

Fond onkologických liekov – východisko či cieľ, ako hrať inovatívnu onkologickú liečbu?

MUDr. Pavol Adamkov, Ing. Petra Szilágyiová, Mgr. Tomáš Pastorek

Pfizer Luxembourg SARL, organizačná zložka, Bratislava

Fond onkologických liekov (CDF) je britská vládna iniciatíva s cieľom zlepšiť prístup pacientov k onkologickým liekom, ktoré nie sú bežne k dispozícii v rámci Národnej zdravotnej služby (NHS). Bolo dokázané, že Veľká Británia zaostáva za zvyškom Európy v oblasti vstupu nových onkologických liekov. Systém financovania Fondu bol plánovaný na obdobie troch rokov, od apríla 2011 do marca 2014, s celkovým rozpočtom 200 miliónov libier ročne. Existujú dva spôsoby uhrádzania onkologických liekov prostredníctvom CDF. Ak liek alebo indikácia je zahrnutá v národnom zozname CDF, úhrada je schválená na základe oznámenia a potvrdenia žiadosti. Ak liek alebo indikácia nie je v zozname, je možné požiadať o úhradu podaním individuálnej žiadosti. V septembri 2013 premiér David Cameron oznámil predĺženie platnosti CDF do roku 2016 s celkovým rozpočtom 400 miliónov libier. V súčasnosti je stále nejasné, ako bude fungovať v praxi nový systém oceňovania liekov na základe hodnoty (value-based pricing), ktorý plánovalo ministerstvo zdravotníctva zaviesť v roku 2014, a či v konečnom dôsledku prinesie tie výhody, ktoré sa od neho očakávajú.

Kľúčové slová: onkologické lieky, úhrada, oceňovanie na základe hodnoty.

Cancer Drugs Fund – starting point or final solution to pay for innovative oncology treatment?

The Cancer Drugs Fund (CDF) is a UK government initiative to increase access to cancer drugs which are not routinely available through the National Health Service (NHS). There was an evidence that UK lags behind the rest of Europe in access to new cancer drugs. The CDF funding system was planned for a period of three years, from April 2011 to March 2014 in England with allocated fixed funds of £200 million per annum. There are 2 methods of reimbursement for cancer drugs through the CDF. When the product/indication is included in the national list of CDF, reimbursement approval is based on a notification and confirmation of the requests. If the product or indication is not listed, it is possible to apply for reimbursement on individual basis. In September 2013 Prime Minister David Cameron announced extension of CDF until 2016 with a total budget of £ 400 million. It is still unclear how the new way of assessing drugs, called value-based pricing, which the Department of Health planned to implement by 2014, will work in reality, and whether it will ultimately deliver the benefits it proposes.

Key words: cancer drugs, reimbursement, value-based pricing.

Onkológia (Bratisl.), 2014; roč. 9(1): 12–18

Úvod

V posledných rokoch dosiahla liečba rakoviny výrazný pokrok, čo viedlo k zlepšeniu prognózy a kvality života onkologických pacientov. Terapeutický pokrok však viedol aj k výraznému zvýšeniu nákladov a kapacitných nárokov, a tým aj k možnému oneskoreniu v zavádzaní týchto liekov do terapeutickej praxe (1).

Tento článok opisuje spôsob, akým sa vládca vo Veľkej Británii vyrovnáva s narastajúcim problémom úhrady finančne náročných onkologických liekov pre pacientov s nevyliciteľnými chorobami (nazývané aj ako end-of-life lieky) s limitovaným rozpočtom, ktorý je financovaný priamo z daní občanov. Cieľom tejto snahy je zabezpečiť dostupnosť nových liekov bez toho, aby boli ohrozené základné princípy Národnej zdravotnej služby (National Health Service – NHS) – spravodlivosť a efektívnosť. Národný inštitút pre klinickú excelenciu (National Institute for Health and Care Excellence – NICE) má v tomto napätom období kľúčovú úlohu, aj keď je možné, že v budúcnosti sa postupy pre stanovenie cien a dostupnosť liekov môžu zmeniť, ako je to stanovené v návrhu vlády pre oceňovanie

liekov na základe hodnoty (value-based pricing) (2). Tak či onak, snaha o vyváženú spravodlivosť a efektívnosť zdravotníckej služby s ekonomickými a často aj politickými požiadavkami vlády nie je, a pravdepodobne ani tak skoro nebude, ukončená.

Dôvody vzniku Fondu onkologických liekov

Jedným z hlavných cieľov britskej vlády v roku 2010 bolo zlepšenie prežívania u pacientov s rakovinou (3). Za hlavné dôvody nižšej úrovne prežívania pacientov v porovnaní s ostatnými európskymi krajinami boli považované predovšetkým slabšie povedomie verejnosti o príznakoch rakoviny a pokročilé ochorenie v čase stanovenia diagnózy. Zlepšiť dĺžku prežívania na úroveň najúspešnejších európskych krajín mala skoršia diagnostika, modernejšia liečba a následná starostlivosť, čo by podľa odhadov mohlo viesť každý rok k záchrane života až u 10 000 pacientov s rakovinou.

Rakovina mala vždy osobitné miesto v zdravotníckej politike vo Veľkej Británii a tým aj v rámci priorit NICE, a to aj v porovnaní

s inými závažnými ochoreniami, ako sú napríklad duševné či kardiovaskulárne ochorenia. Každá tretia technológia hodnotená NICE do júna 2010 bola onkologická (4). Všetky žiadosti v rámci EOL (end-of-life) stratégie (5), ktorá bola predstavená v roku 2009 (čiastočne podobná našej úhrade „na výnimku“), sa týkali liekov proti rakovine. Kritériá v rámci EOL stratégie sa neobmedzujú len na onkologické lieky, ale skutočnosť, že sa vzťahujú na terminálne fázy ochorenia, ktoré postihujú obmedzené množstvo pacientov a kde liek ponúka limitované predĺženie prežívania za vysokú cenu, poukazuje primárne na nové a drahé onkologické lieky.

Zaostávanie Veľkej Británie za zvyškom Európy v oblasti vstupu nových onkologických liekov na trh bolo potvrdené v správe profesora Mikea Richardsa, hlavného odborníka pre onkológiu pre ministerstvo zdravotníctva (6). V analýze *Rozsah a príčiny medzinárodných variácií v používaní liečiv* sa venoval medzinárodnému porovnaniu používania vybraných liekov vo vybraných ochoreniach. Štúdia kombinuje údaje poskytnutých zo zdrojov IMS Health a výrobcov s poznatkami získanými od relevantných odborníkov vo Veľkej

Británii. V 14 krajinách boli vyhodnotené úrovne používania liekov, ktoré sa používajú v akútnej a dlhodobej terapii, pri ochoreniach, ktoré postihujú mladých aj starších ľudí, liečených ambulantne alebo v nemocnici (tabuľka 1).

Veľká Británia skončila pomerne vysoko (1. – 4. miesto) v troch indikáciách, respektíve terapeutických skupinách (akútny infarkt myokardu, syndróm dychovej tiesne a statíny) a relatívne nízko (10. – 14. miesto) v siedmich kategóriách (onkologiká uvedené za posledných 5 rokov, onkologiká uvedené na trh pred viac ako 10 rokmi, lieky proti demencii, hepatitíde C, proti skleróze multiplex, reumatoidnej artritíde a antipsychotiká druhej generácie).

Správa poukazuje na pomerne nízke užívanie najmä novších liekov proti rakovine v porovnaní s ostatnými krajinami. Profesor Richards identifikoval viacero faktorov, ktoré ovplyvňujú úroveň používania onkologík vo Veľkej Británii. Tie zahŕňajú predovšetkým zdravotné, ekonomické, organizačné a kultúrne aspekty a je pravdepodobné, že sa líšia v závislosti od jednotlivých terapeutických oblastí. Terapeutické postupy sú primárne ovplyvňované klinickými preferenciami, ale v niektorých prípadoch môžu mať výrazný vplyv aj finančné limitácie. Lieky, ktorých úhradu NICE zamietol, kombinujú hlavne vysoké náklady s obmedzeným dosahom na predĺženie života a/alebo zlepšenie kvality života. Tieto výhody môžu byť, samozrejme, veľmi dôležité pre jednotlivých pacientov a ich rodiny, a je možné, že súčasné opatrenia nemusia adekvátne hodnotiť význam a prínos liekov, ktorý pacientom v danej situácii prinášajú.

Reakciu vlády na výsledky analýzy profesora Richardsa bolo vyčlenenie dodatočných finančných prostriedkov vo výške 50 miliónov libier, ktoré boli určené na zlepšenie prístupu k onkologickým liekom v období prechodu rokov 2010 – 2011. Financie boli poskytnuté strategickým zdravotným úradom (Strategic Health Authorities – SHA), ktoré ich mali od októbra 2010 ďalej alokovať jednotlivým regionálnym klinickým výborom.

Definícia a ciele Fondu onkologických liekov

Fond onkologických liekov (CDF) je britská vládna iniciatíva s cieľom zlepšiť prístup pacientov k onkologickým liekom. Bol založený s úmyslom poskytnúť prostriedky, vďaka ktorým Národná zdravotná služba (NHS) umožní pacientom v Anglicku dostať sa k liekom proti rakovine, ktoré nie sú bežne k dispozícii v rámci NHS. Jeho zriadenie bolo potvrdené koalíčnou

Tabuľka 1. Súhrnná tabuľka s medzinárodným vyhodnotením podľa terapeutickú oblasti (6)

	Austrália	Rakúsko	Kanada	Dánsko	Francúzsko	Nemecko	Taliansko	Nový Zéland	Nórsko	Španielsko	Švédsko	Švajčiarsko	Veľká Británia	USA
Akútny infarkt myokardu	4	11	10	1	7	9	12	3	8	5	6	n/a	2	13
Antipsychotiká	5	6	4	2	10	12	14	7	9	3	13	8	11	1
Demencia	12	5	4	8	2	9	13	14	6	3	7	10	11	1
Hepatitída C	5	4	11	14	3	8	1	12	10	2	7	9	3	6
Skleróza Multiplex	10	12	5	2	11	1	3	14	6	8	7	9	13	4
Osteoporóza	9	12	10	7	2	8	5	14	11	1	13	4	6	3
Syndróm nedostatku surfaktantu (RDS)	5	3	13	12	6	8	2	9	11	7	10	14	4	1
Reumatoidná artritída	11	8	5	4	9	13	12	14	2	7	3	6	10	1
Statíny	1	13	4	6	8	12	14	7	5	10	11	9	2	3
Vlhká forma VPDM	1	12	6	4	3	9	13	14	11	10	7	2	5	8
Protinádorová liečba spolu	12	3	13	6	1	3	3	14	11	2	9	6	10	8
Protinádorová liečba (vstup na trh v priebehu posledných 5 rokov)	11	2	13	7	1	4	9	14	10	5	8	6	12	3
Protinádorová liečba (vstup na trh v rozmedzí posledných 6 – 10 rokov)	10	4	12	2	1	7	6	14	13	5	11	3	9	8
Protinádorová liečba (vstup na trh v období > ako 10 rokov)	13	6	11	7	1	4	2	14	12	3	9	5	10	8
Protinádorová hormonálna liečba	12	6	11	8	4	3	1	14	9	2	7	10	5	13
Celkové skóre v bodoch	75	89	85	66	62	92	92	122	90	58	93	77	87	49
Priemerné skóre	6,818	8,091	7,727	6,000	5,636	8,364	8,364	11,091	8,182	5,273	8,455	7,700	7,909	4,455
Celkové poradie	5	9	7	4	3	11	11	14	10	2	13	6	8	1

Sivá označuje hodnotu, ktorá je najbližšie k priemernej hodnote zo všetkých sledovaných krajín v danej kategórii

Poznámky:

- Celkové poradie vychádza z priemerných hodnôt vo všetkých sledovaných kategóriách. Švajčiarsko bolo hodnotené v desiatich (nie jedenástich) kategóriách, pretože údaje z oblasti liečby akútneho infarktu myokardu neboli k dispozícii
- Vzhľadom na prítomnosť iba jedného lieku v sledovanej kategórii, poradie krajín pre náhlu cievnu mozgovú prírodu a respiračný syncytiálny vírus nebolo zahrnuté do vyhodnotenia s odvolaním sa na obchodné tajomstvo
- Podkategórie onkologickej liečby sú sumarizované v celkovom hodnotení liečby rakoviny. Vzhľadom na chýbajúce údaje o dennej definovanej dávke alebo iných rovnocenných merateľných veličnách nie je možné stanoviť hodnotu, ktorá sa nachádza najbližšie k priemernej hodnote zo všetkých sledovaných krajín

dohodou britskej vlády v roku 2010 (7) a uznesením „Spravodlivosť a efektívnosť – oslobodenie NHS“ (8).

Vláda Veľkej Británie stanovila tri základné ciele, ktoré chcela uvedením CDF dosiahnuť (9):

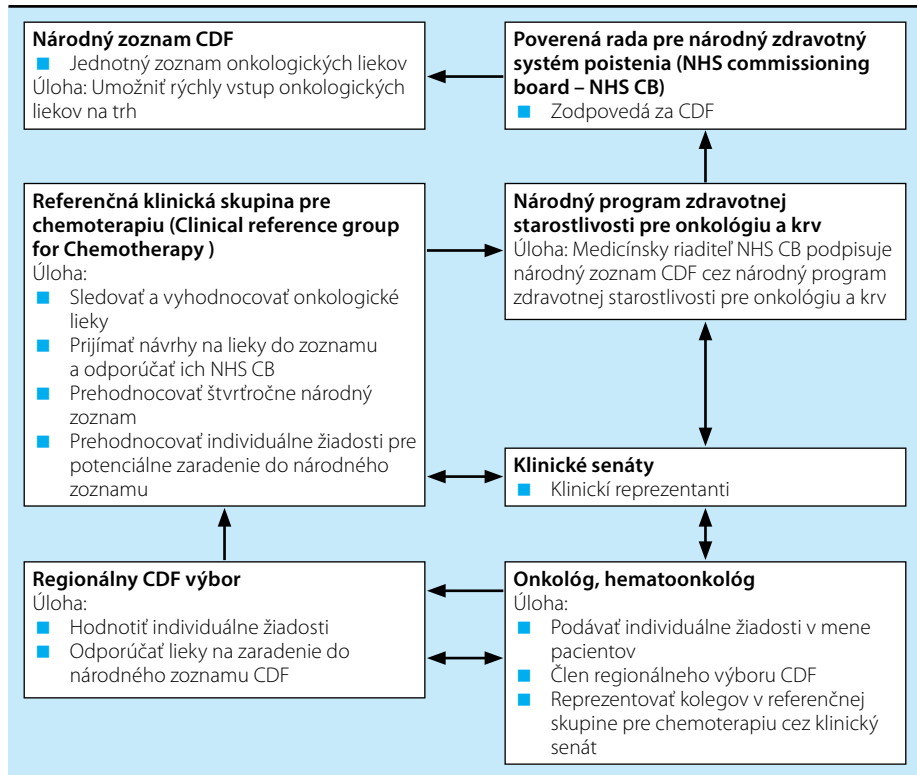
- poskytovať maximálnu podporu pacientom v rámci NHS
- vrátiť klinických a ambulantných onkológov do centra rozhodovania v súlade s vládnu stratégiou, ktorej cieľom je posilniť úlohu zdravotníckych profesionálov a ich odborného úsudku o tom, čo je správne pre pacientov
- preklenúť obdobie do zavedenia oceňovania originálnych liekov založenom na hodnote (value-based pricing) v roku 2014.

Systém financovania Fondu bol plánovaný na obdobie troch rokov, od apríla 2011 do marca 2014. Každému strategickému zdravotnému úradu (SHA) v Anglicku boli na základe veľkosti príslušnej populácie pridelené fixné finančné prostriedky z celkového rozpočtu 200 miliónov libier na rok. Keďže každý strategický zdravotný úrad mohol rozhodovať samostatne o schvaľovaní liekov, vytvorili sa rozdiely vo vstupe onkologických liekov medzi regiónmi. To spôsobilo zrušenie fungovania CDF na regionálnej úrovni a vytvoril sa centrálny fond.

Finančný rok 2013/2014 CDF

Od 1. apríla 2013 bol vytvorený jednotný fond s rozpočtom 200 miliónov libier na finančný rok 2013/2014 pre rezidentov Anglicka. Za manažment CDF zodpovedá poverená Správna

Schéma 1. Tvorba národného zoznamu CDF (11)



rada Národnej zdravotnej služby (NHS commissioning board – NHS CB). Administratívne CDF riadia 4 regionálne tímy:

- severné Anglicko (NHS CB Area Team Cumbria, Northumberland, Tyne & Wear)
- stredné a východné Anglicko (NHS CB Area Team Leicestershire and Lincolnshire)
- južné Anglicko (NHS CB Area Team Wessex)
- Londýn (NHS CB Area Team London)

Každý z regionálnych tímov má svoj CDF výbor, ktorý riadi predseda. Základní členovia sú onkológ (respektíve pediatrik) a hematoológ z daného regiónu, pacient a/alebo reprezentant laickej spoločnosti. Regionálny farmaceut, odborník pre verejné zdravotníctvo a CDF referent sú poradcovia výboru. Maximálny počet členov regionálneho CDF výboru je 25 (minimálne 5 onkológov pre dospelých, 5 hematoológov a 2 pediatrik onkológovia). Komunikácia medzi členmi prebieha väčšinou e-mailom alebo cez telekonferencie/webex. Raz štvrtročne sa odporúča, aby sa konalo zasadnutie výboru.

CDF má svoju internetovú stránku www.england.nhs.uk/ourwork/pe/cdf/ (10), kde sa nachádzajú informácie týkajúce sa organizačnej štruktúry CDF, procesu podávania a schvaľovania žiadostí a ďalšie informácie o CDF. Mechanizmus fungovania CDF je detailne opísaný v smernici CDF, z ktorej autori tohto článku čerpali mnohé informácie (11). Na stránke je zverejnený aj národný zoznam CDF (súhrn liekov s indikáciami, ktoré sú uhrádzané

prostredníctvom CDF) a prehľad počtu uhradených liekov za určité obdobie.

Princípy CDF a rámec liekov uhrádzaných prostredníctvom CDF (11)

Princípy CDF:

- CDF je určený pre pacientov všetkých vekových skupín, ktorí žijú v Anglicku.
- Zodpovednosť za manažment žiadostí je určená podľa miesta poskytovateľa zdravotnej starostlivosti.
- Pri rozhodovaní o financovaní onkologického lieku sa musia vždy brať do úvahy dostupné finančné zdroje CDF.
- CDF predpokladá úhradu za zabezpečenie liekov. Zároveň umožňuje financovanie molekulárnych diagnostických testov, ktoré sú dôležité pri zacielení liečby pre tých pacientov, ktorí budú mať pravdepodobne najväčší prínos z liečby.
- Lieky sú uhrádzané na základe ich aktuálnych čistých nákladov, nie sú dovolené žiadne dodatočné náklady.
- Retrospektívne preplácanie nie je povolené, iba vo výnimočných prípadoch, ak ide o urgentný prípad a žiadosť je podaná do dvoch pracovných dní od začatia liečby.
- Poverená Správna rada Národnej zdravotnej služby (NHS CB) môže použiť do 1 % finančných zdrojov CDF na náklady súvisiace s auditom a manažmentom CDF.

Rámec liekov uhrádzaných prostredníctvom CDF

Zaradenie liekov do CDF je primárne založené na sile a kvalite dôkazov klinickej účinnosti preukázaných dosiahnutím merateľných výsledkov:

- Zlepšenie celkového prežívania
- Zlepšenie prežívania bez progresie
- Zlepšenie kvality života
- Zníženie toxicity

Do úvahy sa berie aj nenaplnená medicínska potreba (unmet clinical need) a nákladová efektívnosť novej liečebnej metódy.

CDF sa využíva s cieľom úhrady onkologických liekov zahŕňajúc rádiofarmaká, ktoré sú spojené s užívaním liekov odporučených onkológom, hematoológom, respektíve pediatrik onkológom. CDF sa môže použiť aj na financovanie molekulárnych diagnostických testov, ktoré sú potrebné na zabezpečenie cieľovej terapie.

Liek zaradený do systému úhrady prostredníctvom CDF musí spĺňať jedno alebo viac nasledujúcich kritérií:

- Kombinácia liek/indikácia prešla procesom posúdenia NICE a nie je odporučená na úhradu zo systému NHS alebo odporúčanie NICE obmedzuje prístup k lieku/indikácii na menšiu skupinu pacientov oproti registrovanej indikácii.
- Kombinácia liek/indikácia, ku ktorej nebolo vôbec alebo ešte nie je zverejnené, respektíve implementované NICE odporúčanie.
- Kombinácia liek/indikácia, ktorú NICE neplánuje vyhodnotiť z hľadiska nákladovej užitočnosti.
- Kombinácia liek/indikácia, ktorá neprešla procesom prioritizácie onkologických liekov NHS CB, a preto nemá úhradu na danú indikáciu.

Pred zaslaním žiadosti do CDF je potrebné zvážiť možnosť zaradenia pacienta do klinickej štúdie. Ak farmaceutická spoločnosť nepodá žiadosť o vyhodnotenie nákladovej užitočnosti inštitúciou NICE, liek/indikácia stráca nárok na úhradu zo systému CDF.

Systém vstupu onkologických liekov/indikácií do CDF a rozhodovací proces (11)

Existujú dva spôsoby uhrádzania onkologických liekov prostredníctvom CDF. Ak liek/indikácia sú zahrnuté v národnom zozname CDF, schválenie úhrady je na základe oznámenia a potvrdenia žiadosti. Ak liek alebo indikácia nie sú v zozname, je možné požiadať o úhradu podaním individuálnej žiadosti.

Príloha 1. Nástroj na prioritizáciu onkologických liekov (11)

Liek								
Indikácia								
Režim (ak vhodné)								
1	Rozsah prínosu prežívania (prežívanie bez progresie – PFS a celkové prežívanie – OS)							
<ul style="list-style-type: none"> • Dodatočný prínos v porovnaní s komparátorom v klinickej štúdií fázy III. • Údaje z fázy II sú dovolené iba pre: zriedkavé onkologické ochorenia alebo zriedkavé podskupiny, napr. onkologické ochorenia alebo pacienti s refraktérnym ochorením alebo relapsom ochorenia, ak je fáza III nepravdepodobná, pretože ochorenie je zriedkavé a počet prípadov je nízky. Kritériá klinickej štúdie sú považované za kvalitné, ak je dostupná platná historická kontrolná skupina alebo existuje niekoľko, najmä veľkých štúdií s podobným výberom pacientov alebo kritériami zaradenia a špecifickými výsledkami pacientov. • 0,5 bodu pre údaje z fázy II (iba PFS). Pre klinické štúdie fázy II žiadny bod pre OS. Fáza I nie je vhodná. Prosím, uveďte presný počet bodov na jedno desatinné miesto, ak je to nevyhnutné. • Špecifikujte, ak údaje z fázy III ešte nie sú dokončené a ak údaje fázy II sú citované. NB, ak čas spadá do polovice medzi dva body, zvolte vyššie bodové hodnotenie. 								
1.A	Prežívanie bez ochorenia - DFS, prežívanie bez progresie - PFS, čas do progresie - TTP (Prosím, špecifikujte)	DFS	Á/N	PFS	Á/N	TTP	Á/N	Iné (špecifikujte)
Ak PFS/DFS/TTP je primárny výsledok meraný v klinickej štúdií, tento parameter sa má použiť pri bodovaní.								
	Kritériá	Body	Absolútna hodnota pre prínos, napr. 12,3 mesiaca vs. 8,4 mesiaca = 3,9 mesiacov (Uveďte p hodnotu)				Uveďte bod	
	Menej ako 2 mesiace	0						
	2,0 do 3,0 mesiacov	2						
	4 do 5 mesiacov	3						
	6 do 7 mesiacov	4						
	8 do 9 mesiacov	5						
	10 do 11 mesiacov	6						
	> 12 mesiacov	7						
Presnosť PFS/DFS/TTP (Uveďte p hodnotu)								
HR (uveďte z klinickej štúdie)			Absolútna hodnota (HR) napr. 0,821 ; 95%CI 0,673 do 1,001 ; p= 0,051					
Hazard Ratio								
1.B	Celkové prežívanie							
Pre klinické štúdie fázy II žiadny bod pre OS, okrem prípadov, kedy je možné objektívne porovnanie so súčasnou štúdiou s pacientmi, ktorí neužívali hodnotenú liečbu.								
	Kritériá	Body	Absolútna hodnota pre prínos, napr. 12,3 mesiaca vs. 8,4 mesiacov = 3,9 mesiaca (Uveďte p hodnotu)				Uveďte bod	
	Menej ako 2 mesiace	0						
	2,0 do 3,0 mesiacov	2						
	4 do 5 mesiacov	3						
	6 do 7 mesiacov	4						
	8 do 9 mesiacov	5						
	10 do 11 mesiacov	6						
	> 12 mesiacov	7						
Presnosť OS (Uveďte p hodnotu)								
HR (uveďte z klinickej štúdie)			Absolútna hodnota (HR) napr. 0,821 ; 95%CI 0,673 do 1,001 ; p= 0,051					
Hazard Ratio								
2	Kvalita života							
	Kritériá	Bod	Uveďte bod					
	Publikované údaje o celkovom významnom zlepšení kvality života (QOL), použitý schválený dotazník.	2						
	Merateľný dôkaz o významnom zlepšení v doménach kvality života použitím schváleného dotazníka alebo dôkaz o nedostatku zhoršenia v celkovej kvalite života použitím schváleného dotazníka alebo jasny dôkaz o významnom zlepšení kvality života bez schváleného dotazníka (napr. klinicky významné zlepšenie transfúzie krvi)	1						
	Málo údajov alebo žiadny údaj o zlepšení kvality života alebo žiadne údaje o kvalite života zbierané v klinickej štúdií	0						
	Jasný dôkaz o významnom zhoršení kvality života bez schváleného dotazníka (napr. klinicky významné zvýšenie incidencie febrilnej neutropenie)	Mínus 1						
	Publikované údaje o zhoršení kvality života použitím schváleného dotazníka	Mínus 2						

3	Toxicita v porovnaní s existujúcou štandardnou liečbou		
	Kritériá	Bod	Uvedte bod
	Významne zlepšená	2	
	Zlepšená	1	
	Rovnaká	0	
	Zhoršená	Mínus 1	
	Významne zhoršená	Mínus 2	
4	Stupeň nenaplnenej medicínskej potreby, t. j. krok k zmene v klinickej liečbe. N.B. Ak časť 1 nemá žiadny bod, potom žiadny bod nemôže byť uvedený v tejto časti		
	Kritériá	Bod	Uvedte bod
	Žiadna alternatívna liečba	3	
Existuje alternatívna aktívna liečba	0		
5	Náklady na QALY – ak sú k dispozícii. Náklady na QALY vypočítané NICE je najpresnejší údaj o nákladoch na QALY pre Anglicko a Wales. Vo výpočte je často zahrnutý zľavový systém, ktorý môže alebo nemusí byť zverejnený, po tom ako NICE neodporúča liek.		
	QALY	Bod pre Nezávislý zverejnený výpočet	Uvedte bod
	£30-40 000	2	
	£40-50 000	1	
	£50-60 000	0	
	£60-80 000	Mínus 1	
	>£80 000	Mínus 2	
6	Náklady Bod v tejto časti môže byť uvedený, ak žiadny bod nie je v časti 5.		
	Kritériá	Bod	Uvedte bod alebo N/A
	Lepšia účinnosť a šetrenie náklad v porovnaní so súčasnou alternatívnou liečbou	3	
	Šetrenie nákladov a non-inferiorita v porovnaní so súčasnou liečbou	2	
	Neutrálne náklady a non-inferiorita v porovnaní so súčasnou liečbou, ale má iné výhody nižšia toxicita, perorálne užívanie	1	
	Ak QALY nie je k dispozícii a náklady sú vyššie v porovnaní so súčasnou alternatívou	0	
7	Sila dôkazov		
	Kritériá	Úroveň	Uvedte stupeň
	2 alebo viac randomizované kontrolované klinické štúdie fázy III v dobrej kvalite, obidve publikované	A	
	1 randomizovaná kontrolovaná klinická štúdia kontrolovaná fázy III v dobrej kvalite, publikovaná	B	
	Porovnávacia klinická štúdia fázy II, publikovaná	C	
	Neporovnávacia klinická štúdia fázy II, publikovaná	D	
	Nepublikované údaje (iba abstrakt)1	U1	
	Nepublikované údaje (iba abstrakt)2	U2	
1Vhodná metodológia pre dané nastavenie liečby, prezentovaná na medzinárodnom stretnutí			
2 Nevhodná metodológia pre dané nastavenie liečby, a/alebo neprezentovaná na medzinárodnom stretnutí			

Viac informácií nájdete na

www.solen.sk

Tvorba národného zoznamu CDF

Liek môže byť zaradený dvoma spôsobmi do národného zoznamu CDF. Jeden reprezentuje referenčná klinická skupina pre chemoterapiu (Clinical reference group for Chemotherapy), ktorá pravidelne sleduje nové NICE odporúčania, nové registrované lieky/indikácie a nové lieky prichádzajúce na trh. Druhá možnosť zaradenia je, ak počet individuálnych žiadostí na určitý liek alebo indikáciu presiahne počet 20.

Odporúčania zasiela referenčná klinická skupina pre chemoterapiu do NHS CB. Navrhované lieky/indikácie podpíše medicínsky riaditeľ NHS CB cez radu národného programu zdravotnej starostlivosti pre onkológiu a krv (schéma 1).

Rozhodnutia o zaradení/nezaradení sú na základe nástroja na prioritizáciu (príloha 1), ktorého súčasťou je bodovací systém niekoľkých oblastí:

- dôkazy o klinickej účinnosti
- prežívanie a kvalita života
- toxicita/bezpečnosť
- dôkazy o nákladovej účinnosti

Národný zoznam sa prehodnocuje štvrtročne. Do zoznamu môže byť liek nielen zaradený, ale aj vyradený. Napríklad ak NICE zverejní pozitívne odporúčanie onkologického lieku, tento liek je vyradený z národného zoznamu CDF do 90 dní, keďže sa dostane do bežného úhradového systému.

Návrh na zaradenie lieku/indikácie môže dať aj lokálny onkologický špecialista, a to prostredníctvom regionálneho CDF výboru alebo klinického senátu, ktorého niektorí členovia sú zároveň aj členmi referenčnej klinickej skupiny pre chemoterapiu.

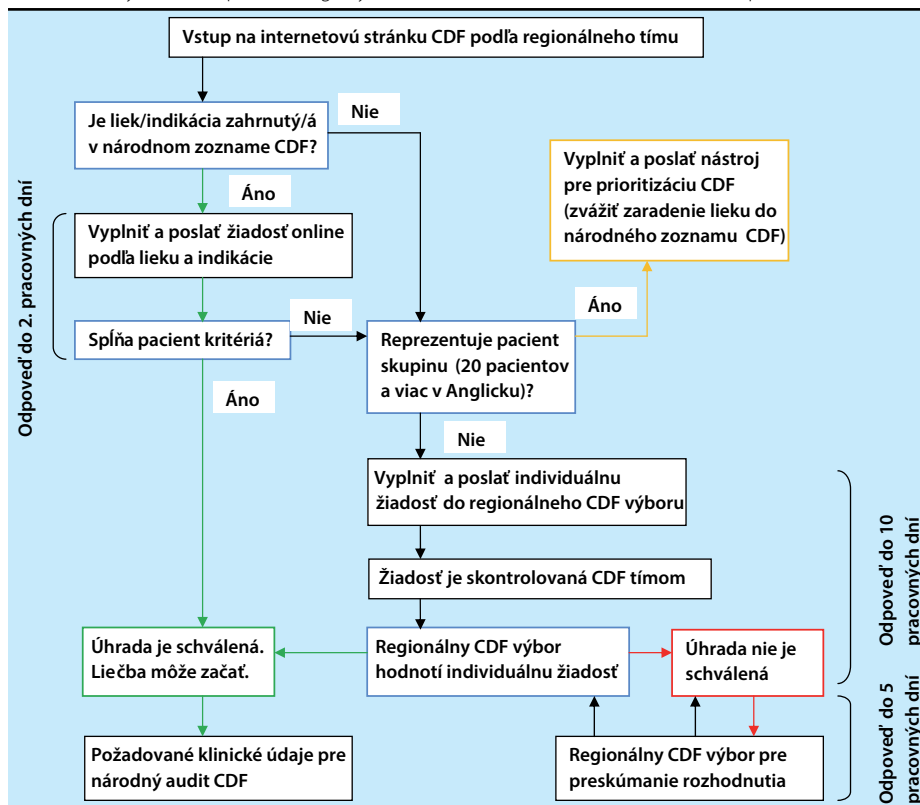
Žiadosť o úhradu lieku, ktorý je v národnom zozname, sa zasiela elektronicky. Ak pacient spĺňa dohodnuté kritériá, odpoveď je štandardne k dispozícii do dvoch pracovných dní (schéma 2).

Individuálne žiadosti

Individuálnu žiadosť v mene pacienta podáva onkologický špecialista (onkológ, respektíve pediatričný onkológ, hematoolológ), ktorý zasiela žiadosť až po schválení hlavným odborníkom pre chemoterapiu v danom regióne. Regionálny CDF výbor rozhoduje o individuálnej žiadosti, ak sú splnené nasledujúce podmienky:

- a) pacient má zriedkavé ochorenie, ktoré sa vyskytuje u menej ako 20 pacientov za rok v Anglicku alebo
- b) pacient má indikáciu, ktorá nie je súčasťou národného zoznamu alebo
- c) onkologický špecialista preukáže klinickú výnimočnosť pacienta

Schéma 2. Systém vstupu onkologických liekov/indikácií do CDF a rozhodovací proces (11)



To znamená, že:

- pacient je významne odlišný od všeobecnej populácie pacientov a zároveň
- pacient bude mať výrazne väčší prínos z liečby, ako by sa očakávalo u pacientov s týmto ochorením.

Skutočnosť, že liečba bude účinná, sa nepovažuje za výnimočnosť.

Odoslanú individuálnu žiadosť do regionálneho CDF výboru skontrolujú CDF referent a hlavný farmaceut a/alebo odborník pre verejné zdravotníctvo. Ak informácie nie sú dostačujúce, je možné vyžiadať doplnenie údajov. Žiadosť, ktorá nespĺňa kritériá na hodnotenie individuálnej žiadosti, sa vráti späť s odporúčanými možnosťami pre danú žiadosť. Ak žiadosť spĺňa kritériá, je preposlaná CDF výboru. Štandardný termín na odpoveď je do 10 pracovných dní od prijatia úplnej žiadosti. Ak regionálny výbor zamietne individuálnu žiadosť, musí uviesť dôvod zamietnutia. Žiadosť sa môže znova prehodnotiť, ak sa dodajú nové informácie alebo sa dodajú dôležité informácie, ktoré chýbali pri prvom hodnotení.

Onkologický špecialista môže požiadať regionálneho medicínskeho riaditeľa NHS CB o preskúmanie rozhodnutia regionálneho CDF výboru do 20 pracovných dní od oznámenia rozhodnutia. CDF výbor pre preskúmanie rozhodnutia tvorí regionálny medicínsky riaditeľ alebo nominovaný zástupca, regio-

nálny odborník pre verejné zdravotníctvo a regionálny odborník pre národný program zdravotnej starostlivosti pre onkológiu a krv. Výbor musí rozhodnúť do 5 pracovných dní, či súhlasí s rozhodnutím alebo vracia späť žiadosť do regionálneho CDF výboru (schéma 2).

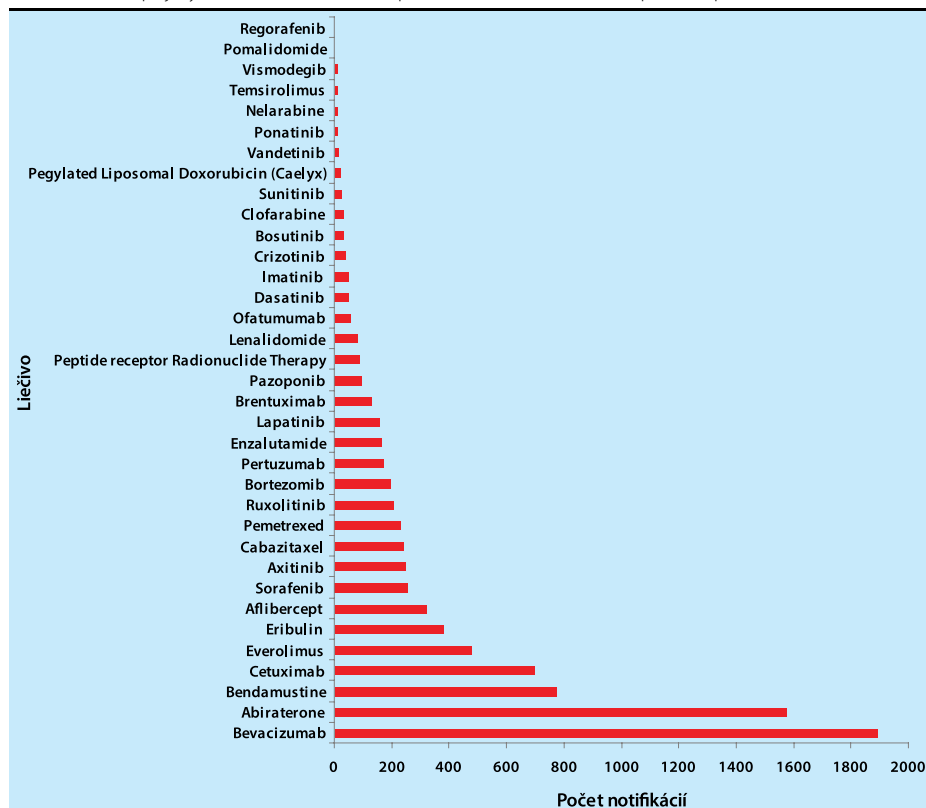
Regionálne výbory CDF poskytujú medzi sebou informácie o individuálnych žiadostiach, čo umožňuje identifikovať potenciálne lieky na zaradenie do národného zoznamu CDF.

Monitorovanie a audit CDF (10, 11)

Všetky 4 regionálne tímy majú spoločnú zodpovednosť za monitorovanie CDF a zasielanie mesačných správ referenčnej klinickej skupiny pre chemoterapiu a NHS CB. Správa musí obsahovať celkový počet žiadostí prijatých za každý mesiac rozdelených podľa liekov, odhadovaný finančný záväzok a celkové vyčerpanie rozpočtu CDF.

Povinnou podmienkou na schválenie úhrady lieku cez CDF je informovať o výsledkoch liečby, aby bolo možné posúdiť dosah uhrádzaných onkologických liekov.

Podľa najaktuálnejšie uverejnenej správy na stránke CDF, od apríla do septembra 2013 bolo prijatých najviac oznámení o úhrade pre bevacizumab (1889 oznámení), ktorý má niekoľko indikácií uhrádzaných cez CDF. Najčastejšou indikáciou bola liečba dospelých pacientov s metastatickým karcinómom hrubého čreva alebo

Graf 1. Počet prijatých oznámení do CDF podľa liečiva za obdobie apríl – september 2013 (10)

konečnika v kombinácii s chemoterapiou v 1. línii (1 098 oznámení). Druhý najčastejšie uhrádzaný liek bol liek s účinnou látkou abiraterón s počtom oznámení 1 571 a tretí bol bendamustín s počtom oznámení 773 (graf 1).

Budúcnosť CDF

V septembri 2013 premiér David Cameron oznámil predĺženie platnosti CDF do roku 2016 s rozpočtom 400 miliónov libier. Dodatočné dva roky CDF umožnia novým pacientom prístup k novej onkologickej liečbe a tým pacientom, ktorí už začali liečbu, pokračovať ďalej v liečbe. Od založenia CDF v roku 2010 do septembra 2013 sa liečilo viac ako 34 000 pacientov (12).

Záver

Bolo by ideálne, keby pacienti v prípade, že nestačia preventívne programy, mali prístup k najlepšej dostupnej liečbe bez ohľadu na typ ochorenia, respektíve miesto bydliska. CDF nepochybne pomáha tisícom pacientov s nádorovým ochorením v Anglicku, aj keď kritici tvrdia, že peniaze vynaložené na lieky nie sú podľa NICE investované nákladovo efektívnejšie a môžu sa použiť na iné terapie alebo na preventívne programy. Aj preto je nepochybne potrebný nový prístup na schvaľovanie úhrady liekov. Pred oznámením predĺženia platnosti CDF sa vkladali veľké nádeje do zavedenia nového spôsobu oceňovania liekov na základe hodnoty (value-based pricing), kto-

ré ministerstvo zdravotníctva plánovalo zaviesť v roku 2014. Táto stratégia by mala byť krokom k zlepšeniu dostupnosti liekov u všetkých pacientov, ale v súčasnosti je ešte obklopená značnou neistotou. Kým NICE v súčasnosti posudzuje lieky na základe pomeru jeho ceny a výhod pre pacienta, oceňovanie na základe hodnoty by zahŕňalo aj ďalšie faktory, akým je spoločenská záťaž ochorenia, či liek rieši dlhodobu nenaplnenú medicínsku potrebu, aký stupeň inovácie liek poskytuje a širšie sociálne benefity, ktoré liek ponúka. NICE by potom mohol komunikovať s výrobcami v rozsahu odhadovanej hodnoty lieku a hradiť liek v rámci Národnej zdravotnej služby (NHS), čo by významne zlepšilo dostupnosť liekov pre pacientov. V nadväznosti na oznámenie o predĺžení platnosti CDF sa neočakáva radikálna zmena celého úhradového systému, ako sa pôvodne predpokladalo. Rokovania o novom systéme však prebiehajú a vláda aj naďalej ráta s uvedením systému oceňovania na základe hodnoty. Možno to však bude „light“ verzia toho, čo bolo pôvodne očakávané. V súčasnosti je stále nejasné, ako bude nový systém fungovať v praxi a či v konečnom dôsledku prinesie tie výhody, ktoré sa od neho očakávajú.

Autori sú zamestnancami spoločnosti Pfizer Luxembourg SARL, o. z. Tento článok obsahuje pohľad samotných autorov a nie spoločnosti Pfizer Luxembourg SARL, o. z., alebo Pfizer Inc.

Literatúra

1. Wilking N, Jonsson B. A pan-European comparison regarding patient access to cancer drugs. Karolinska Institute and Stockholm School of Economics, Sweden [online]. 2005; 1-77. Available from: <http://ki.se/content/1/c4/33/52/Cancer_Report.pdf>. Prístup 8.1.2014
2. Department of Health. A new value-based approach to the pricing of branded medicines – a consultation [online]. 2011; 1-31. Available from: <http://www.dh.gov.uk/en/Consultations/Liveconsultations/DH_122760>. Prístup 8.1.2014.
3. Department of Health. Improving Outcomes: A Strategy for Cancer [online]. 2011;1-101 Available from: <https://www.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/213785/dh_123394.pdf>. Prístup 8.1.2014.
4. NICE database of decisions [online]. June 2010. Available from: <<http://www.nice.org.uk/newsroom/nicestatistics/TA-Decisions.jsp>>. Prístup 8.1.2014.
5. Department of Health. End of Life Care Strategy – Promoting High Quality Care for All Adults at the End of Life.2008.1-171. Available from: <https://www.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/136431/End_of_life_strategy.pdf>. Prístup 8.1.2014.
6. Richards M. Extent and causes of international variations. A report for the Secretary of State for Health [online]. 2010; 1-98. Available from: <https://www.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/216249/dh_117977.pdf>. Prístup 8.1.2014.
7. HM Government. The Coalition: our programme for government [online]. 2010; 1-36. Available from: <https://www.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/78977/coalition_programme_for_government.pdf>. Prístup 8.1.2014.
8. Department of Health. Equity and excellence: Liberating the NHS [online]. 2010; 1-61. Available from: <https://www.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/213823/dh_117794.pdf>. Prístup 8.1.2014.
9. Department of Health. The Cancer Drugs Fund, Guidance to support operation of the Cancer Drugs Fund in 2012-13 [online]. 2012; 1-14. Available from: <https://www.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/216574/dh_133683.pdf>. Prístup 8.1.2014.
10. [online].<<http://www.england.nhs.uk/ourwork/pe/cdf/>>. Prístup 8.1.2014.
11. NHS Commissioning Board, in electronic format only. Standard Operating Procedures: The Cancer Drugs Fund (CDF). Guidance to support operation of the CDF in 2013-14 [online]. 2013; 1-63. Available from: <<http://www.england.nhs.uk/ourwork/pe/cdf/>>. Prístup 8.1.2014.
12. Department of Health and Prime Minister's Office, 10 Downing Street. Thousands of patients to benefit from £400 million cancer package [online]. Updated 28 September 2013. Available from: www.gov.uk/government/news/thousands-of-patients-to-benefit-from-400-million-cancer-package>. Prístup 8.1.2014.

MUDr. Pavol Adamkov
Pfizer Luxembourg SARL, o. z.
Pribinova 25, 811 09 Bratislava
pavol.adamkov@pfizer.com

