserwowano ponowny spadek od 14% do 6,7% w 2018. W zakresie udziału poszczególnych RSS na przestrzeni kolejnych analizowanych lat nie zaobserwowano jednoznacznego trendu.

Podobne wnioski uzyskali autorzy publikacji Ferrario 2017 (6), której celem była analiza umów zawieranych pomiędzy producentem a decydemt mających na celu umożliwienie włączenia nowej technologii medycznej do publicznego finansowania (ang. managed entry agreements, MEA) w krajach Centralnej i Wschodniej Europy (ang. Central and Eastern Europe, CEE). Wśród pięciu krajów, dla których dostępne były dane liczbowe (Słowenii, Węgier, Łotwy, Estonii i Rumunii) najpowszechniej stosowanym rodzajem podziału ryzyka był „rabat” (73%), następnie „pay-back” (14%) i „price-volume” (5%). Natomiast najrzadziej wykorzystywany był instrument oparty o efekt zdrowotny (1%). Niewielki udział RSS opartego o efekt może być związany z tym, że realizacja takiego mechanizmu wymaga zaangażowania większych nakładów, takich jak sprawny system informatyczny, a właściwe rozliczenie zależy przede wszystkim od poprawnego i terminowego prowadzenia rejestru wyników zdrowotnych przez świadczeniodawców. Z drugiej strony pacjenci i lekarze oczekują szybkiego i łatwego dostępu do technologii innowacyjnych, w tym onkologicznych. W związku z tym ocena i rejestracja leków bazuje często na niepełnych danych dotyczących ich skuteczności i bezpieczeństwa. Zachodzi wówczas niepewność co do rzeczywistej efektywności leku. Dobrym przykładem jest rejestracja produktu Tagrisso na podstawie badania FLAURA w populacji wcześniej nieleczonych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub uogólnionym NDRP (niedrobnokomórkowy rak płuca) z obecnością mutacji w genie kodującym EGFR. W publikacji z badania FLAURA analiza przeżycia całkowitego została przeprowadzona na podstawie niedojrzałych danych (dojrzałości danych w chwili przeprowadzenia okresowej analizy przeżycia wynosiła 25%, co oznacza że w analizowanym okresie obserwacji u 25% pacjentów wystąpił zgon) (8). Dlatego też RSS oparty na wynikach zdrowotnych wydaje się być użyteczny w zarządzaniu ryzykiem dla nowych technologii.

Odwrotną tendencję zaobserwowano we Włoszech. Na przestrzeni lat 2006-2015 wśród 82 ocenianych terapii, RSS oparty o wyniki zdrowotne stanowił ponad połowę (59%), a udział instrumentów finansowych wynosił 33%. Zgodnie z danymi, na przestrzeni lat RSS oparte o efekty powoli zastępowały finansowe RSS i stanowiły 78% wszystkich instrumentów. Jednym z powodów takiej zmiany był fakt, że Włoska Agencja Leków (ang. Italian Medicines Agency, AIFA) opierała się w dużej mierze na własnych rejestrach monitorowania pacjentów online. Rejestry monitorujące AIFA pozwalają na ciągłą ocenę produktów leczniczych w praktyce klinicznej i mogą w rzeczywistości umożliwić szybszy dostęp do leków i innowacji po przystępnych cenach (2).

W Polsce wdrażanie nowych instrumentów podziału ryzyka opartych o efekty zdrowotne można byłoby przeprowadzić w oparciu o publiczny system zbierania danych medycznych prowadzony przez NFZ - System Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMPT). Jednak według raportu z 2015 r. istnieją liczne bariery związane z bieżącym funkcjonowaniem systemu między innymi: opóźnienia w dostosowywaniu systemu do częstych zmian w zapisach programów lekowych, brak właściwych słowników, brak możliwości wyboru konkretnego preparatu lub właściwego schematu leczenia oraz czasochłonność i trudność techniczna obsługi aplikacji (7). System SMPT może stanowić podstawę w zarządzaniu danymi o skuteczności i działaniach niepożądanych leków finansowanych w ramach programów lekowych, jednak wymaga dalszego udoskonalenia, by mógł on stać się rzetelnym narzędziem dla RSS opartego o efekty zdrowotne leków, także onkologicznych.

## Bibliografia

1. Cheema PK, Gavura S, Migus M, i in. International variability in the reimbursement of cancer drugs by publically funded drug programs. *Curr Oncol*, Vol. 19, pp. e165-176.
2. Piatkiewicz TJ, Traulsen JM, Holm-Larsen T, Risk-Sharing Agreements in the EU: A Systematic Review of Major Trends, *Pharmacoecon Open* 2018 Jun; 2(2): 109-123.
3. Prezentacja Ministerstwo Zdrowia z dn. 13.09.2010 - Podstawowe założenia i zmiany wprowadzane przez projekt ustawy „refundacyjnej”.  
<http://www2.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=&ms=&ml=pl&mi=&mx=0&mt=&my=&ma=15966>  
(data dostępu 19.08.2019)
4. Uzasadnienie do rządowego projekt ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.  
<http://orka.sejm.gov.pl/Druk6ka.nsf/wgdruku/3491> (data dostępu 19.08.2019)
5. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.).
6. Ferrario A, Araja D, Bochenek T, i in. The Implementation of Managed Entry Agreements in Central and Eastern Europe: Findings and Implications. *PharmacoEconomics* (2017) 35:1271–1285.
7. Władysiuk M (red.), Instrumenty podziału ryzyka w systemie refundacji leków w Polsce i na świecie, Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA, 2015 Warszawa.
8. Soria J.C. et al. Osimertinib in Untreated EGFR-Mutated Advanced Non-Small-Cell Lung Cancer. *N Engl J Med* 2018; 378:113-125.