



VSTUP VYSOCE INOVATIVNÍCH LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ NA TRH

PharmDr. Zdeněk Blahuta

Státní ústav pro kontrolu léčiv

Registrace VILP

- ☉ Každý LP musí být před stanovením ceny a uvedením na trh registrován
- ☉ VILP – centralizovaná registrace
- ☉ Procedury umožňující zrychlený proces registrace – kratší termíny pro hodnocení
- ☉ Rovnováha mezi dostupnými údaji o účinnosti/bezpečnosti/kvalitě LP a potřebou inovativního LP pro pacienty

Registrace VILP

- 👁 Postupy často využívané pro VILP:
- 👁 Podmíněná registrace
- 👁 Registrace za zvláštních podmínek
- 👁 Velmi pečlivé sledování po uvedení na trh v rámci plánu pro řízení rizik
 - Povinnost provést další KH
 - Registry pacientů
 - Velmi časté pravidelné vyhodnocování nově získaných informací o bezpečnosti a účinnosti
- 👁 Po uvedení na trh je při sběru informací klíčová spolupráce zdravotnických pracovníků

Cíl: Maximální pozitivní přínos VILP pro veřejné zdraví

Hodnocení nových léčivých přípravků pro stanovení úhrady - požadavky zákona č. 48/1997 Sb.

Hodnotí se vždy:

- 👁 Terapeutická účinnost a bezpečnost (hodnotí se velikost celkového přínosu v léčbě onemocnění)
- 👁 Nahraditelnost jiným hrazeným přípravkem včetně porovnání nákladů
- 👁 Doporučené postupy odborných institucí a odborníků – postavení v klinické praxi
- 👁 Obvyklé dávkování, nezbytná délka léčby
- 👁 Cesta podání, léková forma, síla a velikost balení



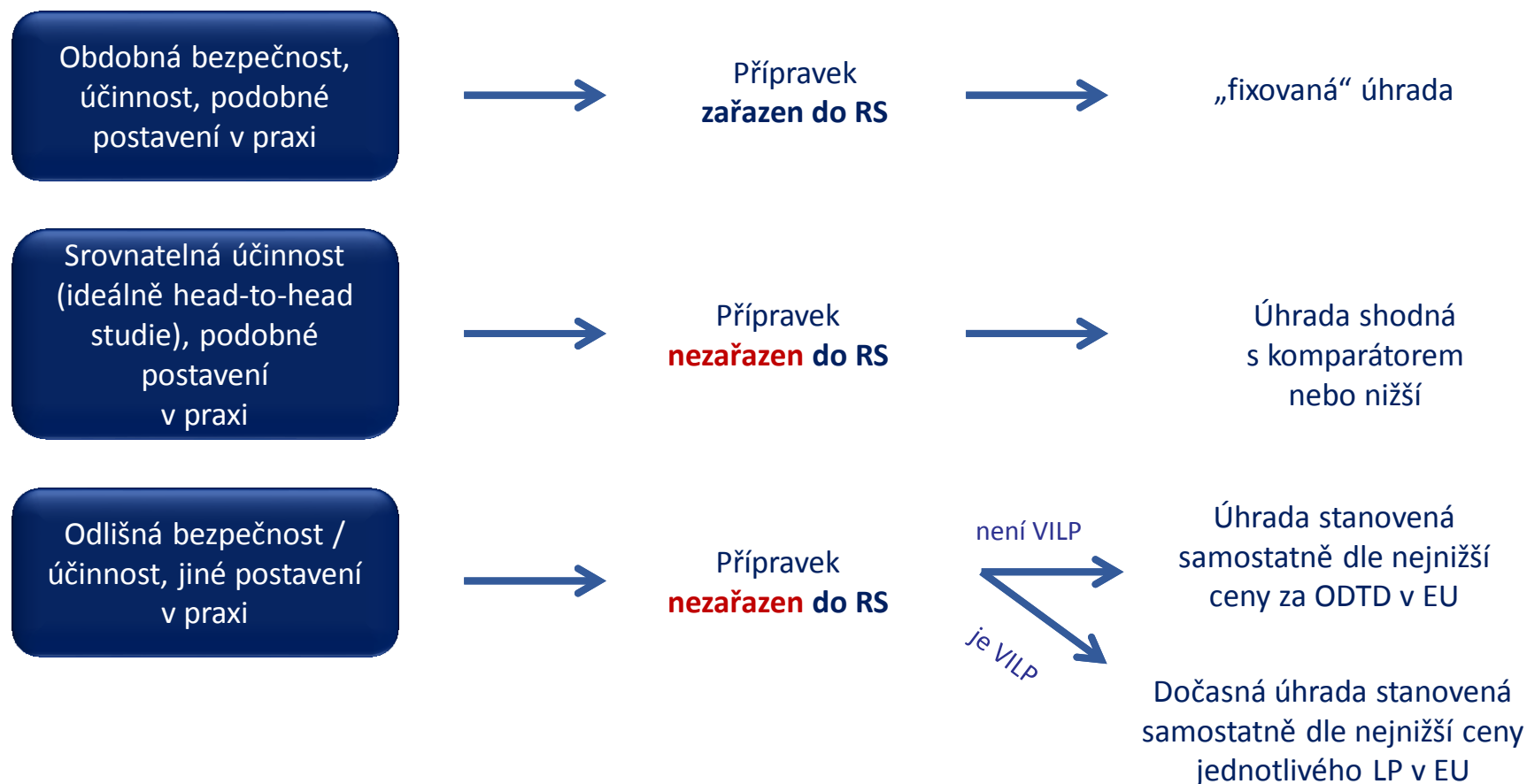
Rozhodnutí o zaměnitelnosti, zařazení do referenční skupiny

Hodnocení nových léčivých přípravků pro stanovení úhrady - požadavky zákona č. 48/1997 Sb.

Hodnotí se někdy:

- 👁️ **Závažnost onemocnění (zejména u VILP dle vyhlášky č. 376/2011 Sb.)**
- 👁️ **Nákladová efektivita a dopad do rozpočtu**
 - Nově vstupující nezaměnitelný přípravek
 - Rozšíření podmínek úhrady, přiznání bonifikace nebo zvýšené úhrady
 - Předkládá účastník řízení
- 👁️ **Veřejný zájem**
 - § 17 odst. 2: zájem na zajištění kvality a dostupnosti hrazených služeb, fungování systému zdravotnictví a jeho stability v rámci finančních možností systému veřejného zdravotního pojištění

Vliv odborného hodnocení na výši úhrady



Úhrady vysoce inovativních léčivých přípravků

- Léčivé přípravky s nedostatkem údajů ohledně nákladové efektivity nebo použití v klinické praxi v době podání žádosti
- Zároveň však představují **výraznou inovaci u vysoce závažných onemocnění, kde neexistuje jiná alternativa, nebo jde o výrazný přínos v léčbě** (dle vyhlášky č. 376/2011 Sb., §40 odst. 2)
- U těchto se stanovuje dočasná úhrada – **24 + 12 měsíců**, během nichž jsou sbírána data v klinické praxi
- Úhrada je stanovena podle nejnižší ceny v rámci EU pro každou variantu kombinace síly a velikosti balení zvlášť

Vysoce inovativní přípravky nejsou pouze orphans, orphan přípravek nemá automaticky nárok na statut VILP.

VILP – proces stanovení úhrady

- 👁 VILP je dobrovolné schéma
 - MAH volí, zda chce žádat o statut VILP či nikoli, o splnění podmínek VILP rozhoduje SÚKL na základě kritérií ve vyhlášce
- 👁 MAH dokládá závazek k:
 - Průběžnému hodnocení terapie VILP v reálné klinické praxi
 - Limitaci dopadu na prostředky veřejného zdravotního pojištění
 - Hodnocení nákladové efektivity
 - Hrazení nákladů na doléčení pacienta v případě vypršení dočasné úhrady
- 👁 Nutné prokázat úhradu alespoň ve 2 zemích referenčního koše
- 👁 Farmakoekonomické analýzy jsou vyžadovány, ale bez vlivu na rozhodnutí o ne/přiznání úhrady

Výhody VILP

Dřívější vstup do systému úhrad

- Výsledek analýzy nákladové efektivity nemá vliv na ne/přiznání úhrady
- Předpokladem je předložení závazku mezi MAH a ZP ohledně sběru dat

Získání možnosti pro sběr dat z klinické praxe po dobu 3 let dočasné úhrady

- Potvrzení bezpečnosti a účinnosti v reálné klinické praxi v ČR
- Jistota plátců ohledně reálných nákladů na léčbu – pro nové terapie nejsou v době podání žádosti relevantní odhady počtu léčených pacientů

Výhody VILP

Včasnější dostupnost hrazené léčby pro pacienty

- V ČR jsou VILP na trhu dříve než v mnohých zemích Evropy (např. dříve než v Británii, Polsku, Portugalsku, Maďarsku, Irsku, Slovinsku, Belgii, Norsku)

Řešení otázky vysoké potřeby léčby (unmet need)

- V době vstupu reálně neznámá
- Metodiky FE (QALY) nezohledňují

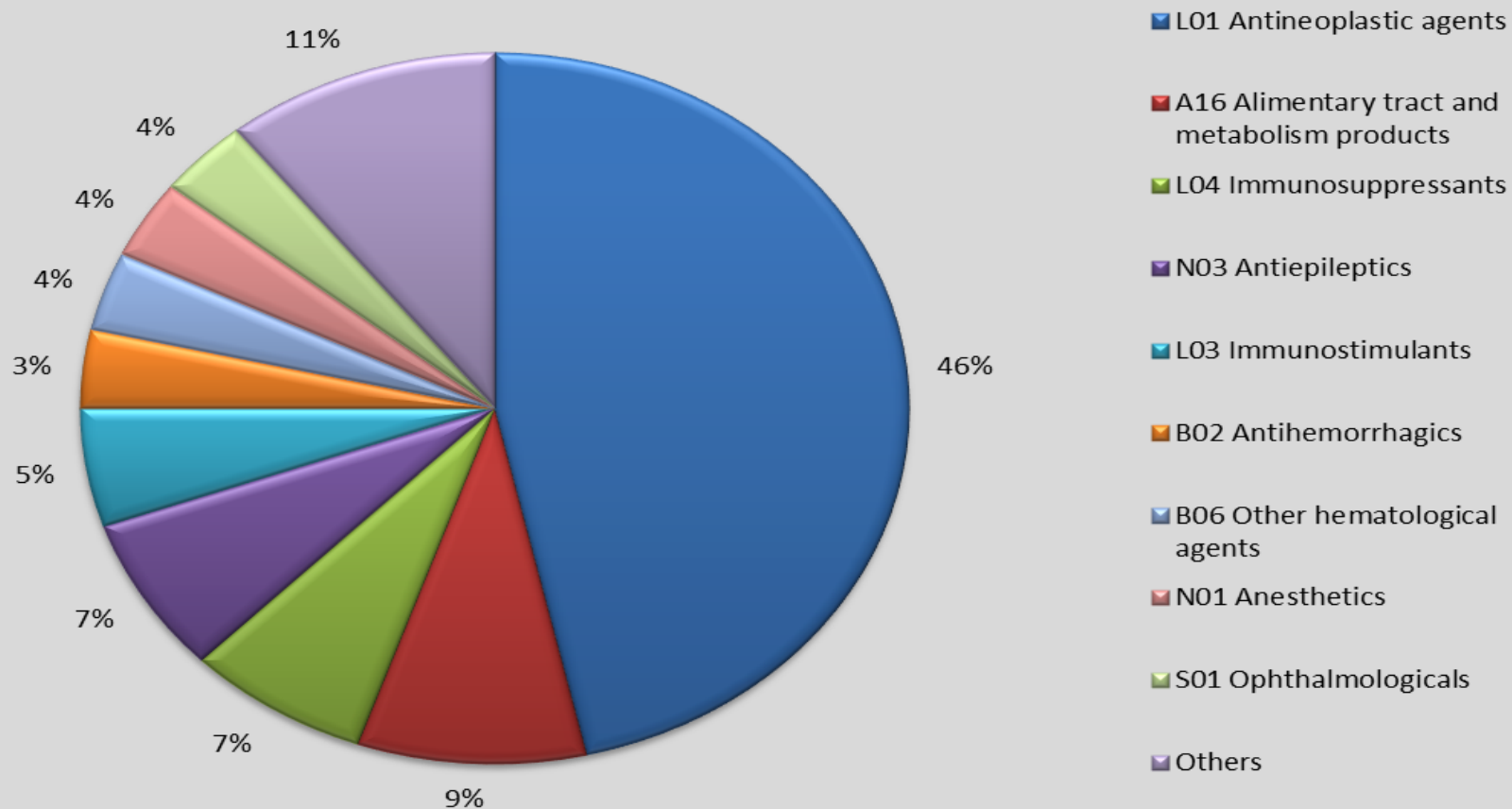
VILP – výsledek farmakoekonomických studií není rozhodující pro přiznání dočasné úhrady

- 👁 Kadcyła (karcinom prsu): ICER 5,6 mil Kč – dočasná úhrada stanovena
- 👁 Adempas (chronická trombembolická plicní hypertenze): ICER 4,6 mil. Kč - dočasná úhrada stanovena
- 👁 Tafenlar (melanom): ICER 4 mil. Kč - dočasná úhrada stanovena

Důvody nestanovení úhrady u VILP

- 👁 Zpětvzetí žádosti ze strany MAH
 - Fampyra (zlepšení chůze u pacientů s roztroušenou sklerózou) – 2011
 - Ilaris (dna) – 2010
- 👁 MAH nepožádal o trvalou úhradu
 - Evoltra (akutní lymfoblastická leukemie)
- 👁 Chybějící farmakoekonomická analýza
 - Kalydeco (cystická fibróza)

Number of submissions approved according to ATC



Aktuální stav

 V roce 2015 zahájeno celkem 11 správních řízení s VILP

- První dočasná úhrada: 3 správní řízení
- Druhá dočasná úhrada: 3 správní řízení – 3 rozhodnuta
- Trvalá úhrada: 4 správní řízení – 1 rozhodnuto,
- 1x ztratil statut VILP (nově existuje alternativa) – rozhodnuto



Děkuji za pozornost

STÁTNÍ ÚSTAV PRO KONTROLU LÉČIV

Šrobárova 48, 100 41 Praha 10

tel.: +420 272 185 111

fax: +420 271 732 377

e-mail: posta@sukl.cz