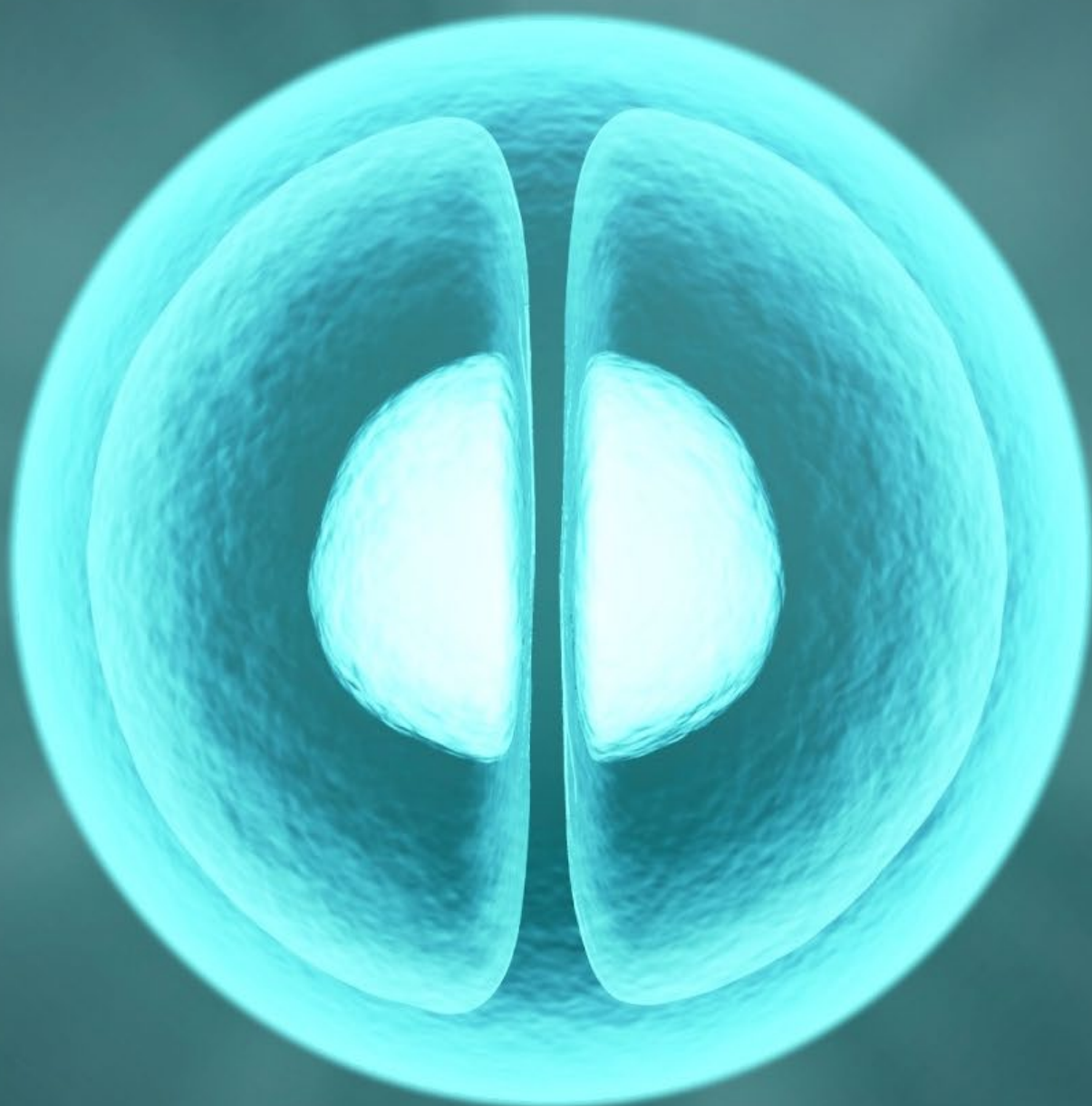


Martin Vlachynský
Matej Bárta

INOVATÍVNE LIEKY POTREBUJÚ INOVATÍVNE FINANCOVANIE



INESS, Bratislava, august 2022

Fotografia na obálke: Pixabay

Obsah

Zhrnutie	1
Lieky budú nákladnejšie	2
Nie kusy, ale hodnota	3
Zmena paradigmy	4
Lieky na splátky	4
All you can treat	6
Nielen tabletky	7
Crowdsourcing alebo spravíme to spolu	7
Hackaton - odmeňovací systém	8
Bez prekážok to nie je	8
Záver a odkaz pre Slovensko	10
O autoroch	11

Zhrnutie

Starnutie obyvateľstva, nové extrémne drahé lieky a rastúce požiadavky pacientov tlačia na nové modely financovania liekov. K „supermarketovým“ úhradovým modelom sa postupne pridávajú modely založené nie na kusoch lieku, ale prinášanej hodnote. Okrem postupne sa šíriacich Managed Entry Agreements sú to aj paradigmaticky nové modely - splátkové (amortizačné) modely, All you can treat („Netflix“) model, bounty (odmeňovací) model, crowdsourcing, či „beyond the pill“ prístup. Všetky tieto prístupy si už zažili svoju premiéru v reálnom svete, no na široké uplatnenie čelia viacerým prekážkam. Napriek tomu sú jasnou súčasťou budúcnosti ekonomiky nových liekov a terapií.

Lieky budú nákladnejšie

Všetci by sme chceli žiť vo svete, v ktorom má každý pacient prístup ku všetkým liekom, ktoré potrebuje, bez ohľadu na ich cenovku. Takýto svet však nikdy neexistoval a ani nikdy existovať nebude. Problém pritom nespočíva v tom, že by sa nedarilo prichádzať s novými a lepšími liekmi – práve naopak, v tomto smere je ľudstvo relatívne úspešné. Problémom sa pri inovatívnych liekoch čoraz častejšie stáva ich cena.

Už v súčasnosti nedokážeme pokryť náklady na všetky lieky pre všetkých, a v budúcnosti sa táto situácia bude len komplikovať. Môžu za to tri faktory:

1. Podiel ľudí, ktorí sú z hľadiska zdravotnej starostlivosti najdrahší¹ (t. j. starých ľudí) bude v celkovej populácii v nasledujúcich dekádach narastať².
2. Mnohé z nových liekov a terapií, ktoré pribúdajú na trhu, sú veľmi drahé; pritom pribúdajú inovatívne lieky, ktoré sú určené na liečbu nielen zriedkavých, ale aj pomerne bežných ochorení. Cenovka v rádoch desiatok či dokonca stoviek tisíc eur za rok liečby jedného pacienta nie je neobvyklá.
3. Zvyšujú sa požiadavky pacientov na efektívnosť nasadenej liečby (napr. kvôli ľahšej dostupnosti informácií a vyššej organizovanosti pacientov).

Existujú nové a účinné lieky, o ktorých ľudia vedia a chcú ich, avšak nachádzanie zdrojov na ich úhradu sa stáva čoraz náročnejším. Relevantnou sa tak stáva diskusia o nových spôsoboch platby za tieto nové lieky. Inovatívne lieky si budú vyžadovať aj inovatívne prístupy k ich financovaniu. Prieskum z roku 2014³ medzi 59 respondentami z farmabiznisu priniesol už vtedy okrem iného aj nasledujúce závery:

- rast cien povedie k novým obchodným stratégiám
- lieky nebudú jediným zdrojom rozdielov medzi farmafirmami
- trhové bariéry vyžadujú od liekov vyššiu pridanú hodnotu
- udržateľnosť biznis modelu „len tabletky“ („pill alone“) je otázna

V hradení liekov a terapií sa postupne objavujú nové teoretické prístupy, ktoré sa postupne prenášajú aj do praxe. V nasledujúcich kapitolách si predstavíme ich základné črty.

1 <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC1361028/>

2 <https://ec.europa.eu/eurostat/documents/12743486/14207633/SK-EN.pdf>

3 <https://www.executiveinsight.ch/application/files/4715/2101/8274/5-beyondthepill.pdf>

Nie kusy, ale hodnota

Najtradičnejší model úhrad liekov je „supermarketový“ model, v ktorom sa vyjednáva cena za „krabičku“ (dávk) lieku na základe prekonania nejakej reguláciou určenej prahovej hodnoty, väčšinou vyjadrenej v ocenení QALY (quality-adjusted life year - prínos lieku v podobe dodatočných rokov kvalitného života). Cena lieku teda spočíva v cene dodatočných rokov kvalitného života získaného liekom oproti existujúcej liečbe pôvodným liekom. Problémom v tomto modeli je neistota prínosov (koľko rokov dodatočného kvalitného života liek prinesie?) a ťažká porovnateľnosť s existujúcou liečbou, najmä ak nastáva veľký skok v liečbe, prípadne liečba neexistovala. Súčasný trend je preto postupný posun k nakupovaniu liekov na základe skutočnej hodnoty, ktorú liek prinesie („value-based“ modely). Hlavnou myšlienkou tohto prístupu je, že kupujúci platí len za skutočne obdržanú hodnotu, ktorú mu liek prinesie.

Tento posun je vo svete najviac reprezentovaný používaním tzv. Managed Entry Agreements, teda podmienenými dohodami o vstupe liekov do systému úhrad zo zdravotného poistenia.

Najčastejším podtypom sú modely, ktoré sa snažia o zmiernenie finančného rizika spojeného s výdavkovou neistotou pre platcu v systéme verejného zdravotného poistenia (typicky zdravotná poisťovňa alebo štát). Takéto modely sa primárne zameriavajú na začlenenie inovatívnych finančných mechanizmov do zmlúv uzavretých medzi výrobcom lieku a platcom. Tieto mechanizmy sú potenciálne prospešné pre obe strany, keďže znižujú finančné náklady znášané platcom, a zároveň umožňujú výrobcovi lieku odlíšiť sa od konkurencie a stať sa pre platcu atraktívnejším. Príkladom takéhoto mechanizmu je napríklad⁴ nastavenie limitu na výdavky. Výrobca lieku a platca sa dohodnú na platbe za špecifický liek vo vopred stanovenej výške a za vopred stanovené obdobie, a ak sú skutočné náklady vyššie, všetky náklady prekračujúce túto hranicu uhradza výrobca lieku. Napríklad americký štát Louisiana sa dohodol⁵ s výrobcom liekov Asequa Therapeutics na strope výdavkov v programe Medicaid pre väzenskú populáciu za ich liek Eplusa určený na liečbu hepatitídy typu C. V rámci tejto dohody je nastavený ročný výdavkový strop, po dosiahnutí ktorého výrobca uhradza náklady na všetky ďalšie lieky. Výmenou za tento výdavkový strop sa Eplusa stala jediným preferovaným liekom v liekovom formulári Medicaid.

Na podobnom princípe bola v roku 2008 na základe vtedy dostupných poznatkov a dôkazov nastavená dohoda⁶ medzi britským Národným ústavom pre klinickú excelenciu (NICE) a farmaceutickou firmou Novartis. Novartis sa vďaka tejto dohode stal dodávateľom lieku Lucentis, ktorý lieči vlhkú formu makulárnej degenerácie (ochorenie postihujúce sietnicu oka). Súčasťou dohody bol limit na maximálny počet injekcií na jedno oko (14), ktoré boli financované cez britský štátny zdravotnícky systém (NHS). Ak liečba presiahla 14 injekcií, všetky ďalšie injekcie boli „na účet“ Novartisu. Tento model fungoval až do roku 2012, kedy NHS s firmou Novartis uzavrel dôvernú dohodu⁷ o nákupe Lucentisu za bližšie nešpecifikovanú čiastku. Tieto dohody sa niekedy objavujú aj ako príklad tzv. „Netflix modelu“, ktorý spomenieme nižšie.

V prípade performance-based modelov sú náklady na lieky taktiež (čiastočne) uhrádzané výrobcom (oproti „supermarketovej“ cene), avšak určujúce kritérium nie je finančné, ale zdravotné. Ak napríklad pacient na liečbu nezareaguje (prípadne zareaguje len do istej miery, alebo sa uňho prejaví vedľajšie účinky), náklady na liek znáša výrobca. Na tomto princípe funguje napríklad zmluva⁸ o lieku Symbicort (určenom na liečbu astmy) uzatvorená medzi firmou AstraZeneca, ktorá liek vyrába, a poskytovateľom zdravotných služieb Harvard Pilgrim. Podľa tejto zmluvy cena Symbicortu závisí od toho, či astmatické symptómy

4 <https://www.pharmexec.com/view/value-risk-and-reward-taking-stock-of-value-based-contracts-in-pharma>

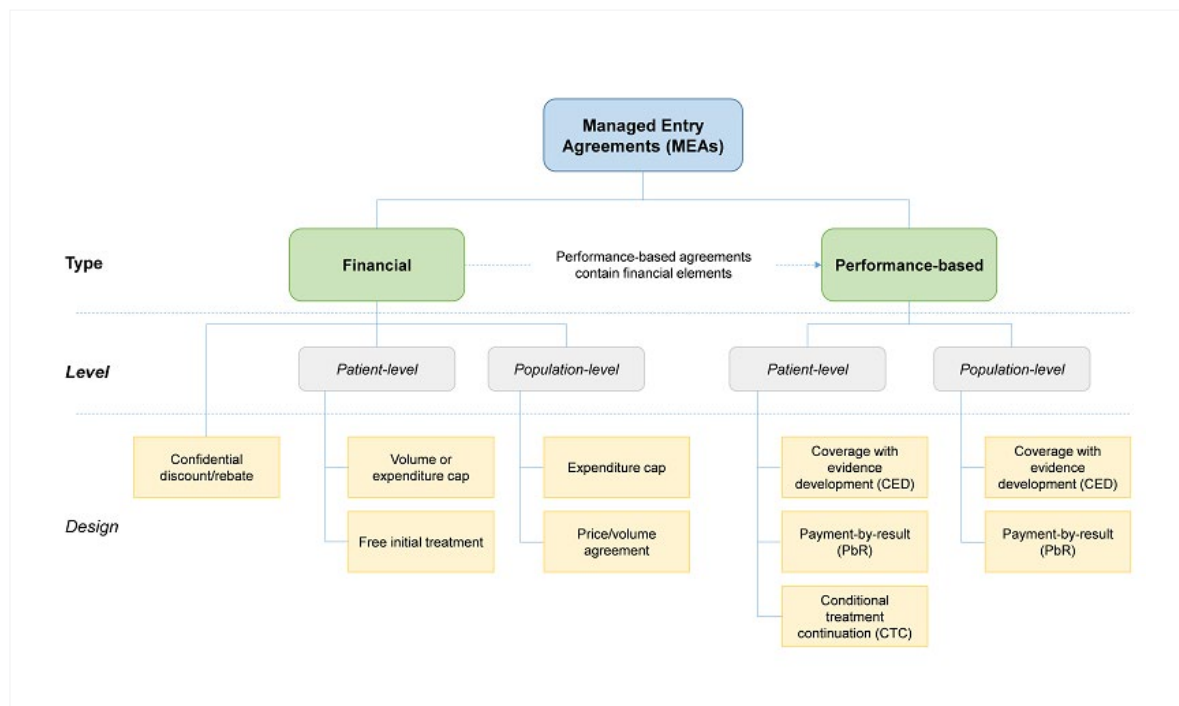
5 https://www.hhs.gov/sites/default/files/HCV_Affinity_Group_LA_Case_Study.pdf

6 <https://www.reuters.com/article/novartis-lucentis-idUSLQ43255720080826>

7 <https://www.hmpgloballearningnetwork.com/site/jcp/article/use-risk-sharing-agreements-manage-costs-mitigate-risk-and-improve-value-pharmaceutical>

8 <https://www.healthcarefinancenews.com/news/harvard-pilgrim-and-astrazeneca-sign-contract-pays-less-if-symbicort-doesnt-work-it-should>

u pacientov užívajúcich Symbicort zodpovedajú výsledkom klinických štúdií firmy AstraZeneca. Ak skutočné výsledky pacientov budú horšie, ako sa predpokladalo (resp. ak nezrovnalosti medzi výsledkami prekročia istú vopred dohodnutú hranicu), AstraZeneca bude spoločnosti Harvard Pilgrim účtovať za Symbicort nižšiu sumu. Podobnú zmluvu⁹ uzavrela spoločnosť Harvard Pilgrim aj s firmou Spark Therapeutics.



Zdroj: OECD¹⁰

Zmena paradigmy

Nakupovanie hodnoty miesto množstva má potenciál pomôcť zdravotným rozpočtom. Avšak aj Managed Entry Agreements sú skôr len variáciou na existujúce regulačné pravidlá na vstup nových liekov do „supermarketového“ systému a majú svoje limity. Nepomáhajú zlepšiť situácie, keď aj pri zohľadnení skutočnej hodnoty, ktorú liek prinesie, je jeho cena stále vysoká. Nasledujúce odstavce sa preto venujú inovatívnym úhradovým modelom, ktoré menia paradigmu finančného vzťahu medzi predajcom lieku a kupujúcim.

Lieky na splátky

Firma PricewaterhouseCoopers v roku 2019 zverejnila publikáciu¹¹, v ktorej zhŕňala zistenia z 2 prieskumov (jeden prieskum bol globálny, jeden bol vykonaný v Spojených štátoch) medzi vedúcimi pracovníkmi v oblasti biofarmácie. Okrem princípu „value-based“ nákupov popisuje aj modely, ktoré majú uľahčiť priamo financovanie liekov. Jedným z takýchto modelov je tzv. „splátkový model.“ Môžeme ho prípadne nazvať model „amortizačný“¹².

Už z názvu vyplýva, že tento model umožňuje pacientom (respektíve platcom, napr. poisťovniam) rozložiť platbu za drahú liečbu na určité časové obdobie, miesto jednorazovej platby vopred. Týmto spôsobom

9 https://www.harvardpilgrim.org/public/news-detail?nt=HPH_News_C&nid=1471914707173

10 <https://www.oecd.org/health/health-systems/pharma-managed-entry-agreements.htm>

11 <https://www.pwc.com/us/en/industries/health-industries/library/6-drug-pricing-models.html>

12 https://www.aei.org/wp-content/uploads/2014/07/-establishing-new-payment-provisions-for-the-high-cost-of-curing-disease_154058134931.pdf

sa výrazne zvyšuje dostupnosť liekov pre platcov, ktorí nemajú k dispozícii dostatok finančných prostriedkov na to, aby vysokú cenu zaplatili naraz. Približne 50 % respondentov v prieskumoch PwC uviedlo, že ich organizácia využíva splátkový model.

Jednotlivé modely môžu byť aj navzájom kombinované. Liek môže byť nakúpený na splátky, ale zároveň jeho hradenie zo strany kupujúceho bude podmienené istými finančnými a/alebo zdravotnými kritériami. Jednu verziu takéhoto „mixu“ vo svojej štúdií¹³ popisuje tím okolo ekonóma Richarda Edlina. Splátkový model kombinujú s value-based modelom na základe zdravotných výsledkov. Okrem zmiernenia hotovostného šoku spôsobeného nákupom drahého lieku tak zmierňujú aj finančné riziko spojené s neistotou prínosu konkrétneho inovatívneho lieku.

Edlin a jeho kolegovia vychádzajú z premisy, že inovatívne lieky sú lieky, ku ktorým máme obmedzené množstvo dát. Z toho vyplýva, že si nemôžeme byť istí ohľadom skutočných benefitov, ktoré nám nasadenie lieku prinesie. Pri v súčasnosti zaužívanom modeli „pay-per-pill“ (platba za pilulku, supermarketový model) sa riziko v momente predaja liekov presúva z výrobcu na kupujúceho. Zvýšená miera neistoty však môže pôsobiť ako bariéra k trhovému prijatiu lieku, alebo naopak môže viesť k neadekvátnym nákladom pre kupujúceho.

Edlinov model sa pokúša tento problém riešiť. V štúdií z roku 2014 predstavujú tzv. „stratégiu úhrady technológií na lízing“ („technology leasing reimbursement strategy“ – TLRS), pri aplikácii ktorej sa riziko zdieľa medzi výrobcom a kupujúcim. Ak liek pri určitej cene prejde posúdením nákladovej efektívnosti, jeho cena je rozložená na obdobie, počas ktorého sa očakáva, že pacient z lieku bude benefitovať. Ak liek nenaplní vopred určené kritériá efektívnosti, platby sa zastavia. Ak naopak liek bude účinnejší, než sa pôvodne predpokladalo, výrobca zaň dostane zaplatené viac.

Ak by napríklad cena lieku na základe posúdenia nákladovej efektívnosti bola nastavená na 200 000 €, a predpokladá sa priemerná doba prežitia 10 rokov bez relapsu, cena jedného „zdravého roku“ je 20 000 €. Túto sumu by platca platil raz ročne. Ak by k relapsu prišlo skôr než po 10 rokoch, platby by sa zastavili. Ak by, naopak, pacient ostal zdravý aj po horizonte 10 rokov, naďalej by platca platil ročnú „splátku“ 20 000 € až do určitého zmluvného momentu. Týmto spôsobom sa prepája liečba a zdravie pacienta a chráni sa rozpočet pred neefektívnymi výdavkami. Jedná sa vlastne o spojenie výkonnostnej MEA so splátkovým modelom.

Vedľajším benefitom takéhoto modelu je v niektorých poisťných systémoch aj zdieľanie nákladov medzi platcami, najmä pri jednorazovej liečbe. Napríklad v slovenskej realite poisťovňa jednorazovo uhradí drahú liečbu, pacient po roku môže poisťovňu zmeniť, no náklad ostal v tej pôvodnej. V prípade „splátkového“ modelu by pacient do novej poisťovne prišiel aj s časťou nákladov. Môžeme zmieniť aj menšie politické riziko takéhoto modelu. V prípade výkonnostných MEA (s kompletnou platbou vopred a následným rabatom v prípade zlého výsledku) sa stáva, že napriek horším výsledkom liek na trhu ostane kvôli tlaku pacientov, alebo pre neschopnosť regulátora spraviť spätné vyhodnotenie. Pokiaľ sú platby priamo podmienené výsledkom, toto riziko sa znižuje.

Konkrétnym príkladom splátkového modelu je ponuka spoločnosti Bluebird predávať génovú terapiu Zynteglo (určenú na liečbu zriedkavého ochorenia krvi) na 5 splátok. Okrem úvodnej splátky by podmienkou ďalších 4 splátok bolo, či sa pacient zaobíde bez transfúzií (ktoré sú štandardnou liečbou). S celkovou cenovkou skoro 1,8 milióna eur sa Zynteglu nepodarilo preraziť na trhu v EÚ (nemecká hranica bola 630 000 eur¹⁴), čo spoločnosť Bluebird priviedlo až k finančným problémom. V máji 2022 však Zynteglu dal zelenú¹⁵ americký ICER (Inštitút na hodnotenie farmakoekonomickej efektívnosti), aj vďaka

13 <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1098301514000187>

14 <https://www.fiercepharma.com/pharma/unfinished-business-bluebird-bio-ceo-wants-zynteglo-back-european-market>

15 <https://www.forbes.com/sites/joshuacohen/2022/05/05/icers-favorable-assessment-of-bluebird-bios-gene-therapy-zynteglo-may-have-important-pricing-and-reimbursement-implications/?sh=5958e9477441>

prihliadnutiu na splátkový model. Terapia tam však ešte čaká na finálny verdikt FDA¹⁶. Britský NICE (Národný ústav pre klinickú excelenciu, posudzujúci efektívnosť liekov v UK) Zynteglo v roku 2021 odmietol¹⁷ pre nedostatočné preukázanie klinických efektov a vysokú cenu. V rôznej fáze nasadenia sú podobné podmienené splátkové schémy, napríklad pri gébovej terapii Luxturna¹⁸ na zvrátenie genetického poškodenia zraku (s cenou skoro 900 000 dolárov), kedy by k prehodnoteniu kvality zraku malo prísť po 30 dňoch a potom po 3 rokoch.

All you can treat

Okrem splátkového modelu publikácia od PwC spomína aj tzv. model „all you can treat“ („vylieč čo môžeš“), niekedy v literatúre nazývaný aj „Netflix model“¹⁹ podľa známeho inovatívneho poskytovateľa filmovej a seriálovej zábavy. Ide o poskytovanie neobmedzeného prístupu k definovanej starostlivosti (napríklad v podobe lieku) počas určitého obdobia a za vopred stanovenú sumu pre dohodnutú populáciu pacientov. Jedno z prvých využití tohto modelu bolo v Austrálii²⁰ v roku 2015, keď austrálska vláda prostredníctvom jednorazovej platby vo výške približne 766 miliónov dolárov kúpila „predplatné“ liekov pre pacientov s hepatítidou typu C na dobu 5 rokov. Podľa štúdie²¹ uverejnenej v časopise New England Journal of Medicine sa týmto krokom náklady na liečbu jedného pacienta znížili o približne 85 %.

Netflix model samozrejme nemusí byť uplatnený len pri nákupe drahých inovatívnych liekov. Napríklad NICE v apríli 2022 schválil²² nákup dvoch nových antibiotík (Zavicefta od firmy Pfizer a Fetcroja od firmy Shionogi) prostredníctvom modelu „netflixového“ predplatného. Po uzavretí zmluvy bude mať po obdobie nasledujúcich 10 rokov NHS (britský štátny zdravotnícky systém) za ročnú platbu 10 miliónov libier neobmedzený prístup k týmto dvom liekom. Spojené kráľovstvo túto iniciatívu spustilo v snahe motivovať farmaceutické firmy k výskumu nových antibiotík. Ide totiž o oblasť, od výskumu ktorej výrobcovia liekov postupne upúšťajú²³.

Pod „Netflix“ modelom väčšinou myslíme zakúpenie licencie na liek/liečbu pre celú (potenciálnu) populáciu pacientov²⁴. Takýto prístup umožňuje platcovi jasne určiť celkový náklad na terapiu (môže sa rovnať napríklad doterajším nákladom, nákladom alternatívnej liečby, spoločenským nákladom choroby...) a liečbou pokryť celú spolupracujúcu populáciu. Pre výrobcu predstavuje veľmi jasnú kapitalizáciu („dividendu“) produktu u daného klienta na roky dopredu.

Iným príkladom je predplatné na úrovni jednotlivca – napríklad program Insulins Valyou Savings Program²⁵, ktorý v roku 2019 spustil koncern Sanofi. Ponúka americkým diabetikom – samoplatcom za 99-dolárový mesačný poplatok prístup k 10 baleniam inzulínových pier a štyrom druhom inzulínu zo svojho portfólia.

Terminologická hranica medzi finančným MEA (výdavkový strop) a „Netflix“ modelom je hmlistá (niektoré zdroje²⁶ zaraďujú pod „Netflix“ model aj louisianskú dohodu z kapitoly vyššie). Rozdielom je hlavne to, či sa platby postupne kumulujú až po strop, alebo sa od úplného začiatku jedná o jediný poplatok. Na popularizačné účely však nie je až také podstatné strácať sa v definovaní terminológie. Pointa modelu ostáva zjavná.

16 <https://www.biopharma-reporter.com/Article/2022/06/13/FDA-advisory-vote-is-boost-for-bluebird-bio>

17 <https://www.nice.org.uk/guidance/GID-TA10334/documents/129>

18 <https://www.fiercepharma.com/financials/payers-point-to-spark-s-gene-therapy-as-a-model-for-innovative-pricing-plans>

19 <https://www.pwc.com/us/en/industries/health-industries/health-research-institute/assets/pwc-2019-us-health-drug-pricing-digital.pdf>

20 <https://healthpolicy-watch.news/netflix-pricing-model-eases-australians-access-to-expensive-hepatitis-c-drugs/>

21 <https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMp1813728>

22 <https://pharmaphorum.com/news/uk-launches-its-netflix-style-payment-model-for-antibiotics/>

23 <https://pharmaphorum.com/news/as-rd-shrinks-uk-trials-new-payment-scheme-for-antibiotics/>

24 <https://globalhealthsciences.ucsf.edu/sites/globalhealthsciences.ucsf.edu/files/jean-manuel-izaret.pdf>

25 <https://www.admelog.com/savings>

26 <https://clarivate.com/blog/will-netflix-style-payment-models-new-norm-high-cost-drugs/>

Nielen tabletky

Inovatívne lieky sú často spojené s ťažkými zdravotnými stavmi, ktoré si vyžadujú celý komplex služieb pre pacienta, ako je napríklad rehabilitácia. Samotné podanie inovatívneho lieku je niekedy pomerne zložité. Napríklad Spinrazu (liek proti spinálnej muskulárnej atrofii) je nutné podať injekčne do mozgomiešneho moku, pri pokročilej chorobe je pre deformáciu chrbtice niekedy nutné pri podávaní použiť rádionavigáciu. Súčasťou ponúkaného balíka služieb spojených s liekom tak môže byť napríklad aj tréning zdravotníkov. Ďalšími alternatívami sú služby na zvyšovanie adherencie pacientov k liečbe, napríklad v podobe couchingu. Príkladom je služba²⁷ „personalizovaného behaviorálneho psychologického prístupu“ pripravená organizáciou Cecelia Health pre farmaceutického klienta, v rámci ktorej boli diabetici s novým liekom telefonicky usmerňovaní ku správnej liečbe (a niektorí k tomu, aby lieky vôbec začali brať...).

Takéto ponímanie liekov ako súčasti komplexnej služby od jedného dodávateľa stiera hranice medzi farmafirmou a poskytovateľom zdravotnej starostlivosti. Zároveň otvára dvere k rozsiahlej spolupráci s technologickými spoločnosťami schopnými pracovať s enormným množstvom dát (à la Alphabet) a retailovými spoločnosťami (à la Amazon), schopnými vytvárať dlhodobý vzťah so spotrebiteľom. Nie je náhoda, že tieto spoločnosti v ostatných rokoch investujú desiatky miliárd dolárov do svojich medicínskych odnoží a produktov.

Crowdsourcing alebo spravíme to spolu

Doterajšie príklady sa primárne zaoberali vzťahom výrobca lieku - platca. Na zvýšenie dostupnosti liekov je však možné pracovať aj na úrovni vývoja. Ak je možné získať kapitál na vývoj inak ako predajom liekov, výsledný liek je možné predávať za nižšiu cenu. Hovoríme tu o „crowdsourcingu“ výskumu, teda otvorenej spolupráci výskumníkov. Jedna cesta je budovanie otvorenej databázy vedomostí, napríklad z oblasti genetiky. Tá môže slúžiť ako odrazový mostík pre ďalší vývoj. Medzi prvé farmalastovičky patrí napríklad *Structural Genomics Consortium*²⁸, verejno-súkromné partnerstvo zamerané na verejne prístupný výskum funkcie a vplyvu ľudských proteínov na choroby, založené v roku 2004.

Inou cestou je otvorený prístup ku korporátnym zdrojom (väčšinou analytickým nástrojom a databázam) veľkých farmafiriem s cieľom overovania a generovania nových objavov. Napríklad v roku 2014 americká spoločnosť Eli Lilly spustila *Open Innovation Drug Discovery*²⁹ (OIDD), v rámci ktorého externým výskumníkom umožňuje prístup k svojim analytickým nástrojom. V rámci tohto programu boli analyzované už desiatky tisíc zlúčenín³⁰. Výskumník sa následne môže rozhodnúť, či bude s perspektívnym objavom pokračovať s podporou EL, alebo s iným partnerom. Iným príkladom je *Drugs for Neglected Diseases Initiative*³¹ (DNDi), nezisková organizácia zameraná na zlepšenie liečby viacerých tropických chorôb (leishmanióza, ale aj hepatitída C alebo malária). V projekte *NTD Drug Discovery Booster*³² spolupracuje so šiestimi veľkými farmafirmami, ktorým pošle nádejnú vytipovanú zlúčeninu, ktorú jej poskytnú výskumníci. Farma spoločnosti ju porovnajú so svojimi databázami zlúčenín, vyberú prípadnú lepšiu alternatívu na základe spoločných charakteristík a pošlú nazad. DNDi získané zlúčeniny vyhodnotí a opäť pošle farmaspoločnostiam. V prípade dosiahnutia použiteľného výsledku tento nie je patentovo chránený.

27 <https://www.ceceliahealth.com/wp-content/uploads/2021/02/Cecelia-Health-Demonstrating-Value-Beyond-the-Pill-and-the-Injectable.pdf>

28 https://en.wikipedia.org/wiki/Structural_Genomics_Consortium

29 <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/24283973/>

30 https://www.oxfordmartin.ox.ac.uk/downloads/academic/Transforming_Drug_Discovery.pdf

31 <https://dndi.org/>

32 https://dndi.org/wp-content/uploads/2016/08/DNDi_AR_2015_2.pdf

Hackaton - odmeňovací systém

Asi najmenej v praxi preskúmaným návrhom je model odmeňovania výrobcov liekov za dosiahnutie globálneho cieľa. Dochádza pri ňom k ex-post finančnej transakcii, ktorej výška závisí od naplnenia vopred dohodnutých kritérií. Jedným z projektov, ktorý sa usiluje o zavedenie tohto modelu, je tzv. Health Impact Fund³³ (HIF). Ide o iniciatívu filozofa Thomasa Pogga a ekonóma Aidana Hollisa, ktorej cieľom je zriadenie fondu na hradenie finančne náročných liekov. Projekt je založený na myšlienke medzinárodného fondu, ktorý by bol financovaný prostredníctvom príspevkov štátov, charity a filantropie. Vybierané finančné zdroje by HIF použil ako „ceny do súťaže“ („bounty“) vyhlásenej pre výrobcov liekov. Istým spôsobom sa to podobá princípom „hackatonov“, používaných najmä v IT.

Organizátori takejto „súťaže“³⁴ by monitorovali zdravotné výsledky (merané napr. v dosiahnutých QALY) doručené jednotlivými výrobcami liekov počas istého časového obdobia, pričom samotné posudzovanie by sa dialo v určitých intervaloch. V prípade dostatočne robustných pozitívnych výsledkov by vyplácanie finančnej odmeny mohlo začať už počas trvania súťaže, pričom by mohlo byť spojené s rôznymi podmienkami (napríklad že počas trvania súťaže môže byť vyplatené len isté percento z celkového fondu). Po uplynutí súťaže by potom boli výrobcami liekov vyplatené zostávajúce finančné prostriedky podľa dosiahnutých zdravotných výsledkov (napríklad viac dosiahnutých QALY by bolo odmenených väčšou odmenou). Aj v tomto prípade je možné nastaviť rôzne podmienky, napríklad maximálnu cenu, ktorú je možné vyplatiť za jeden získaný QALY.

Cieľom Pogga a Hollisa je použiť systém „platby za výsledok“ na motivovanie farmaceutických firiem k výskumu liekov určených na liečbu chorôb, ktoré postihujú hlavne chudobné komunity (napr. ebola, horúčka dengue a pod.). Takáto incentíva podľa nich v súčasnosti chýba, keďže finančná sila postihnutých komunit je nízka, v dôsledku čoho nepredstavujú pre výrobcov liekov atraktívnu obchodnú príležitosť.

V prípade liekov a terapií sa momentálne jedná skôr o teoretický koncept. Bounty programy sú však v zdravotníctve bežné vo svojej pôvodnej podobe – ako verejné výzvy na hľadanie slabín medicínskeho softwaru a databáz.

Bez prekážok to nie je

Prezentované modely znejú na papieri výborne. No ich rozšíreniu bráni viacero prekážok. Začať môžeme tým, že prakticky pre všetky inovatívne modely platenia za lieky sú kľúčové dáta. Ide pritom nielen o dáta poskytnuté zo strany výrobcu lieku (napr. výsledky klinických štúdií), ale aj dáta patientske a dáta populačné (náklady chorôb). Keď chceme aplikovať model založený na dosiahnutých zdravotných výsledkoch, musíme želané výsledky nielen vopred špecifikovať, ale aj byť schopní monitorovať dopad liekov na pacientovo zdravie – a odhadnúť náklady, ktorým sa podarí predísť.

Nejde pritom o triviálnu úlohu. Bližšie sa problémom spojeným s dátami v zdravotníctve venujeme v publikácii *Dáta v globálnom zdravotníctve*³⁵, v krátkosti však zber a využívanie dát v zdravotníctve môže byť problematické kvôli:

- rôznorodosti dát,
- ľudskému faktoru pri zbere a využívaní dát,
- nedostatku ľudského kapitálu,
- regulačným požiadavkám spojeným s dátami.

33 <https://healthimpactfund.org/en/>

34 https://healthimpactfund.org/pdf/HIF_pilot_proposal_2021_04.pdf

35 https://iness.sk/sites/default/files/documents/pdf/INT/2022/data_v_globalnom_zdravotnictve.pdf

Ak by sme sa aj na dáta vedeli stopercentne spoľahnúť, stále nám ostávajú mnohé iné výzvy. Jednou z nich je napríklad vybudovanie dátovej infraštruktúry - od zberu dát (mnohé dáta by museli byť reportované pacientmi a lekármi, čo prináša výzvy či už na úrovni motivácie alebo na úrovni schopností) až po ich uskladňovanie alebo využívanie. Vytvorenie systémov pre spracovávanie dát a registrov na ich skladovanie je totiž finančne náročné.

Výzvy spojené s inovatívnymi modelmi uhrádzania liekov však idú aj za hranicu dát. Problematické je napríklad aj nastavenie rozhodovacích kritérií. V prípade väčšiny liekov totiž nejde o binárne posudzovanie v zmysle „prežije-neprežije,“ prípadne „uzdraví sa-neuzdraví sa.“ Uzdravenie totiž môže vyzeráť rôzne - ako rýchlo sa uzdraví? Kedy už môžeme pacienta považovať za uzdraveného? Bude po uzdravení žiť plnohodnotný život? Čo vlastne rozumieme pod pojmom „plnohodnotný život“? Pri niektorých diagnózach je na takéto otázky jednoduchšie³⁶ odpovedať než pri iných. Napríklad pri hepatitíde typu C a rôznych typoch rakoviny je relatívne jednoduché identifikovať populáciu pacientov a určiť klinické cieľové ukazovatele. Naopak, pri diagnózach, akými sú depresie a migrény, je nájsť odpovede na takéto otázky oveľa zložitejšie, v dôsledku čoho je zložitejšie aj zavedenie inovatívnych modelov úhrady liekov určených na liečbu týchto diagnóz.

A zabúdať netreba ani na politické výzvy spojené s posudzovaním hodnoty, ktorú nové lieky prinesú. Ak nový liek napríklad nepomôže dostatočnému počtu ľudí na to, aby bol uhrádzaný, bude existovať politický kapitál na odmietnutie tohto lieku napriek tomu, že niektorým pacientom pomôcť mohol? To všetko sú otázky relevantné pre implementáciu väčšiny z týchto nových modelov, avšak na málo z nich máme definitívnu odpoveď. Príklady z tohto textu sú inšpirujúce, no aj tu platí, že každý treba dôsledne analyzovať. Napríklad pri „louisianskom“ prípade zastropovanej liečby hepatitídy C sa môžeme dopátrať³⁷ k zisteniu, že významnejšou motiváciou na jej zavedenie možno boli skôr regulačné obmedzenia pri obstarávaní liekov, ako finančné úspory.

Dr. Ram Mishra z Indence Health pri „Netflix“ modeli spomína tri podmienky³⁸ na jeho úspešnosť:

- 1) dobrý prehľad platcov o potenciálnych pacientoch (na udržanie nákladovej efektívnosti)
- 2) holistický prístup (cieľom má byť znížiť dopady choroby na spoločnosť, nie zabezpečiť kvantitu liekov)
- 3) transparentnú súťaž s ponukami programov

Pri splátkových modeloch akademici zase upozorňujú na fakt³⁹, že jednoduché rozloženie splátok má efekt na cash flow, ale nemení efekt celkových nákladov terapie. Významným benefitom je až zapojenie priebežného vyhodnocovania efektívnosti terapie. Pre vyššiu dostupnosť nových liekov preto treba pracovať aj na ďalších cestách, ktorými sú napríklad efektívnejšie klinické skúšanie či nastavenie zákonov na duševné vlastníctvo.

36 <https://www.mckinsey.com/industries/life-sciences/our-insights/innovative-pharma-contracts-when-do-value-based-arrangements-work>

37 <https://www.healthaffairs.org/doi/10.1377/forefront.20200629.430545/full/>

38 <https://www.linkedin.com/pulse/netflix-model-drug-pricing-ram-kumar-mishra-ph-d-/>

39 <https://www.medrxiv.org/content/10.1101/2021.04.16.21255597v2.full.pdf>

Záver a odkaz pre Slovensko

Technologický pokrok nám priniesol mnoho dobrého, vrátane liekov na liečbu čoraz väčšieho počtu chorôb. Mnoho z týchto nových liekov však prichádza s vysokou cenovkou, ktorá predstavuje výraznú záťaž či už pre rozpočet jednotlivca, alebo štátu. V kombinácii so starnutím populácie a zvyšovaním požiadaviek pacientov vytvárajú inovatívne lieky potrebu prísť s novými spôsobmi platieb.

Tento text predstavil niekoľko inovatívnych prístupov k uhrádzaniu nákladov na lieky. Napriek potenciálu, ktorý do budúcnosti majú, sú s nimi spojené aj značné výzvy. Okrem technologických výziev spojených s dátami a metodológiou posudzovania hodnoty, ktorú liek prináša, ide aj o politickú vôľu prijímať rozhodnutia, ktoré možno nebudú populárne z krátkodobého hľadiska, avšak sú nevyhnutné pre dlhodobú udržateľnosť liekovej politiky.

Väčšina z popísaných inovatívnych modelov začala svoju púť v USA. Môžeme sa uspokojiť tým, že je to dôsledok viac než trojbiliónového zdravotníckeho trhu, líderstva vo farmaceutickom priemysle a v inovatívnom zdravotníctve ako takom - a pre malé krajiny ako Slovensko ostáva len čakať v závetrí. No pri bližšom pohľade neraz vidíme, že k inovatívnym dohodám prišlo na relatívne malých trhoch - Louisiana má menej obyvateľov ako Slovensko, Harvard Pilgrim pokrýva iba Nové Anglicko a má len tri milióny klientov. Práve naopak, pilotné projekty sa jednoduchšie testujú na menších trhoch, kde je riziko zlyhania menej nákladné. Dôležitejšia ako veľkosť sa preto ukazuje vysoká konkurencia a zmluvná sloboda. Na týchto aspektoch je možné popracovať aj na Slovensku.

O autoroch



Martin Vlachynský pôsobí ako analytik INESS od roku 2012. Vyštudoval na Ekonomicko-správni fakulte MU v Brne, následne absolvoval štúdium na University of Aberdeen. Zaoberá sa hospodárskou politikou, podnikateľským prostredím a konkurencieschopnosťou, najmä v zdravotníctve a energetike.



Matej Bárta študuje politológiu na University of Amsterdam, v INESS pracuje ako junior analytik a venuje sa najmä oblastiam energetiky a zdravotníctva.

Činnosť INESS podporili aj zdravotné poisťovne Dôvera a Union.

Vydal: INESS - Inštitút ekonomických a spoločenských analýz
www.iness.sk

Autori: Martin Vlachynský, Matej Bárta

Grafický dizajn: INESS

Rok vydania: 2022

Kontakt:

Martin Vlachynský
martin.vlachynsky@iness.sk

Matej Bárta
matej.barta@iness.sk

Ďalšie publikácie z oblasti zdravotníctva

Tieto a aj všetky ostatné publikácie nájdete vo formáte PDF na webe iness.sk v sekcii Publikácie.

