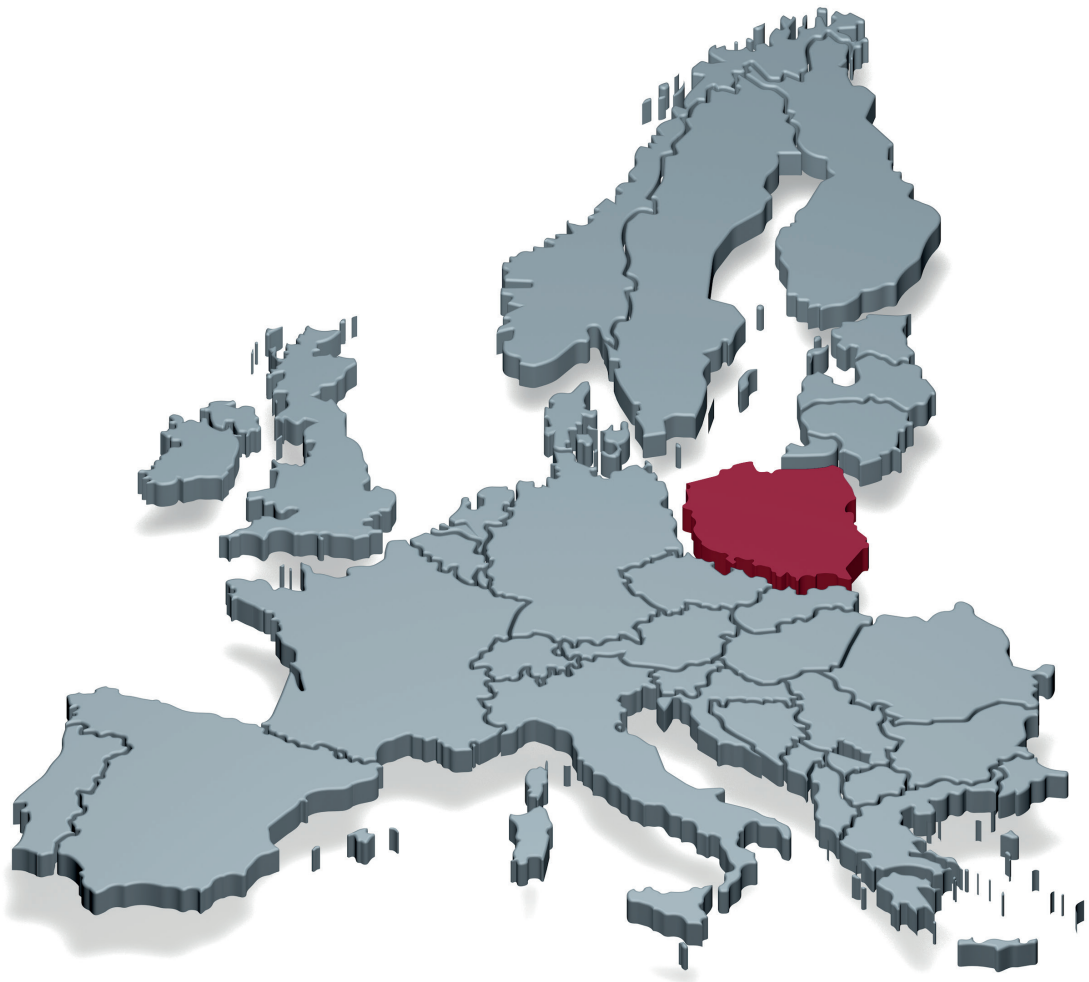
RAPORT

Nierówności w dostępie do leczenia biologicznego w chorobach autoimmunizacyjnych w Europie

Refundacja apteczna szansą na poprawę efektywności leczenia w Polsce

Izabela Obarska



Warszawa 2022

Wydawca:

Polski Związek Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego

KRAJOWI PRODUCENCI LEKÓW

Autor raportu:

Izabela Obarska

Skład i oprawa graficzna:

RA-V, Rafał Pugacz

Niniejszy raport objęty jest prawami autorskimi. Wydawca oraz autor nie ponoszą odpowiedzialności za jakiekolwiek ewentualne decyzje, które zostaną podjęte na podstawie niniejszego opracowania. Treści zawarte w niniejszym raporcie nie mają na celu promowania któregokolwiek z wymienionych produktów leczniczych. Kopiowanie i powielanie oraz wykorzystywanie w takiej formie części lub całości raportu, w tym wykresów i tabel zawartych w publikacji, na jakimkolwiek polu eksploatacji bez pisemnej zgody wydawcy i autora jest zabronione. Cytowanie fragmentów lub danych zawartych w raporcie powinno zawierać adnotację o źródle.

Cytowanie:

Obarska I., *Nierówności w dostępie do leczenia biologicznego w chorobach autoimmunizacyjnych w Europie. Refundacja apteczna szansą na poprawę efektywności leczenia w Polsce,* Polski Związek Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego, Warszawa 2022.

ISBN: 978-83-948719-1-8

Stan prawny na 1 marca 2022 r.

Patronat

Polskie Towarzystwo Gastroenterologii

konsultant krajowy w dziedzinie reumatologii

konsultant krajowy w dziedzinie dermatologii i wenerologii

konsultant krajowy w dziedzinie gastroenterologii

Spis treści

Kluczowe wnioski i rekomendacje 7

Komentarz Rzecznika Praw Pacjenta 9

Komentarze ekspertów 11

1. Wstęp 19

2. Dostępność do leczenia biologicznego w Polsce na tle Europy 21

3. Oszczędności wynikające z refundacji leków biologicznych biorównoważnych w Polsce 23

4. Bariery w dostępie do leczenia biologicznego w Polsce 25

5. Realne zwiększanie dostępu do terapii biologicznych w Polsce 31

5.1 Poprawa dostępu do programów lekowych 31

5.2 Dostęp do leczenia biologicznego w aptekach ogólnodostępnych 33

5.3 Wczesna diagnostyka chorób autoimmunizacyjnych 35

6. Podsumowanie 37

7. Piśmiennictwo 39

Kluczowe wnioski i rekomendacje

Ograniczony dostęp pacjentów do leczenia biologicznego w programach lekowych wynika z zawężonych względem rekomendacji towarzystw naukowych i aktualnej wiedzy medycznej kryteriów kwalifikacji oraz niedoszacowanej wyceny pracy świadczeniodawców uniemożliwiającej większe zaangażowanie personelu w leczenie coraz większej liczby chorych.

Poprawa dostępności do leczenia biologicznego w Polsce do poziomu europejskiego w wielu obszarach klinicznych nie będzie możliwa w ramach programów lekowych, nawet w przypadku dalszej poprawy ich funkcjonowania, dlatego niezbędna jest zmiana modelu refundacji leków biologicznych umożliwiająca udostępnienie tych terapii także poza programami lekowymi. Powinno się to odbyć w najbardziej bezpiecznym modelu dla pacjentów, który zapewnia ciągłość leczenia oraz gwarantuje finansowanie wszystkich niezbędnych badań diagnostycznych oraz szybki dostęp do specjalistów.

Efektywne leczenie pacjentów z chorobami z autoimmunizacji jest zależne od szybkiej i właściwej diagnozy oraz wdrożenia właściwej terapii w tzw. oknie terapeutycznym, co umożliwia uniknięcie odległych powikłań tych schorzeń. Rozpoznanie choroby na późnym etapie nie pozwala na modyfikowanie naturalnego jej przebiegu, w konsekwencji efektywność terapii, w tym biologicznych jest mniejsza.

Rekomendacje

Poprawa dostępu do terapii w programach lekowych

1. **Tworzenie opisów programów lekowych zgodnych z rekomendacjami towarzystw naukowych i aktualną wiedzą medyczną.**
2. **Poprawa wyceny świadczeń opieki zdrowotnej oraz wprowadzenie nowego świadczenia – rocznego ryczałtu za przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym.**

Udostępnienie leków biologicznych w aptekach ogólnodostępnych

3. **Wprowadzenie leków biologicznych do refundacji aptecznej z jednoczesnym utrzymaniem obecności tychże leków w programach lekowych (tzw. system hybrydowy/mieszany).**
4. **Wprowadzenie nowych świadczeń do ambulatoryjnej opieki specjalistycznej związanych z kwalifikacją do leczenia biologicznego i jego monitorowaniem.**

Skrócenie ścieżki diagnostycznej w chorobach autoimmunizacyjnych

5. **Wprowadzenie szybkich ścieżek diagnostycznych w chorobach autoimmunizacyjnych, w tym świadczenia wczesnej diagnostyki chorób reumatycznych.**

Bartłomiej Chmielowiec

Rzecznik Praw Pacjenta

Raport wskazuje na znaczące różnice w dostępności leczenia biologicznego w Polsce i w innych krajach europejskich. Przedstawiana wielokrotnie niższa rzeczywista dostępność leczenia (udział pacjentów z danymi chorobami leczonych lekami biologicznymi) każe się zastanowić nad poziomem zapewnienia optymalnej opieki w Polsce w chorobach reumatoidalnych, dermatologicznych i gastroenterologicznych. Raport stawia istotne pytania zarówno o populacje pacjentów objętych leczeniem biologicznym w programach lekowych (zakres wskazań refundacyjnych), jak i celowość ograniczania dostępności leków biologicznych wyłącznie do leczenia w szpitalach.

Postulaty przedstawiane w raporcie, dotyczące m.in. wprowadzenia szerszego zakresu wskazań, jak i wprowadzania leczenia biologicznego, znajdują poparcie w stanowiskach towarzystw naukowych. Pytania o opóźnienia w diagnozowaniu chorób autoimmunizacyjnych pokazują również wyzwania stojące przed ochroną zdrowia w Polsce – nie tylko ze względów kosztowych, ale przede wszystkim potrzeby zapewnienia jak najlepszej opieki nad pacjentem.

Wszystkie kwestie podnoszone w raporcie „Nierówności w dostępie do leczenia biologicznego w chorobach autoimmunizacyjnych w Europie" były wielokrotnie przedmiotem dyskusji i wniosków ze strony organizacji pacjentów. Zdecydowanie popieram inicjatywy służące poszerzaniu naszej wiedzy i poszukujące rozwiązań korzystnych dla pacjentów i ich potrzeb.

dr n. med. Marcin Stajszczyk

Przewodniczący Komisji ds. Polityki Lekowej
Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego

prof. dr hab. n. med. Włodzimierz Samborski

Prezes
Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego

Poziom dostępu polskich pacjentów do leczenia innowacyjnego jest bardzo niski. W chorobach reumatycznych, takich jak RZS, ŁZS i ZZSK, odsetek leczonych biologicznie nie przekracza kilku procent, podczas gdy w innych krajach europejskich leki biologiczne lub inhibitory kinaz janusowych są częścią rutynowego postępowania terapeutycznego, co w populacji chorych z zapaleniami stawów przekłada się na kilkadziesiąt procent leczonych nimi pacjentów. Raport w bardzo precyzyjny sposób podaje najważniejsze przyczyny takiego stanu w Polsce. Obowiązujące regulacje wynikające z ustawy refundacyjnej, na mocy której wszystkie kosztochłonne terapie refundowane są w ramach programów lekowych, to najważniejsza przyczyna niskiej dostępności do leczenia w naszym kraju. Przez lata kryteria programów lekowych w reumatologii były bardzo restrykcyjne względem obowiązujących rekomendacji i stale aktualizowanej wiedzy medycznej, co sprawiało, że tylko niewielki odsetek chorych mógł być zgodnie z nimi zakwalifikowany do terapii w programach lekowych.

Przełomowe w tym względzie były lata 2017 i 2021, w których z inicjatywy Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego większość kryteriów programów lekowych była dostosowywana do aktualnych rekomendacji. W części wskazań zostały zmienione kryteria kwalifikacji, we wszystkich natomiast zniesiono administracyjne ograniczenia czasu leczenia. Wprowadzone modyfikacje wcześniej pozytywnie ocenione zostały przez AOTMiT. Dalsze zmiany, jakie mamy nadzieje zostaną wprowadzone w roku 2022, powinny pozwolić na leczenie w pełni zgodne z aktualną wiedzą medyczną.

Wprowadzone zmiany w opisie programów lekowych nie są jednak wystarczające, żeby znacząco zwiększyć populacje leczonych biologicznie pacjentów. Poprawa dostępności do terapii w programach lekowych wymaga także poprawy finansowania związanych z nimi świadczeń. Polskie Towarzystwo Reumatologiczne proponuje wprowadzenie rocznego ryczałtu za przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym w programach lekowych oraz dodatkowe premiowanie szpitali, które realizując leczenie w ramach programów, preferują korzystniejsze dla pacjentów wizyty ambulatoryjne.

Należy mieć także na uwadze, że efektywne leczenie pacjentów z chorobami zapalnymi stawów wymaga włączenia terapii na początkowym etapie choroby. Niezbędna jest zatem szybka ścieżka diagnostyczna, pozwalająca na wczesne postawienie właściwego rozpoznania i odpowiednie leczenie. Polskie Towarzystwo Reumatologiczne proponuje wprowadzenie nowego świadczenia wczesnej diagnostyki chorób reumatycznych, które byłoby realizowane w referencyjnych ośrodkach realizujących umowy z zakresu programów lekowych.

Zarówno nowy model finansowania świadczeń w programach lekowych, jak i świadczeń wczesnej diagnostyki reumatologicznej pozwolą na zmniejszenie liczby nie zawsze koniecznych hospitalizacji i bardziej racjonalne wykorzystanie środków publicznych.

Ideą, jaka zapewne przyświecała regulatorowi i płatnikowi, kiedy decydowali o refundacji terapii biologicznych w ramach programów lekowych, była ścisła kontrola wydatków poprzez ograniczanie populacji leczonych pacjentów, co miało związek z wysokim początkowym kosztem leków biologicznych. Warunki zmieniły się z chwilą refundacji pierwszych leków biologicznych biopodobnych, co poskutkowało obniżeniem kosztów terapii. Zwiększanie konkurencyjności rynkowej poprzez refundację kolejnych leków biologicznych biopodobnych to dalsza erozja cen i związane z tym bardzo duże oszczędności płatnika publicznego. W samej reumatologii, dzięki racjonalnemu prowadzeniu terapii w programach lekowych z wykorzystaniem adalimumabu, etanerceptu i infliksymabu, roczne oszczędności w ostatnich latach sięgają kilkudziesięciu milionów złotych. Niestety nie przełożyło się to na równie imponujący wzrost liczby leczonych pacjentów. Środki oszczędzone w reumatologii nie są reinwestowane w poszerzenie dostępu do leczenia dla naszych chorych.

Przedstawione w Raporcie dane wyraźnie wskazują, że osiągnięcie stopnia dostępności, jaki obserwujemy w innych krajach, nie będzie możliwy bez przebudowy systemu. Ośrodki prowadzące programy lekowe w reumatologii nie są w stanie leczyć 20-30% populacji chorych. Konieczna zatem jest ewolucyjna zmiana kategorii dostępności do leków biologicznych poprzez ich stopniowe uwalnianie z programów lekowych do aptek ogólnodostępnych. Polskie Towarzystwo Reumatologiczne przedstawiło ministrowi zdrowia propozycje zmiany ustawy refundacyjnej, która umożliwi dostęp do leczenia biologicznego zarówno w programach, jak i aptekach – tzw. system hybrydowy. Zgodnie z opinią większości ekspertów Towarzystwa, w początkowym etapie rozpoczynanie terapii powinno nadal następować w ośrodkach referencyjnych, a następnie pacjent powinien być stopniowo przejmowany przez lekarzy z innych poradni ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. W kolejnym kroku powinno dojść do uwolnienia terapii poprzez możliwość inicjacji leczenia w poradniach pozaszpitalnych. Kryteria refundacyjne programów lekowych i lecznictwa otwartego powinny być w pełni zgodne z rekomendacjami, tak aby umożliwić swobodny przepływ pacjentów pomiędzy dwoma systemami refundacyjnymi.

Polskie Towarzystwo Reumatologiczne popiera wszystkie rekomendacje przedstawione w Raporcie i ma nadzieję, że ich pełna implementacja będzie możliwa w niedalekiej przyszłości. Pozwoliłoby to na podjęcie próby zrównania z europejskimi standardami dostępności do innowacyjnych terapii polskich pacjentów i lekarzy w ciągu kolejnych kilku lat.

prof. dr hab. n. med. Grażyna Rydzewska

Wiceprezes
Polskiego Towarzystwa Gastroenterologii

Przedstawiony raport Polskiego Związku Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego, dotyczący dostępności do leczenia biologicznego w Polsce, w trafny sposób określa jeden z podstawowych problemów, a mianowicie zamknięcie leczenia biologicznego wyłącznie w „klamrach" programów lekowych. W dziedzinie gastroenterologii w ramach programów lekowych leczeni są pacjenci z nieswoistymi chorobami zapalnymi jelit (NCHZJ), w tym z chorobą Leśniowskiego-Crohna oraz z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego. Podawane w ramach programu leki obejmują zarówno terapie dożylne, stosowane we wlewach kroplowych, jak również terapie podskórne (adalimumab) oraz formy tabletkowe. Jak słusznie wykazano w raporcie, wprowadzenie leków biologicznych biopodobnych spowodowało znaczne zmniejszenie kosztów leczenia biologicznego tymi preparatami i tym samym nie znajduje potwierdzenia argument dotyczący konieczności ścisłego monitorowania wysokich kosztów terapii, który jest jedynym rozsądnym argumentem usprawiedliwiającym stosowanie leków biologicznych wyłącznie w programach lekowych. Dodatkowo zasady prowadzenia programów lekowych, wymagające zaangażowania coraz większej liczby personelu medycznego, znacznie ograniczają możliwości ośrodków do wprowadzania nowych pacjentów. Niedofinansowanie kosztów obsługi programów wpływa także na brak motywacji finansowej dla szpitali oraz personelu medycznego. Wszystko to przekłada się oczywiście na wciąż słabą dostępność leczenia biologicznego w Polsce.

Rozsądnym rozwiązaniem wydaje się wobec tego finansowanie podskórnych form leków biologicznych – szczególnie w przypadku biologicznych biopodobnych – w ramach nie tylko lecznictwa szpitalnego, ale także w aptekach ogólnodostępnych. Według naszej opinii mogłoby to dotyczyć pacjentów w remisji klinicznej, wymagających rzadszych kontroli lekarskich, co przełożyłoby się w prosty sposób na zmniejszenie kosztów opieki nad pacjentem, poprawiło komfort chorych, niejednokrotnie przemierzających wiele kilometrów do ośrodka po podskórne preparaty, i oczywiście tym samym zwiększyło dostęp nowych pacjentów do leczenia biologicznego.

Dodatkowe uwagi wiążą się z koniecznością ułatwienia dotyczącego wymagań biurokratycznych sprawozdawczości związanej z programem lekowym, co niewątpliwie utrudnia prowadzenie leczenia w wielu ośrodkach. Również PTG-E podczas prowadzonych prac nad finansowaniem pilotażowego modelu opieki koordynowanej postulowało dodatkowe zatrudnienie pracowników, np. absolwentów wydziałów nauk o zdrowiu, których zadaniem miałaby być m.in. koordynacja programów lekowych, co niewątpliwie mogłoby poprawić funkcjonowanie nie tylko strony medycznej, ale także administracyjnej tego sposobu leczenia.

Z wielu opracowań wiemy także, iż konsekwencje niewłaściwie leczonej choroby prowadzą do ograniczenia aktywności zawodowej, co przekłada się na stan gospodarki i pośrednio finansów państwa. Ograniczenie efektywności pracy chorego w związku z jego nieobecnością w pracy lub zmniejszoną wydajnością przekłada się na wskaźnik PKB. Według przedstawionego w roku 2018 raportu koszt w grupie pacjentów z umiarkowaną lub wysoką aktywnością choroby Leśniowskiego-Crohna zwiększa się istotnie w porównaniu do chorych w remisji klinicznej i osiąga 3 419 zł. Ten koszt determinowany jest w największym stopniu trwałą niezdolnością do pracy (ponad 2 000 zł) oraz mniejszą wydajnością w pracy (ponad 900 zł).

Polskie Towarzystwo Gastroenterologii od lat stara się zwrócić uwagę Ministerstwa Zdrowia na niedoskonałości programu lekowego i konieczność lepszego monitorowania leczenia. Jednym z elementów tej działalności jest stworzony przez grupę ekspertów PTG-E, przy współpracy Parlamentarnego Zespołu ds. Pacjentów, model opieki koordynowanej nad pacjentem z nieswoistą chorobą zapalną jelit, który pomimo prowadzonych prób, niestety nie doczekał się finansowania jako pilotaż w ramach projektu NFZ. Prace nad poprawą modelu opieki nad pacjentem z chorobą NCHZJ i dostosowaniem tego modelu do zmieniających się wymagań są aktualnie prowadzone w grupie ekspertów PTG-E.

Podsumowując, rekomendacje zawarte w niniejszym raporcie są całkowicie zgodne z rekomendacjami Polskiego Towarzystwa Gastroenterologii. Są to:

1. Rekomendacja dotycząca poprawy programów lekowych zgodnie z aktualną wiedzą medyczną, co w przypadku programów lekowych w dziedzinie gastroenterologii znaczyłoby złagodzenie bardzo ostrych kryteriów kwalifikacji do programu;

2. Poprawa wyceny świadczeń opieki zdrowotnej oraz wprowadzenie rocznego ryczałtu za przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym – to oczywiście miałoby na celu zmniejszenie niepotrzebnych hospitalizacji, wynikających często z nieco lepszego rozliczania tego rodzaju świadczenia;

3. Dostęp do leczenia biologicznego (preparaty podskórne) w aptekach ogólnodostępnych.

Przedstawione stanowisko nie tylko celnie punktuje niedostatki dotychczasowej opieki nad pacjentem z NCHZJ, ale także podsuwa nowe rozwiązania systemowe ułatwiające prowadzenie leczenia w tej grupie chorych, a także wprowadzające potencjalne oszczędności w systemie opieki zdrowotnej.

prof. dr hab. n. med. Brygida Kwiatkowska

konsultant krajowa w dziedzinie reumatologii

Zapalne choroby reumatyczne są typowym przykładem chorób autoimmunologicznych, w terapii których w ciągu ostatnich lat dokonał się istotny postęp zarówno we wczesnej diagnostyce, jak i w skutecznym leczeniu. Przekłada się to na możliwości utrzymania pacjentów przez długi okres trwania choroby przewlekłej w dobrej sprawności psychicznej i fizycznej, tj. na ich dobrą jakość życia.

W przypadku reumatoidalnego zapalenia stawów – najczęstszej zapalnej choroby reumatycznej, która występuję u około 0,9% populacji dorosłych w Polsce – zapotrzebowanie na leki innowacyjne (biologiczne i inhibitory JAK kinaz), przy diagnozowaniu i leczeniu zgodnie z obowiązującymi rekomendacjami europejskimi EULAR, powinno wynosić około 30% ogółu chorych. W krajach z dużą dostępnością do leczenia innowacyjnego stosuje się to leczenie u około 20-25% chorych. Polska niestety do tych krajów nie należy, a liczba leczonych chorych stawia nas na ostatnim miejscu w Europie.

Jakie są tego przyczyny? Po pierwsze choroby reumatyczne postrzegane są jako choroby osób starszych oraz takie, które mają charakter przewlekły i nie powodują zgonów. Prawda jest jednak zupełnie inna – dotyczą one osób młodych, a nieleczony proces zapalny powoduje istotny wzrost częstości chorób, które przyczyniają się do przedwczesnego zgonu, takich jak choroby sercowo-naczyniowe i nowotwory. Po drugie oszczędności, jakie uzyskano w systemie po pojawieniu się leków biopodobnych, nie zostały wykorzystane w całości do zmian w kryteriach kwalifikujących do leczenia w ramach programów lekowych i wprowadzaniu nowych leków dla tej samej grupy chorób, co poprawiłoby dostępność do tych terapii. Po trzecie obsługa programów lekowych wymaga zaangażowania dodatkowego personelu lekarskiego, pielęgniarskiego i pionu ekonomicznego, a jej finansowanie jest na tyle małe, że dyrektorzy szpitali nie są zainteresowani dalszym rozwojem programów.

Znaczna redukcja ceny wielu leków, jaka nastąpiła po pojawieniu się leków biopodobnych, wprowadziła konieczność poszerzenia istniejących programów o możliwość prowadzenia terapii tymi lekami także w warunkach ambulatoryjnych. Przy czym należy zadbać o to, aby pacjent mógł być płynnie kwalifikowany do leczenia w danym zakresie (płynne przechodzenie z programu lekowego do ambulatoryjnej opieki specjalistycznej i odwrotnie) przy nieskuteczności dotychczasowej terapii lub po wystąpieniu objawów niepożądanych będących przeciwskazaniem do ich stosowania.

prof. dr hab. n. med. Joanna Narbutt

konsultant krajowa w dziedzinie dermatologii i wenerologii

Po wieloletnim zastoju w leczeniu dermatologicznym, w ostatniej dekadzie nastąpiła prawdziwa rewolucja. Dokonała się głównie za sprawą leków biologicznych stosowanych w wielu przewlekłych chorobach skóry o podłożu immunologicznym. Dzięki tym lekom pacjenci wchodzą w długie remisje lub – jak w przypadku chorych na łuszczycowe zapalenie stawów – mają szansę na ograniczenie kalectwa, co w zasadniczy sposób poprawia ich jakość życia.

Liczba pacjentów leczonych lekami biologicznymi w programach lekowych w Polsce rośnie, jednak w stosunku do krajów Europy Zachodniej nadal jest na bardzo niskim poziomie. Zasadniczym powodem są ograniczenia administracyjne w dostępie do leczenia biologicznego.

Omawiany Raport wykazuje z czego wynika niski odsetek chorych leczonych biologicznie w Polsce, jednocześnie wskazując obszary wymagające zmian wraz z propozycjami rozwiązań, które mogłyby przyczynić się do zwiększenia dostępności do leczenia. Opracowany system powinien zapewnić pacjentom włączenie najodpowiedniejszej terapii oraz szybkiej diagnostyki.

Przedstawiony Raport jest na bardzo wysokim poziomie merytorycznym, uznaję jego wartość i przydatność w dalszym prowadzeniu rozmów.

prof. dr hab. n. med. Witold Owczarek

Przewodniczący
Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego
w Łuszczycy Plackowatej

Raport „Nierówności w dostępie do leczenia biologicznego w chorobach autoimmunizacyjnych w Europie. Refundacja apteczna szansą na poprawę efektywności leczenia w Polsce" porusza problemy dostępu do leczenia pacjentów w Polsce, z którymi spotykam się codziennie w praktyce klinicznej. Obserwacje ostatnich lat wskazują, że programy lekowe, które zapewniają chorym dostęp do drogich innowacyjnych terapii, nie powinny być narzędziem finansowania standardów medycznych. Aktualnie to właśnie leki biologiczne stanowią standard leczenia niektórych chorób autoimmunizacyjnych. Ograniczenia administracyjne obserwowane w trakcie realizacji programów lekowych wpływają na dostępność chorych do tych terapii, co uwidacznia nadal bardzo mała liczba leczonych chorych. Problemy związane z aktualnym modelem finansowania są przyczyną późnego wdrażania prawidłowego leczenia, a konsekwencją jest brak remisji lub możliwości kontroli choroby i rozwój chorób współistniejących. Pogłębia to istotnie problemy zdrowotne naszych pacjentów. Aktualny model nie wykorzystuje również potencjału służby zdrowia, ograniczając możliwość stosowania tych terapii do lekarzy zajmujących się programami lekowymi. Rekomendacje przedstawione w raporcie wskazują zatem możliwą ewolucję modelu finansowania leczenia biologicznego, która może zwiększyć dostęp do terapii i usprawnić leczenie chorych w Polsce.

prof. dr hab. n. med. Jarosław Reguła

konsultant krajowy w dziedzinie gastroenterologii

Producenci oryginalnych leków innowacyjnych, w tym preparatów biologicznych stosowanych w chorobach autoimmunizacyjnych, mają słuszne prawo do odzyskania zainwestowanych w badania naukowe pieniędzy, poprzez istnienie kilkuletniego okresu ochronnego dającego wyłączność produkcji i sprzedaży swojego produktu. W gastroenterologii leczeniu biologicznemu podlegają przede wszystkim nieswoiste choroby zapalne jelit, czyli choroba Leśniowskiego-Crohna oraz wrzodziejące zapalenie jelita grubego. Po upływie okresu ochronnego dla oryginalnych leków biologicznych sytuacja zmienia się diametralnie, czego doświadczyliśmy w związku z leczeniem infliximabem oraz adalimumabem. Leki biorównoważne dla tych preparatów miały na tyle istotnie niższe ceny, że za zaoszczędzone środki udało się dla pacjentów w całym kraju wprowadzić kilka innych innowacyjnych molekuł potrzebnych w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych.

Raport, który komentuję, przedstawia możliwe dalsze scenariusze w związku z faktem, że w najbliższych latach pojawi się na rynku wiele nowych biorównoważnych preparatów. Scenariusze te zakładają, że możliwe będzie dalsze zwiększenie wolumenu leczenia biologicznego dla polskich pacjentów. Jest to ważne, gdyż jak dotąd z różnych przyczyn odsetki naszych chorych leczonych biologicznie są niższe niż w krajach zachodnich.

Bardzo się cieszę, że poddano analizie realność wprowadzenia nowych rozwiązań organizacyjnych i finansowych takich jak poprawa wyceny świadczeń opieki zdrowotnej związanych z leczeniem biologicznym, co doprowadzi do większego zainteresowania świadczeniodawców leczeniem biologicznym oraz zwiększenia liczby świadczeniodawców prowadzących to leczenie. Raport analizuje także możliwość wprowadzenia dostępności części preparatów w aptekach ogólnodostępnych, co znaczenie poprawiłoby geograficzną dostępność do leczenia, wygodę leczenia prowadzonego przecież przez całe życie i obniżenie kosztów pośrednich.

Jestem przekonany, że przedstawiony Raport będzie miał istotny wpływ na poprawę sytuacji chorych z chorobą Leśniowskiego-Crohna i wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (i innych osób z chorobami autoimmunizacyjnymi) oraz w efekcie, po uwzględnieniu rekomendacji w nim zawartych, wpłynie na poprawę dostępu i wyników leczenia chorób autoimmunizacyjnych.

1. Wstęp

Wartość globalnego rynku leków biologicznych w roku 2020 została oszacowana na 320 miliardów dolarów, co stanowiło blisko jedną trzecią całkowitej wartości rynku farmaceutycznego. W Europie leki biologiczne stanowiły w tym czasie aż 40% całkowitej wartości rynku. Zgodnie z prognozami dotyczącymi liczby nowo rejestrowanych rocznie terapii biologicznych – wzrostu z 13 cząsteczek w latach 2014-2018 do 27 cząsteczek w latach 2021-2025 – zawartymi w najnowszym raporcie IQVIA dotyczącym leczenia biologicznego *Institute Spotlight on Biosimilars. Optimising the sustainability of Healthcare systems*, wartość ta będzie zapewne charakteryzować się ciągłą tendencją wzrostową. Powoduje to, że rynek leków biologicznych staje się istotnym elementem systemów opieki zdrowotnej w poszczególnych państwach europejskich, a to implikuje ogromne obciążenia dla ich budżetów. Wydaje się zatem, że w kolejnych latach koniecznością stanie się zwiększenie dostępności do leków biologicznych, dla których zarejestrowane są już ich biorównoważne odpowiedniki, celem obniżenia kosztów funkcjonowania systemów ochrony zdrowia, co jednocześnie może przyczynić się do osiągnięcia korzystnych efektów zdrowotnych na poziomie populacyjnym.

Leki biologiczne biorównoważne od ponad 15 lat stanowią bezpieczną i skuteczną alternatywę dla referencyjnych terapii biologicznych. W 2020 r. dopuszczonych do obrotu na rynku europejskim było 79 leków biologicznych biorównoważnych, co stanowiło 4% jego wartości. Biorąc jednak pod uwagę wyłącznie rynek leków biologicznych, w którym leki referencyjne utraciły status wyłączności rynkowej i dostępne są ich odpowiedniki, leki biorównoważne stanowią 14% jego wartości. Dotychczasowe doświadczenia pokazują, że takie stymulowanie konkurencji wpływa na obniżenie ceny leków, umożliwiając tym samym zwiększenie liczby leczonych pacjentów na wcześniejszych etapach choroby oraz reinwestowanie pozyskanych oszczędności w dostępność do kolejnych innowacji.

W perspektywie krótkoterminowej rynek europejski stwarza stosunkowo niewielkie możliwości dla rejestracji nowych leków biologicznych biorównoważnych. Sytuacja ta zmieni się jednak diametralnie w latach 2024-2029, kiedy to około 100 substancji czynnych leków biologicznych utraci wyłączność rynkową. Prognozowana łączna wartość sprzedaży tychże leków w roku utraty wyłączności wyniesie ponad 40 miliardów dolarów. W celu lepszego wykorzystania tak dużego potencjału, przed krajami europejskimi stoi ogromne wyzwanie, jakim jest optymalizacja systemów warunkujących dostęp do leków biologicznych, w tym biorównoważnych.

Dodatkowo pandemia COVID-19 niekorzystnie wpływa na systemy opieki zdrowotnej w całej Europie, nieuchronnie prowadząc do konieczności racjonalizowania wydatków na opiekę zdrowotną zarówno w perspektywie krótkoterminowej, jak i długoterminowej.

2. Dostępność do leczenia biologicznego w Polsce na tle Europy

Dostępność polskich pacjentów z chorobami z autoagresji w reumatologii (choroby zapalne stawów), dermatologii (łuszczyca plackowata) oraz gastroenterologii (choroby zapalne jelit) do leczenia biologicznego jest na bardzo niskim poziomie w porównaniu do innych krajów europejskich.

Terapie biologiczne w Polsce są refundowane w ramach programów lekowych, które w ww. dziedzinach obejmują następujące wskazania kliniczne:

1. Leczenie aktywnej postaci reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów (program lekowy B.33),
2. Leczenie aktywnej postaci łuszczycowego zapalenia stawów (program lekowy B.35),
3. Leczenie aktywnej postaci zesztywniającego zapalenia stawów kręgosłupa (program lekowy B.36),
4. Leczenie pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii (nrSpA) bez zmian radiograficznych charakterystycznych dla ZZSK (program lekowy B.82),
5. Leczenie umiarkowanej i ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (program lekowy B.47),
6. Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna (program lekowy B.32),
7. Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (program lekowy B.55).

Liczba pacjentów leczonych w ww. programach lekowych w Polsce z roku na rok rośnie nieznacznie. Na podstawie danych Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) w 2018 r. innowacyjnym leczeniem w ramach programów lekowych objętych było niewiele ponad 1,5% populacji pacjentów z reumatoidalnym zapaleniem stawów (RZS), ok. 10% populacji pacjentów z młodzieńczym idiopatycznym zapaleniem stawów (MIZS), ok. 1,8% populacji pacjentów z zesztywniającym zapaleniem stawów kręgosłupa (ZZSK), ok. 1,1% populacji chorych z łuszczycowym zapaleniem stawów (ŁZS), ok. 0,1% całkowitej populacji chorych z łuszczycą (0,5% populacji z postacią umiarkowaną do ciężkiej łuszczycy), ok. 9,5% populacji chorych z chorobą Leśniowskiego-Crohna (ChL-C) oraz 1,6% pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG). Analiza danych NFZ za rok 2020 wskazuje, że dostęp do innowacyjnych terapii w Polsce miało ok. 1,8% pacjentów z RZS, ok. 14% pacjentów z MIZS, ok. 2,5% pacjentów z ZZSK, ok. 1,8% pacjentów z ŁZS, ok. 0,2% pacjentów z nrSpA, ok. 0,2% chorych z łuszczycą (1% chorych z postacią umiarkowaną do ciężkiej łuszczycy), ok. 12% populacji chorych z ChL-C oraz ok. 3,3% pacjentów z WZJG (tabela 1).

Tabela 1. Liczba pacjentów leczonych w programach lekowych w poszczególnych wskazaniach w latach 2018 i 2020, wzrost liczbowy oraz procentowy leczonych pacjentów w analizowanym okresie oraz dostępność do innowacyjnych terapii w Polsce w 2020 r. wyrażona jako odsetek leczonych w ramach programów lekowych względem populacji pacjentów z danym schorzeniem

Jednostka chorobowa	Liczba pacjentów w 2018 r.	Liczba pacjentów w 2020 r.	Wzrost liczby pacjentów	Wzrost procentowy liczby pacjentów	Dostępność do leczenia w Polsce
RZS	5 028	6 624	1 596	32%	**1,8%**
MIZS	887	1 168	281	32%	**14%**
ZZSK	3 018	3 856	838	28%	**2,5%**
ŁZS	1 622	2 454	832	51%	**1,8%**
nrSpA	110	259	149	135%	**0,2%**
Łuszczyca	828	1 344	516	62%	**0,2%**
ChL-C	1 648	1 852	204	12%	**12 %**
WZJG	692	1 165	473	68%	**3,3%**

Tymczasem dane na temat dostępności do leczenia biologicznego w Europie Zachodniej wskazują na odsetek leczonych z RZS wahający się od 15% w Wielkiej Brytanii i 16% w Hiszpanii do 75% w Irlandii, odsetek leczonych z łuszczycą sięgający 20% oraz odsetek leczonych z chorobą Leśniowskiego-Crohna wynoszący ok. 30%.

Uzasadnieniem ograniczeń administracyjnych w dostępie do leczenia biologicznego, które przełożyły się na obecną złą sytuację pacjentów w Polsce, były wysokie koszty terapii i związane z nimi potencjalne obciążenie systemu ochrony zdrowia. Argument ten nie znajduje jednak potwierdzenia w dobie leków biologicznych biorównoważnych.

3. Oszczędności wynikające z refundacji leków biologicznych biorównoważnych w Polsce

Obejmowanie refundacją kolejnych leków biologicznych biorównoważnych dla infliksymabu, etanerceptu oraz adalimumabu spowodowało znaczne obniżenie rocznych kosztów terapii i przyczyniło się do istotnych oszczędności płatnika publicznego. Było to możliwe dzięki racjonalnemu wykorzystywaniu środków publicznych przez świadczeniodawców, co wyraża się znacznym odsetkiem chorych, u których stosowane są tańsze odpowiedniki. Dla przykładu w reumatologii łączny udział adalimumabu, etanerceptu oraz infliksymabu w 2020 r. wynosił ok. 50% w programie lekowym B.33, ok. 60% w programie lekowym B.35 oraz ok. 70% w programie lekowym B.36. Racjonalne wykorzystanie środków publicznych przez ośrodki realizujące świadczenia w zakresie programów lekowych sprawiło, że pomimo rosnącej liczby leczonych chorych, koszty ponoszone przez płatnika publicznego na przestrzeni ostatnich lat uległy wyraźnemu obniżeniu.

Analiza przeprowadzona na potrzeby niniejszego raportu pokazuje, że skumulowane oszczędności dla płatnika publicznego w przypadku infliksymabu, etanerceptu i adalimumabu wynoszą odpowiednio ok. 237 mln zł (tabela 2), ok. 217 mln zł (tabela 3) oraz ok. 244 mln zł (tabela 4), dając łączną kwotę w wysokości blisko 700 mln zł, co stanowi ok. 13% planowanego budżetu na leki w programach lekowych na rok 2022. W przypadku adalimumabu oszczędności są wyższe niż uzyskane dla infliksimabu lub etanerceptu, pomimo znacznie krótszego okresu refundacji leków biorównoważnych, co wskazuje, że kolejne lata przyniosą znaczący wzrost tych kwot.

Szacunkowe kwoty refundacji dla infliksymabu w latach 2014-2020 zostały wyliczone przy założeniu ceny za miligram referencyjnego infliksymabu obowiązującej w roku 2013, tj. roku poprzedzającym rok wejścia pierwszego biorównoważnego infliksymabu, oraz rzeczywistej liczby miligramów tej substancji zrefundowanej przez NFZ w latach 2014-2020. Szacunkowe kwoty refundacji dla etanerceptu w latach 2016-2020 zostały wyliczone przy założeniu ceny za miligram referencyjnego etanerceptu obowiązującej w roku 2015, tj. roku poprzedzającym rok wejścia pierwszego biorównoważnego etanerceptu, oraz rzeczywistej liczby miligramów tej substancji zrefundowanej przez NFZ w latach 2016-2020. Szacunkowe kwoty refundacji dla adalimumabu w latach 2019-2020 zostały wyliczone w sposób analogiczny, tj. przy założeniu ceny za miligram referencyjnego adalimumabu obowiązującej w roku 2018 – roku poprzedzającym rok wejścia pierwszego biorównoważnego adalimumabu, oraz rzeczywistej liczby miligramów tej substancji zrefundowanej przez NFZ w latach 2019-2020.

Tabela 2. Liczba miligramów (mg), rzeczywista wysokość kwoty refundacji oraz szacunkowa wysokość kwoty refundacji dla infliksymabu w latach 2013-2020 w przypadku braku refundacji leków biopodobnych i utrzymywania się stałego kosztu terapii na poziomie leku referencyjnego

Infliksymab	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020
ilość w mg	958 714	1 422 089	1 519 884	1 833 163	2 976 943	3 852 507	4 223 328	3 540 729
rzeczywista kwota refundacji (mln zł)	20,314	20,475	19,139	20,996	33,326	39,378	26,954	13,518
szacunkowa kwota refundacji (mln zł)	20,314	30,132	32,204	38,842	63,078	81,630	89,487	75,024
różnica (mln zł)	-	9,657	13,065	17,847	29,752	42,252	62,533	61,506

Tabela 3. Liczba miligramów (mg), rzeczywista wysokość kwoty refundacji oraz szacunkowa wysokość kwoty refundacji dla etanerceptu w latach 2015-2020 w przypadku braku refundacji leków biorównoważnych i utrzymywania się stałego kosztu terapii na poziomie leku referencyjnego

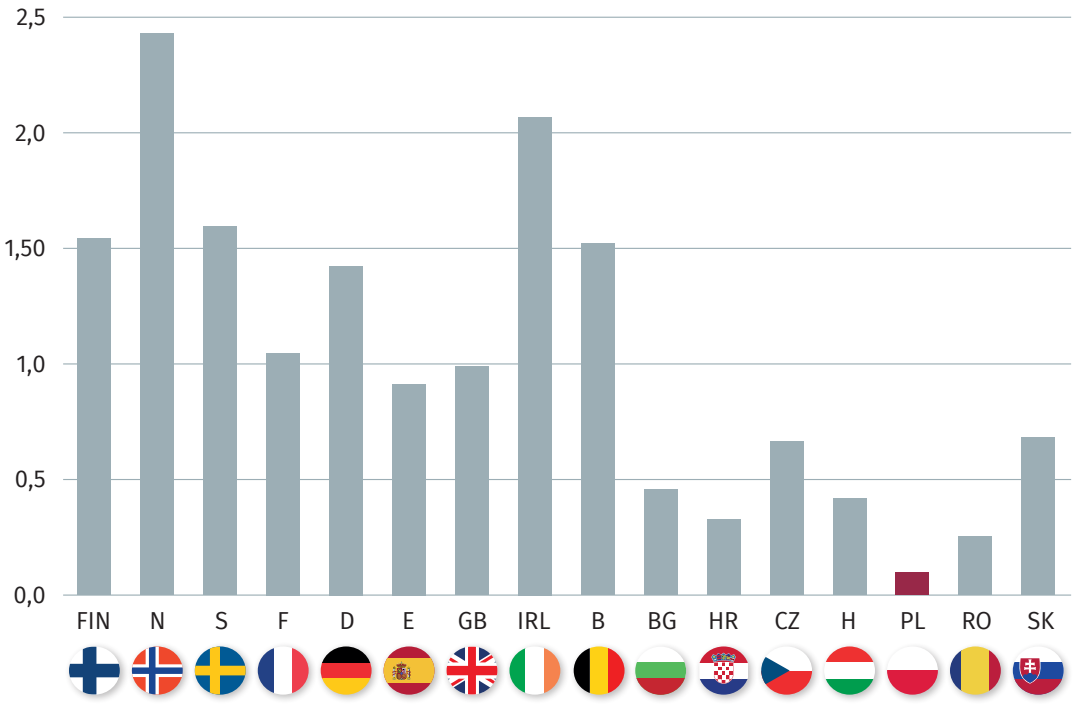
Etanercept	2015	2016	2017	2018	2019	2020
ilość w mg	4 296 845	4 379 420	4 388 646	4 668 625	5 690 556	5 319 026
rzeczywista kwota refundacji (mln zł)	81,433	75,442	59,581	44,542	38,103	29,099
szacunkowa kwota refundacji (mln zł)	81,433	82,998	83,173	88,479	107,847	100,806
różnica (mln zł)	-	7,557	23,592	43,938	69,743	71,706

Tabela 4. Liczba miligramów (mg), rzeczywista wysokość kwoty refundacji oraz szacunkowa wysokość kwoty refundacji dla adalimumabu w latach 2018-2020 w przypadku braku refundacji leków biorównoważnych i utrzymywania się stałego kosztu terapii na poziomie leku referencyjnego

Adalimumab	2018	2019	2020
ilość w mg	3 180 887	3 977 606	3 707 040
rzeczywista kwota refundacji (mln zł)	132,011	50,549	24,621
szacunkowa kwota refundacji (mln zł)	132,011	165,076	153,847
różnica (mln zł)	-	114,527	129,226

Zgodnie z danymi publikowanymi przez stowarzyszenie Medicines for Europe – Biosimilar Medicines Group leki biologiczne biorównoważne stanowią bardzo wysoki odsetek w Polsce: infliksymab – 98,63%, etanercept – 74,48%, adalimumab – 80,11%. Pomimo wynikających z tego znaczących oszczędności, dostęp do leczenia inhibitorami TNF-alfa jest w Polsce najniższy w Europie (wykres 1).

Wykres 1. Dostęp do leczenia inhibitorami TNF-alfa w poszczególnych krajach europejskich w 2020 r. (liczba dni leczenia w ciągu całego roku przypadająca na jednego mieszkańca w danym kraju)



4. Bariery w dostępie do leczenia biologicznego w Polsce

Niski odsetek chorych leczonych biologicznie w Polsce wynika wprost z przyjętego przez płatnika publicznego modelu finansowania tychże leków w ramach programów lekowych w lecznictwie szpitalnym. Cechą charakterystyczną większości programów lekowych są bardzo restrykcyjne kryteria włączenia, które zazwyczaj są istotnie zawężone zarówno w stosunku do wskazań rejestracyjnych poszczególnych leków, jak i rekomendacji towarzystw naukowych, a co za tym idzie – praktyki klinicznej w innych państwach Unii Europejskiej. Spośród wskazań klinicznych, które obejmują ww. programy lekowe, w części z nich kryteria terapii inhibitorami TNF-alfa są zgodne z rekomendacjami (ŁZS, ZZSK, nrSpA, łuszczyca plackowata, WZJG), ale nadal w innych (tj. RZS, ChL-C) nie pozwalają na rozpoczęcie leczenia w pełni zgodnie z rekomendacjami oraz rejestracją (tabela 5).

Tabela 5. Porównanie wskazań rejestracyjnych, rekomendacji towarzystw naukowych oraz wskazań refundacyjnych dla inhibitorów TNF-alfa w RZS i ChL-C w Polsce

Rozpoznanie	Wskazanie rejestracyjne dla inhibitora TNF-alfa	Rekomendacje naukowe	Program lekowy
RZS	Leczenie czynnego reumatoidalnego zapalenia stawów o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego u dorosłych pacjentów, gdy odpowiedź na leki modyfikujące przebieg choroby, w tym metotreksat, okazała się niewystarczająca.	Zgodnie z aktualnymi rekomendacjami EULAR (European Alliance of Associations for Rheumatology) inhibitory TNF-alfa stosuje się u pacjentów z RZS, u których nie uzyskano remisji lub niskiej aktywności choroby za pomocą terapii klasycznych.	Zgodnie z zapisami programu lekowego B.33 do terapii inhibitorem TNF-alfa kwalifikuje się pacjentów z rozpoznaniem RZS, z dużą aktywnością choroby – DAS28 > 5,1 albo DAS > 3,7, albo SDAI > 26, u których nastąpiło niepowodzenie terapii co najmniej dwoma lekami modyfikującymi przebieg choroby/lekami immunosupresyjnymi, takimi jak metotreksat, leflunomid, sulfasalazyna oraz leki antymalaryczne.
ChL-C	Leczenie umiarkowanej do ciężkiej czynnej postaci choroby Leśniowskiego-Crohna u dorosłych pacjentów, którzy nie wykazali odpowiedzi na pełny i odpowiedni kurs leczenia kortykosteroidem oraz (lub) lekiem immunosupresyjnym lub nie tolerują takiego leczenia, lub jest ono u nich przeciwwskazane ze względów medycznych.	Zgodnie z aktualnymi rekomendacjami ECCO (European Crohn's and Colitis Organisation) inhibitory TNF-alfa (infliksymab, adalimumab) stosuje się w celu wywołania remisji u pacjentów z umiarkowaną do ciężkiej postacią choroby Leśniowskiego-Crohna, którzy nie odpowiedzieli na terapię konwencjonalną oraz w terapii podtrzymującej u pacjentów, którzy osiągnęli remisję.	Zgodnie z zapisami programu lekowego B.32 do terapii inhibitorem TNF-alfa kwalifikuje się pacjentów z ciężką czynną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna (wynik w skali CDAI powyżej 300 punktów u dorosłych od momentu ukończenia 18. roku życia) przy braku odpowiedzi na leczenie glikokortykosteroidami lub lekami immunosupresyjnymi, lub pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna cechującą się wytworzeniem przetok okołoodbytowych, którzy nie odpowiedzieli na leczenie podstawowe: antybiotyki, leki immunosupresyjne, leczenie chirurgiczne, niezależnie od nasilenia choroby.

Nie bez znaczenia dla niskiej dostępności pozostają także aspekty związane z organizacją udzielania świadczeń w lecznictwie szpitalnym, a w szczególności niedoszacowanie wyceny świadczeń opieki zdrowotnej, niedoszacowanie wielkości kontraktu, które wynika m.in. z braku możliwości uwzględniania w planie finansowym NFZ kolejki oczekujących na leczenie i rzeczywistego wykonania kontraktu za rok ubiegły, a także brak gwarancji wypłaty za świadczenia wykonane ponad limit określony w umowie (tzw. nadwykonania), jak również brak motywacji finansowej dla szpitali oraz personelu medycznego.

Jedyną zachętą ze strony płatnika publicznego, która miała stymulować szpitale do realizacji programów lekowych, było wprowadzenie przez NFZ podniesionej wyceny świadczeń dla szpitali, w których stosowano najtańsze terapie. Mechanizm ten, poprzez optymalne wykorzystanie wysokości kontraktu, miał z kolei prowadzić do poprawy dostępności pacjentów do leczenia.

Współczynnik korygujący, bo o nim mowa, może zostać zastosowany do podniesienia wartości produktu rozliczeniowego z katalogu ryczałtów lub świadczenia z katalogu świadczeń wyłącznie w przypadku, gdy w trakcie terapii określonego świadczeniobiorcy w danym okresie koszt każdej wskazanej zarządzeniem i rozliczonej jednostki substancji czynnej jest nie większy niż koszt określony przez płatnika.

Aby współczynnik ten pełnił zakładaną funkcję, świadczeniodawca powinien posiadać odpowiednio wysoki kontrakt na świadczenia opieki zdrowotnej lub gwarancję wypłaty tzw. nadwykonań. Tymczasem część świadczeniodawców realizujących programy lekowe nadal boryka się z niedoszacowaniem wysokości środków na świadczenia. Rozliczanie przez szpitale świadczeń z podniesioną wyceną przy nieadekwatnej wysokości kontraktu w większości przypadków skutkuje jedynie szybszym zużyciem środków finansowych przeznaczonych na prowadzenie programów lekowych, co w konsekwencji może doprowadzić nawet do pogorszenia dostępności pacjentów do leczenia.

Jak pokazuje praktyka, współczynnik korygujący wydaje się być jedynie narzędziem stymulującym producentów do sukcesywnego obniżania cen leków do wartości umożliwiającej zastosowanie współczynnika przez szpitale, co z kolei generuje kolejne oszczędności w programach lekowych. Jednak bez adekwatnej wysokości kontraktu na świadczenia opieki zdrowotnej oraz przy braku motywacji finansowej dla personelu medycznego do prowadzenia coraz większej liczby pacjentów, oszczędności te nie wpłyną na poprawę dostępności do leczenia biologicznego.

Kolejną barierą w dostępie do leczenia jest także liczba ośrodków realizujących dany program (tabela 6). Przykładowo, w przypadku pacjentów z łuszczycą plackowatą, których populacja w Polsce może sięgać ok. 700 tys., leczenie w programie lekowym prowadzone jest w zaledwie 40 ośrodkach.

Tabela 6. Liczba świadczeniodawców realizujących programy lekowe B.32, B.33, B.35, B.36, B.47, B.55 oraz B.82 w 2020 r.

Województwo	B.32	B.33	B.35	B.36	B.47	B.55	B.82	Unikalna liczba świadczeniodawców
Dolnośląskie	5	8	7	6	3	3	6	12
Kujawsko-pomorskie	5	4	3	3	3	4	3	7
Lubelskie	4	6	3	1	1	4	2	9
Lubuskie	2	2	2	2	1	2	2	4
Łódzkie	6	6	7	5	3	6	4	11
Małopolskie	4	6	5	4	3	4	5	10
Mazowieckie	8	5	5	5	5	8	4	14
Opolskie	1	1	2	1	1	1	1	2
Podkarpackie	4	8	11	7	5	4	4	12
Podlaskie	4	3	2	2	1	3	1	4
Pomorskie	3	4	5	4	2	3	4	6
Śląskie	7	9	8	8	4	8	4	20
Świętokrzyskie	1	3	4	3	2	1	3	4
Warmińsko-mazurskie	3	3	2	2	2	2	2	4
Wielkopolskie	3	8	7	6	1	3	5	10
Zachodniopomorskie	3	3	2	2	3	2	1	4
Łącznie	**63**	**79**	**75**	**61**	**40**	**58**	**51**	**133**

Analizując wartość kontraktu przypadającą na jednego mieszkańca w każdym z województw, można pośrednio wnioskować o skali dostępności do leczenia w ramach poszczególnych programów lekowych w danym regionie kraju (tabela 7). Wskaźnik ten dla każdego programu lekowego, nieuwzględniający migracji pacjentów pomiędzy oddziałami wojewódzkimi NFZ, został obliczony dla roku 2020 w oparciu o opublikowaną przez Główny Urząd Statystyczny liczbę ludności zamieszkującą dane województwo. Najwyższą wartość kontraktu na jednego mieszkańca w programach lekowych w obszarze reumatologii (B.33, B.35, B.36, B.82) przeznacza Małopolski Oddział Wojewódzki NFZ, w programach lekowych w obszarze dermatologii (B.47) i gastroenterologii (B.32 i B.55) – Mazowiecki Oddział Wojewódzki. Najniższe wartości kontraktów na jednego mieszkańca w przypadku większości programów lekowych przeznaczane są w województwach: lubelskim, lubuskim, opolskim, warmińsko-mazurskim oraz zachodniopomorskim.

Tabela 7. Wartość kontraktu przypadająca na jednego mieszkańca w poszczególnych oddziałach wojewódzkich NFZ w 2020 r. w programie lekowym B.32, B.33, B.35, B.36, B.47, B.55 oraz B.82 (kolorem zielonym zaznaczono województwa z najlepszym dostępem, a czerwonym z najgorszym dostępem do każdego programu lekowego)

Województwo	B.32	B.33	B.35	B.36	B.47	B.55	B.82
Dolnośląskie	0,54	4,10	0,95	1,66	0,89	0,32	0,28
Kujawsko-pomorskie	0,98	3,55	1,51	1,57	0,34	0,46	0,29
Lubelskie	0,86	**1,61**	0,46	0,44	0,74	0,50	0,04
Lubuskie	0,23	2,22	0,64	0,92	0,53	0,07	0,17
Łódzkie	0,58	3,84	1,61	1,30	1,24	0,54	0,07
Małopolskie	0,67	**5,42**	**2,33**	**2,52**	0,27	0,24	**0,32**
Mazowieckie	**1,37**	2,76	0,74	1,51	**1,58**	**0,83**	0,14
Opolskie	**0,17**	1,71	**0,18**	**0,37**	0,32	0,11	0,05
Podkarpackie	1,02	2,61	0,67	1,17	1,15	0,62	0,13
Podlaskie	0,82	3,21	0,68	1,10	**0,05**	0,57	0,06
Pomorskie	0,68	2,43	1,20	1,35	0,87	0,54	0,09
Śląskie	0,39	3,56	0,97	1,57	0,65	0,25	0,03
Świętokrzyskie	0,40	3,32	1,01	2,23	1,42	0,71	0,05
Warmińsko-mazurskie	0,27	2,34	0,48	0,77	0,78	**0,06**	**0,02**
Wielkopolskie	0,84	3,87	1,14	1,45	0,55	0,64	0,17
Zachodniopomorskie	0,34	2,82	1,27	0,53	0,38	0,42	0,07
Średnia dla kraju	**0,73**	**3,29**	**1,07**	**1,41**	**0,81**	**0,47**	**0,14**

Z danych Medicines for Europe – Biosimilar Medicines Group pochodzących z publikacji *The 2020 Market Review – European Biosimilar Medicine Markets – Policy Overview*, wynika że Polska jest w zdecydowanej mniejszości krajów (razem z Danią, Hiszpanią, Holandią, Portugalią, Węgrami, Wielką Brytanią oraz Włochami), w których dostęp do leków biologicznych jest zapewniony wyłącznie w lecznictwie szpitalnym (tabela 8).

Tabela 8. Dostępność leków biologicznych w lecznictwie szpitalnym i opiece ambulatoryjnej w poszczególnych krajach europejskich

Kraj		Apteka szpitalna			Apteka ogólnodostępna		
		Adalimumab	Etanercept	Infliksymab	Adalimumab	Etanercept	Infliksymab
	A	✓	✓	✓	✓	✓	✓
	B	✓	✓	✓	✓	✓	×
	BG	✓	×	✓	✓	×	✓
	HR	×	✓	✓	✓	✓	×
	CZ	✓	✓	✓	✓	×	×
	DK	✓	✓	✓	×	×	×
	EST	×	×	✓	✓	✓	×
	FIN	×	×	✓	✓	✓	×
	F	✓	✓	✓	×	✓	×
	E	✓	✓	✓	×	×	×
	NL	✓	✓	✓	×	×	×
	IRL	×	✓	✓	✓	✓	✓
	LT	×	×	×	✓	✓	✓
	LV	×	×	×	✓	✓	✓
	D	✓	✓	✓	✓	✓	✓
	PL	✓	✓	✓	×	×	×
	P	✓	✓	✓	×	×	×
	RO	×	×	×	×	✓	✓
	SK	✓	✓	✓	✓	✓	×
	SL	×	×	✓	✓	✓	×
	S	×	×	✓	✓	✓	×
	CH	✓	✓	✓	✓	✓	✓
	TR	✓	×	✓	×	×	✓
	H	✓	✓	✓	×	×	×
	GB	✓	✓	✓	×	×	×
	I	✓	✓	✓	×	×	×

W pozostałych krajach leki biologiczne dostępne są zarówno w lecznictwie szpitalnym, jak i w otwartym. W niektórych państwach, jak w Estonii, Finlandii, Słowenii i Szwecji, w warunkach szpitalnych dostępny jest jedynie dożylny infliksymab, a leki podawane podskórnie dostępne są w aptekach ogólnodostępnych. W zdecydowanej większości krajów, do których należą Austria, Belgia, Bułgaria, Chorwacja, Francja, Irlandia, Niemcy, Słowacja i Szwajcaria, adalimumab lub etanercept dostępne są dla chorych zarówno w szpitalach, jak i w aptekach ogólnodostępnych. Ostatni z wymienionych modeli byłby optymalny z punktu widzenia systemu ochrony zdrowia i pacjentów w Polsce.

W większości państw europejskich leki biologiczne, w szczególności w postaci podskórnej, są zatem dostępne w aptekach ogólnodostępnych. Z danych pochodzących z opublikowanego przez Polski Związek Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego opracowania *Refundacja apteczna adalimumabu – przykłady z UE* wynika, że zarówno inicjacja, jak i kontynuacja leczenia lekami biologicznymi podawanymi podskórnie ma miejsce głównie w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej. Wyjątek stanowią: Bułgaria, Estonia, Chorwacja oraz Francja, w przypadku których leczenie biologiczne inicjowane jest wyłącznie w warunkach szpitalnych. Z kolei tylko Chorwacja, Finlandia oraz Szwecja dopuszczają możliwość wystawiania recept na kontynuację leczenia przez lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej.

Dane dostarczone na potrzeby niniejszego raportu przez Polski Związek Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego, dotyczące sprzedaży adalimumabu w Chorwacji w latach 2017-2020 oraz estymowanej na tej podstawie liczby leczonych chorych pokazują, że największy wzrost liczby pacjentów odnotowano tam w latach 2019-2020, a związany był on z obejmowaniem w tym czasie refundacją kolejnych leków biologicznych biorównoważnych. Liczba chorych leczonych adalimumabem w 2018 r. (dostępne trzy leki biorównoważne i lek referencyjny) względem roku 2017 wzrosła zaledwie o 5%. W roku 2019 (dostępnych pięć leków biorownoważnych i lek referencyjny) liczba leczonych wzrosła już o 53% względem 2017 r. Zwiększenie konkurencji rynkowej, także pomiędzy lekami biologicznymi biorównoważnymi, spowodowało wzrost liczby leczonych chorych o 46% w 2019 r. względem roku 2018. Ponadto w drugiej połowie 2019 r. nastąpiło przejście adalimumabu z lecznictwa zamkniętego do aptek ogólnodostępnych, co przyniosło wzrost leczonych chorych w 2020 r. o dalsze 24,5% względem roku poprzedniego. Całkowity wzrost liczby pacjentów leczonych w 2020 r. względem roku 2017, związany z refundacją leków biologicznych równoważnych oraz refundacją adalimumabu w aptekach ogólnodostępnych, wyniósł zatem ok. 90%.

Bez względu na obowiązujące w danym kraju zasady refundacji leków biologicznych, we wszystkich z nich pacjenci mają zdecydowanie lepszy dostęp do terapii niż Polsce, co przekłada się na liczby i odsetek leczonych w danej populacji chorych. Ograniczenia finansowe budżetów państw o niższych dochodach, które odgrywały kluczową rolę w ograniczonym dostępie do innowacyjnych terapii przed laty, nie powinny mieć obecnie miejsca. Leczenie biologiczne w chorobach autoimmunizacyjnych stało się wysoko efektywne kosztowo i brak szerokiego dostępu do niego niesie ze sobą ogromne koszty pośrednie dla całego systemu ochrony zdrowia.

5. Realne zwiększanie dostępu do terapii biologicznych w Polsce

Nierówności w dostępie do leczenia biologicznego w chorobach autoimmunizacyjnych w Europie są szczególnie widoczne pomiędzy krajami jej części środkowo-wschodniej i zachodniej. Niestety dostępność polskich pacjentów do leczenia biologicznego jest dodatkowo najniższa wśród krajów regionu. Przedstawiany powyżej przykład dotyczący inhibitorów TNF-alfa dobrze ilustruje dostępność do leków z tej grupy w Polsce – jest kilkukrotnie niższa niż w Czechach i na Słowacji oraz dwu- lub trzykrotnie niższa niż w Bułgarii, Chorwacji, Rumunii i na Węgrzech.

5.1 Poprawa dostępu do programów lekowych

Poprawa dostępności do terapii biologicznych w Polsce powinna odbywać się jednocześnie na dwóch niezależnych polach refundacji – w ramach programów lekowych oraz refundacji aptecznej. Dla programów lekowych kluczowe – z punktu widzenia dostępności – są przede wszystkim możliwość tworzenia opisów tychże programów zgodnie z rekomendacjami i aktualną wiedzą medyczną, a także wzrost wyceny oraz zmiana modelu finansowania świadczeń w nich realizowanych.

Programy lekowe w chorobach autoimmunizacyjnych przeszły w ostatnich dwóch latach (2020-2021) bardzo gruntowne zmiany. Najważniejsze z nich to:

1. w obszarze reumatologii:

- zniesienie administracyjnego ograniczenia czasu leczenia dla pacjentów z RZS, MIZS, ŁZS, ZZSK i SpA,
- wprowadzenie możliwości optymalizacji dawkowania leków (zmniejszanie dawek lub wydłużanie odstępu pomiędzy kolejnymi dawkami) u wszystkich pacjentów, u których uzyskano cel terapii,
- wprowadzenie możliwości kwalifikacji do programu pacjentów z obwodową postacią ŁZS i SpA od stopnia umiarkowanej aktywności choroby (co najmniej 3 zajęte stawy lub przyczepy ścięgniste lub DAS28 > 3,2, lub DAS > 2,4), a w przypadku pacjentów z ŁZS z umiarkowaną lub ciężką łuszczycą już w przypadku zajęcia co najmniej 1 stawu lub przyczepu ścięgnistego,
- wprowadzenie oceny skuteczności klasycznych leków modyfikujących po 3 miesiącach w RZS, MIZS, obwodowej postaci SpA i ŁZS,
- wprowadzenie możliwości kwalifikacji do programu pacjentów z RZS po nieskuteczności monoterapii metotreksatem, jeśli występują czynniki ryzyka złej prognozy zgodnie z obowiązującymi rekomendacjami EULAR;

2. w obszarze dermatologii:

- wprowadzenie możliwości kwalifikacji do programu pacjentów od stopnia umiarkowanej aktywności choroby dla inhibitorów TNF-alfa (wartości wskaźnika PASI > 10) oraz jednego z inhibitorów interleukiny 23 (IL-23),
- zniesienie administracyjnego ograniczenia czasu leczenia dla inhibitorów TNF-alfa,
- wprowadzenie zapisu umożliwiającego pacjentom niespełniającym części kryteriów opisanych w programie, w przypadkach, w których zmiany łuszczycowe zajmują miejsca szczególnie wrażliwe, jak paznokcie i skórę głowy lub okolice anogenitalną, włączenie do programu lekowego decyzją Zespołu Koordynacyjnego, jeśli leczenie jest zgodne z aktualnie obowiązującymi rekomendacjami oraz wiedzą medyczną;

3. w obszarze gastroenterologii:

- wprowadzenie możliwości kwalifikacji do programu pacjentów od stopnia umiarkowanej aktywności choroby dla pacjentów z WZJG,
- zniesienie administracyjnego ograniczenia czasu leczenia dla pacjentów z ChL-C oraz WZJG.

Obowiązujące kryteria programów lekowych, w zależności od wskazania klinicznego, pozwalają obecnie na:

- szybkie włączenie terapii po nieskuteczności leczenia klasycznego (dotyczy RZS, częściowo postaci obwodowej ŁZS),
- wczesne włączenie terapii w umiarkowanym stopniu aktywności choroby zgodnie z rekomendacjami (dotyczy większości wskazań w reumatologii z wyjątkiem RZS, WZJG oraz wybranych leków w terapii łuszczycy plackowatej),

- osiągnięcie i utrzymanie trwałego efektu terapii (dotyczy wszystkich wskazań w reumatologii, gastroenterologii oraz wybranych leków w programie leczenia łuszczycy),
- optymalizację dawkowania w trakcie przewlekłej terapii (dotyczy wszystkich wskazań w reumatologii i dermatologii).

Kolejne najpilniejsze potrzebne zmiany w opisie programów lekowych w przedmiotowych obszarach terapeutycznych zgodnie z propozycjami ekspertów klinicznych dotyczą:

- umożliwienia pacjentom z RZS kwalifikacji do programu od stopnia umiarkowanej aktywności choroby (DAS28 >3,2 lub DAS >2,4),
- skrócenia czasu nieskutecznego leczenia dwoma lekami z grupy NLPZ u pacjentów z ZZSK, osiową postacią ŁZS i SpA oraz u pacjentów z obwodową postacią ŁZS i SpA z zapaleniem przyczepów ścięgnistych do 4 tygodni łącznie,
- umożliwienia pacjentom z ChL-C kwalifikacji do programu od stopnia umiarkowanej aktywności choroby (PCDAI ≥ 30 oraz CDAI > 220),
- umożliwienia pacjentom z łuszczycą kwalifikacji do programu od stopnia umiarkowanej aktywności choroby w przypadku wszystkich leków,
- zniesienia administracyjnego ograniczenia czasu leczenia dla wszystkich leków stosowanych w leczeniu łuszczycy.

W aspekcie modelu finansowania świadczeń realizowanych w programach lekowych oczekiwaniem ze strony ekspertów klinicznych ze wszystkich dziedzin medycyny jest przesunięcie ciężaru opieki nad pacjentem do trybu ambulatoryjnego. Nowy model finansowania miałby opierać się na *rocznym ryczałcie za przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym*, który uzupełniłby *Katalog świadczeń i zakresów – leczenie szpitalne – programy lekowe*. Ryczałt ten byłby rozliczany w okresie rocznym do wysokości kwoty ryczałtu odpowiadającej 12-krotności wyceny porady ambulatoryjnej (*przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu*), tj. do kwoty 1 297,92 zł. W przypadku świadczeniodawców, u których odsetek rozliczonych świadczeń ambulatoryjnych u pacjentów stosujących leki w postaci doustnej lub podskórnej w realizowanym programie lekowym w danym roku przekroczyłby 99% (poniżej 1% rozliczonych świadczeń w trybie jednodniowymi lub hospitalizacji), bazowa wartość rozliczonego *rocznego ryczałtu za przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym*, zgodnie z założeniami autorów tego rozwiązania, mogłaby zostać dodatkowo skorygowana do kwoty 1 946,88 zł.

Roczny ryczałt ambulatoryjny mógłby w przyszłości zastąpić dotychczas funkcjonujące świadczenia realizowane w trybie ambulatoryjnym, tj. *przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu* oraz dotyczące części programów lekowych – *przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu*.

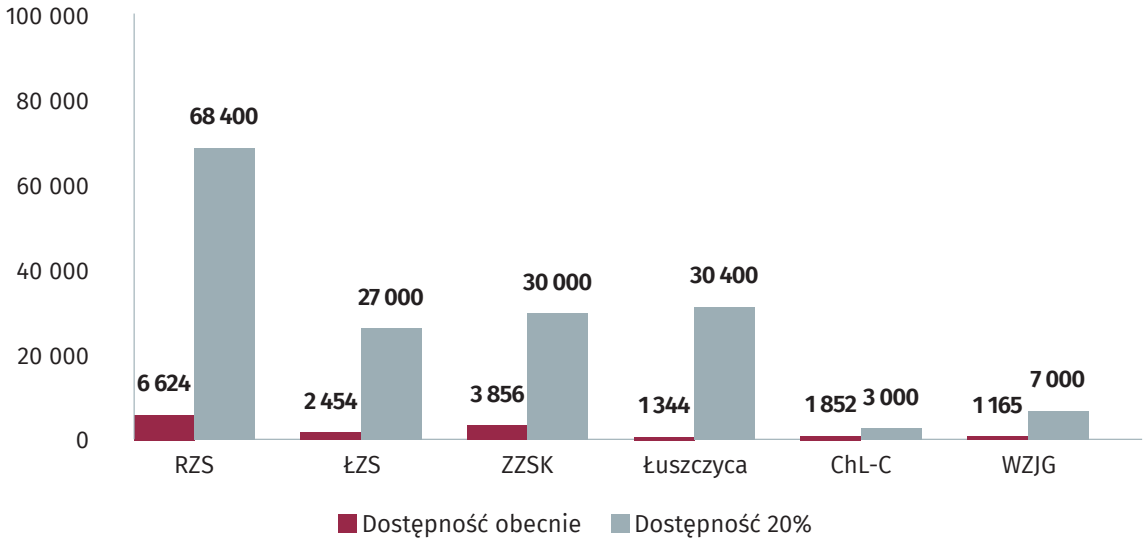
Proponowane zmiany modelu ambulatoryjnego w programach lekowych zostały opracowane w raporcie *Dostępność terapii i świadczeń w programach lekowych w chorobach autoimmunologicznych*, który powstał pod patronatem Rzecznika Praw Pacjenta, konsultant krajowej w dziedzinie reumatologii, konsultant krajowej w dziedzinie neurologii, konsultant krajowej w dziedzinie dermatologii i wenerologii, konsultanta krajowego w dziedzinie gastroenterologii, Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego (PTR), Polskiego Towarzystwa Neurologicznego (PTN) oraz licznych organizacji pacjentów. W oficjalnym stanowisku opublikowanym na stronie PTR oraz przesłanym do Ministerstwa Zdrowia i Narodowego Funduszu Zdrowia, Polskie Towarzystwo Reumatologiczne proponuje przedmiotowe rozwiązanie jako optymalne z punktu widzenia pacjenta, szpitala, ale także płatnika publicznego. W debacie publicznej poparcie dla tego rozwiązania deklarują także przedstawiciele pozostałych dziedzin klinicznych, w tym przedstawiciele organizacji pacjentów.

Wejście w życie proponowanego rozwiązania, zdaniem licznych ekspertów, może pozwolić na zmniejszenie liczby nieuzasadnionych klinicznie hospitalizacji i zwiększenie liczby preferowanych przez pacjentów świadczeń ambulatoryjnych. Zgodnie z założeniami nowy model finansowania świadczeń będzie premiować świadczeniodawców, którzy realizują świadczenia ambulatoryjne w programach lekowych i będzie motywować ich do zmiany struktury udzielanych świadczeń. Dodatkowe premiowanie świadczeniodawców w tym modelu może stać się pierwszym przykładem systemowych pozytywnych zachęt dla podmiotów realizujących programy lekowe, które w dłuższej perspektywie mogą przyczynić się do zwiększenia liczby leczonych chorych.

5.2 Dostęp do leczenia biologicznego w aptekach ogólnodostępnych

Zwiększenie dostępności chorych w Polsce do terapii biologicznych, w szczególności w dobie leków biologicznych biorównoważnych, powinno stać się priorytetem krajowej polityki lekowej. Aby polscy pacjenci mogli liczyć na leczenie podobne do terapii chorych z innych krajów europejskich, dostępność do leczenia lekami biologicznymi w chorobach autoimmunizacyjnych powinna sięgać ok. 20-30% leczonych chorych. W przypadku reumatoidalnego zapalenia stawów byłby to wzrost od 68 400 do 102 600 leczonych chorych, w przypadku zesztywniającego zapalenia stawów kręgosłupa od 30 000 do 45 000, w przypadku łuszczycowego zapalenia stawów od 27 000 do 40 500, a w przypadku łuszczycy plackowatej w stopniu umiarkowanym i ciężkim od 30 400 do 45 600. Najmniejszy wzrost liczby leczonych pacjentów dotyczyłby pacjentów z nieswoistymi chorobami zapalnymi jelit – w przypadku choroby Leśniowskiego-Crohna od 3 000 do 4 500, a wrzodziejącego zapalenia jelita grubego od 7 000 do 10 500.

Wykres 2. Skala koniecznego wzrostu liczby leczonych biologicznie pacjentów w Polsce w celu osiągnięcia minimalnego wskaźnika dostępności w krajach rozwiniętych na poziomie 20%



Tak znaczący wzrost liczby leczonych chorych nie będzie możliwy w ramach dotychczas przyjętego przez płatnika publicznego modelu finansowania leczenia. Biorąc pod uwagę wszystkie opisane powyżej bariery w dostępie do programów lekowych i zakładając wprowadzenie pozytywnych zmian, o które od lat walczą klinicyści ze wszystkich dziedzin medycyny w obszarze chorób autoimmunizacyjnych, obejmujących wszystkie wymieniane aspekty, tj. wąskie kryteria kwalifikacji, a także niedoszacowane wyceny świadczeń opieki zdrowotnej oraz niedoszacowane wielkości kontraktu, które wpływają na brak motywacji finansowej szpitali, jak również brak motywacji finansowej dla personelu medycznego prowadzącego pacjentów w programach lekowych, można się spodziewać zaledwie kilkuprocentowego wzrostu leczonych chorych. Wyjątek mogą stanowić programy lekowe *Leczenia pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna* oraz *Leczenia pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego*, w których skala koniecznego wzrostu liczby leczonych biologicznie pacjentów jest najmniejsza.

Kluczową zmianą, która wydaje się konieczna dla realnego zwiększenia dostępności do leczenia, jest wprowadzanie leków biologicznych, refundowanych dotąd wyłącznie w programach lekowych, do refundacji aptecznej. Udostępnienie leków w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej od lat jest postulowane przez liczne organizacje pacjenckie, jak również przez ekspertów klinicznych.

W stanowisku Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego opublikowanym 10 września 2021 r., dotyczącym uwag do projektu nowelizacji ustawy refundacyjnej z 30 czerwca 2021 r. czytamy:

Ustawa refundacyjna powinna także zapewniać możliwości prowadzenia terapii lekami biologicznymi w lecznictwie otwartym (ambulatoryjna opieka specjalistyczna) poprzez sukcesywne poszerzanie kategorii dostępności refundacyjnej dla leków stosowanych dotychczas wyłącznie w ramach programów lekowych i wprowadzanie ich do aptek ogólnodostępnych (system hybrydowy/mieszany). Dostępność do tego samego leku, zarówno w ra-

mach programu lekowego, jak i w aptece zapewni swobodny przepływ chorych z programów lekowych do lecznictwa otwartego. Obejmowanie leków biologicznych kolejną kategorią dostępności refundacyjnej powinno następować dla danej substancji czynnej już z chwilą pojawienia się pierwszego leku biologicznego biopodobnego. Obecność leków biologicznych w dwóch ww. kategoriach dostępności refundacyjnej powinna zostać poprzedzona zrównaniem kryteriów pomiędzy programem lekowym a refundacją aptieczną. Ustawa refundacyjna powinna gwarantować tworzenie opisów programów lekowych zgodnie z rekomendacjami polskich i międzynarodowych medycznych towarzystw naukowych oraz aktualną wiedzą medyczną, we współpracy z towarzystwem naukowym oraz konsultantem krajowym z danej dziedziny medycyny. Powyższe cele mają zapewnić pacjentom w Polsce możliwość efektywnej terapii prowadzonej w sposób dający największą szansę na osiągnięcie remisji choroby. Poszerzenie kategorii dostępności dla leków biologicznych w ewolucyjny sposób zwiększy dostęp do terapii dla pacjentów, a tym samym przyczyni się do poprawy efektów leczenia w całej populacji chorych.

Ponadto Polskie Towarzystwo Reumatologiczne trafnie wskazuje, że:

Leczenie, aby było efektywne u danego pacjenta, powinno być stosowane zgodnie z aktualną wiedzą medyczną i rekomendacjami towarzystw naukowych. Stosując nieuzasadnione ograniczenia administracyjne, marnotrawimy środki publiczne oraz wysiłek lekarzy, a pacjentów narażamy na postęp choroby i cierpienie. Poprawa efektywności terapii całej populacji chorych wymaga poszerzanie kategorii dostępności refundacyjnej dla leków stosowanych dotychczas wyłącznie w ramach programów lekowych i wprowadzanie ich do aptek ogólnodostępnych w bezpiecznym dla pacjentów systemie hybrydowym/mieszanym.

Funkcjonujący obecnie od lat model dostępności do leczenia biologicznego tylko w ramach lecznictwa zamkniętego powoduje, że liczba lekarzy mogących prowadzić takie leczenie jest ograniczona. Skutkuje to tym samym ograniczoną liczbą lekarzy mających dostateczną wiedzę i doświadczenie w stosowaniu tychże terapii, co jest bardzo ważne z punktu widzenia osiąganych celów leczenia i jego bezpieczeństwa. Nie da się w związku z tym przejść rewolucyjnie z systemu „zamkniętego" do „otwartego", ponieważ może to skutkować paradoksalnie gorszym dostępem do terapii dla pacjentów. Proces ten należy przeprowadzić sukcesywnie, dając możliwość stosowania tych samych leków w obu kategoriach refundacyjnych, a tym samym czas niezbędny do wyszkolenia kolejnych specjalistów mogących sprawować opiekę nad pacjentami. Część lekarzy już teraz jest dostatecznie wykształcona, aby móc podjąć się leczenia chorych w specjalistycznej opiece ambulatoryjnej, choć jednym z etapów przejściowych może być także inicjowanie terapii w dotychczasowych ośrodkach prowadzących programy lekowe, a jej kontynuowanie w lecznictwie otwartym. System powinien zapewniać pacjentom płynne przechodzenie z programu lekowego do lecznictwa otwartego, a także z lecznictwa otwartego do programu lekowego, także w przypadku kontynuowania terapii tym samym lekiem.

W celu umożliwienia refundacji leków stosowanych obecnie w ramach programów lekowych, także w lecznictwie otwartym w aptekach ogólnodostępnych w tych samych wskazaniach, zmiany wymaga definicja programu lekowego. Polskie Towarzystwo Reumatologiczne, zgodnie z opublikowanym stanowiskiem, przesłało do ministra zdrowia propozycję zmiany art. 2 pkt 18 ustawy refundacyjnej, która to umożliwi. Taki model dostępu do leczenia biologicznego w Polsce jest także popierany przez ekspertów z dziedziny gastroenterologii i dermatologii. Szczególnie ważne wydaje się inicjowanie w warunkach szpitalnych i kontynuacja w lecznictwie otwartym (w przypadku dobrej odpowiedzi i dobrej tolerancji) terapii w chorobach zapalnych jelit.

Prawidłowa opieka nad chorymi leczonymi lekami biologicznymi w ambulatoryjnym lecznictwie specjalistycznym będzie wymagała również wprowadzenia nowych świadczeń związanych z kwalifikacją do leczenia biologicznego i jego monitorowaniem. Na chwilę obecną koszty badań diagnostycznych niezbędnych do kwalifikacji do leczenia biologicznego oraz do oceny skuteczności i bezpieczeństwa leczenia rozliczane są przez świadczeniodawcę w ramach tzw. ryczałtu diagnostycznego, określonego odrębnie dla każdego programu lekowego.

5.3 Wczesna diagnostyka chorób autoimmunizacyjnych

Ostatnim istotnym elementem z perspektywy dostępności do leczenia, umożliwiającym wczesne włączenie właściwej terapii, jest wprowadzenie szybkich ścieżek diagnostycznych oraz poprawa dostępu pacjentów do lekarzy specjalistów.

Przykładowo, w przypadku reumatoidalnego zapalenia stawów czas, jaki upływa od pierwszych objawów choroby do ustalenia rozpoznania i rozpoczęcia właściwego leczenia, jest w Polsce najdłuższy w Europie. Obecnie w kraju trudna jest w praktyce realizacja koncepcji optymalnego leczenia chorób zapalnych stawów zgodna z zaleceniami EULAR, opierająca się na wykorzystaniu tzw. okna terapeutycznego – wczesnej interwencji, w ramach której chory powinien zostać zdiagnozowany w ciągu 6 tygodni od wystąpienia pierwszych objawów, a skuteczne leczenie powinno zostać wdrożone maksymalnie w 12. tygodniu choroby. Jednym z powodów takiego stanu jest późne diagnozowanie zapalnych chorób stawów. Niestety zbyt późno włączone właściwe leczenie oznacza mniejszą szansę na uzyskanie remisji choroby, co przekłada się na pogorszenie jakości życia chorego i wyższe koszty po stronie płatnika publicznego. Ponadto strukturalne uszkodzenie stawów, jakie pojawia się w przebiegu zapalenia, skutkuje trwałym i nieodwracalnym upośledzeniem funkcji. W przypadku łuszczycowego zapalenia stawów czas od pojawienia się pierwszych objawów do wdrożenia skutecznego leczenia może wynosić w Polsce od 7 do 8 lat przy rekomendowanym nieprzekraczalnym okresie 6 miesięcy. Badania pokazują, że nawet 6-miesięczne opóźnienie w odbyciu pierwszej wizyty u reumatologa w przypadku ŁZS przyczynia się do rozwoju nadżerek stawów obwodowych i pogorszenia długotrwałej sprawności fizycznej. W jednym z badań amerykańskich nie odnotowano znaczącej poprawy czasu do rozpoznania ŁZS między 2000 a 2017 r., a ponad połowa pacjentów miała opóźnienie w rozpoznaniu powyżej 2 lat. Pacjenci w młodszym wieku w momencie wystąpienia objawów ŁZS, z wyższym BMI lub zapaleniem przyczepów ścięgnistych przed rozpoznaniem byli bardziej narażeni na otrzymanie diagnozy choroby dopiero po ponad 2 latach od wystąpienia objawów, podczas gdy pacjenci z łuszczycą łojotokową rzadziej notowali opóźnienia diagnostyczne. W przypadku łuszczycy plackowatej diagnoza choroby nie stanowi tak dużego problemu, ale kluczowe dla gorszego rokowania pacjentów jest znaczne opóźnienie rozpoczęcia leczenia systemowego w przypadku łuszczycy o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego.

Opóźnienie rozpoznania w osiowej SpA (axSpA) jest dłuższe niż w wielu innych chorobach reumatycznych. Wiąże się to z gorszymi wynikami leczenia, w tym upośledzeniem funkcjonalnym i niską jakością życia. W metaanalizie 64 badań łączne średnie opóźnienie diagnostyczne u pacjentów z axSpA wyniosło 6,7 roku (95% CI 6,2; 7,2) przy wysokim poziomie niejednorodności. Co ważne, podobnie jak w przypadku ŁZS, opóźnienie diagnozy nie uległo poprawie w czasie, gdy wyniki były stratyfikowane według roku publikacji. Co może zaskakiwać, badania z krajów o wysokich dochodach wykazały dłuższe opóźnienia niż te z krajów o dochodach średnich. Czynniki związane z dłuższymi opóźnieniami to niższy poziom wykształcenia, młodszy wiek w momencie wystąpienia objawów i brak objawów pozastawowych. W tej samej metaanalizie łączne opóźnienie diagnozy z 8 badań dotyczących ŁZS było znacznie krótsze i wynosiło 2,6 roku (95% CI 1,6, 3,6). W Polsce w przypadku osiowych spondyloartropatii opóźnienie diagnostyczne sięga nawet 10 lat.

Badania dotyczące opóźnień diagnostycznych w chorobach zapalnych jelit na przestrzeni ostatnich dekad także wskazują na brak skrócenia czasu od wystąpienia objawów do rozpoznania, chociaż opóźnienia te są znacznie krótsze niż w przypadku chorób reumatycznych i wynoszą do kilku miesięcy. Dłuższe opóźnienia dotyczą pacjentów z ChL-C. Należy podkreślić, że późna diagnoza ChL-C dotyczy także dzieci i, podobnie jak w przypadku MIZS, wiąże się z zaburzeniami wzrostu do czasu podjęcia skutecznego leczenia. W jednym z badań wykazano, że ok. 20% dzieci z WZJG lub ChL-C ma stawianą diagnozę ponad rok po wystąpieniu objawów. Czynnikiem, który został zidentyfikowany jako kluczowy, był czas, jaki upłynął do pierwszej wizyty u lekarza specjalisty. Znaczenie może mieć także naturalny przebieg choroby, która w początkowym okresie może nie wiązać się z typowymi manifestacjami ze strony przewodu pokarmowego.

Powyższe dane wskazują na potrzebę funkcjonowania szybkich ścieżek diagnostycznych umożliwiających wczesne postawienie rozpoznania i wdrożenie skutecznej terapii zanim dojdzie do nieodwracalnych powikłań. Przykładem takich inicjatyw w Polsce są projekty Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego oraz kolejnych konsultantów krajowych w dziedzinie reumatologii.

Zdaniem ekspertów PTR, wyrażonym w stanowisku z 4 listopada 2021 r., wprowadzenie wczesnej diagnostyki chorób reumatycznych, realizowanej w trybie ambulatoryjnym, a w uzasadnionych przypadkach w trybie krótkiej hospitalizacji, jest szczególnie ważne w dobie epidemii COVID-19, która z jednej strony prowadzi do ograniczenia dostępu pacjentów do leczenia w warunkach szpitalnych, a z drugiej – z uwagi na mechanizm działania wirusa SARS-CoV-2 – może indukować lub nasilać objawy chorób autozapalnych i autoimmunizacyjnych.

6. Podsumowanie

Leki biologiczne równoważne od ponad 15 lat stanowią bezpieczną i skuteczną alternatywę dla referencyjnych terapii biologicznych.

Dostępność polskich pacjentów z chorobami z autoagresji w reumatologii, dermatologii oraz gastroenterologii do leczenia biologicznego jest na bardzo niskim poziomie w porównaniu do dostępności takiego leczenia pacjentów w innych krajach europejskich.

Analiza danych NFZ za rok 2020 wskazuje, że dostęp do innowacyjnych terapii w Polsce miało ok. 1,8% pacjentów z RZS, ok. 14% pacjentów z MIZS, ok. 2,5% pacjentów z ZZSK, ok. 1,8% pacjentów z ŁZS, ok. 0,2% pacjentów z nrSpA, ok. 0,2% chorych z łuszczycą (1% chorych z postacią umiarkowaną do ciężkiej łuszczycy), ok. 12% populacji chorych z ChL-C oraz ok. 3,3% pacjentów z WZJG.

Niski odsetek chorych leczonych biologicznie w Polsce wynika wprost z przyjętego przez płatnika publicznego modelu finansowania tychże leków w ramach programów lekowych w lecznictwie szpitalnym.

Cechą charakterystyczną większości programów lekowych są bardzo restrykcyjne kryteria włączenia, które zazwyczaj są istotnie zawężone zarówno w stosunku do wskazań rejestracyjnych poszczególnych leków, jak i rekomendacji towarzystw naukowych, a co za tym idzie – praktyki klinicznej w innych państwach Unii Europejskiej.

Uzasadnieniem ograniczeń w dostępie do leczenia biologicznego, które przełożyły się na obecną złą sytuację pacjentów w Polsce, były wysokie koszty terapii i związane z nimi potencjalne obciążenie systemu ochrony zdrowia.

Argument kosztowy ograniczeń administracyjnych nie znajduje jednak potwierdzenia w dobie leków biologicznych równoważnych.

Analiza przeprowadzona na potrzeby niniejszego raportu pokazuje, że skumulowane oszczędności dla płatnika publicznego w przypadku infliksymabu, etanerceptu i adalimumabu w latach 2014-2020 wynoszą odpowiednio ok. 237 mln zł, ok. 217 mln zł oraz ok. 244 mln zł, co daje łączną kwotę w wysokości blisko 700 mln zł.

Zgodnie z danymi publikowanymi przez stowarzyszenie *Medicines for Europe – Biosimilar Medicines Group* leki biologiczne równoważne stanowią bardzo wysoki odsetek w Polsce: infliksymab – 98,63%, etanercept – 74,48%, adalimumab – 80,11%.

Pomimo znaczących oszczędności wynikających z szerokiego stosowania leków biorównoważnych, dostęp do leczenia inhibitorami TNF-alfa jest w Polsce najniższy w Europie.

Z danych *Medicines for Europe – Biosimilar Medicines Group* pochodzących z publikacji *The 2020 Market Review – European Biosimilar Medicine Markets – Policy Overview* wynika, że Polska jest w zdecydowanej mniejszości krajów (razem z Danią, Hiszpanią, Holandią, Portugalią, Węgrami, Wielką Brytanią oraz Włochami), w których dostęp do leków biologicznych jest zapewniony wyłącznie w lecznictwie szpitalnym.

Zwiększenie dostępności chorych w Polsce do terapii biologicznych, w szczególności w dobie leków biologicznych biopodobnych, powinno stać się priorytetem krajowej polityki lekowej.

Poprawa dostępności do terapii biologicznych w Polsce powinna odbywać się jednocześnie na dwóch niezależnych polach refundacji – w ramach programów lekowych oraz refundacji aptecznej.

Dla programów lekowych kluczowe – z punktu widzenia dostępności – są przede wszystkim możliwość tworzenia opisów tychże programów zgodnie z rekomendacjami i aktualną wiedzą medyczną, a także wzrost wyceny oraz zmiana modelu finansowania świadczeń w nich realizowanych.

Dostępność do leczenia lekami biologicznymi w chorobach autoimmunizacyjnych w Polsce powinna sięgać ok. 20-30% leczonych chorych.

Znaczący wzrost liczby leczonych chorych nie będzie możliwy w ramach dotychczas przyjętego przez płatnika publicznego modelu leczenia.

Kluczową zmianą, która wydaje się konieczna dla realnego zwiększenia dostępności leczenia, jest wprowadzanie leków biologicznych, refundowanych dotąd wyłącznie w programach lekowych, do refundacji aptecznej.

Przejście z systemu „zamkniętego" do „otwartego" powinno być ewolucyjne, żeby nie skutkowało paradoksalnie gorszym dostępem do terapii dla pacjentów.

W celu umożliwienia refundacji leków stosowanych obecnie w ramach programów lekowych, także w lecznictwie otwartym w aptekach ogólnodostępnych w tych samych wskazaniach (system hybrydowy), zmiany wymaga definicja programu lekowego.

Istotnym elementem z perspektywy dostępności do leczenia, umożliwiającym wczesne włączenie właściwej terapii, jest wprowadzenie szybkich ścieżek diagnostycznych oraz poprawa dostępu pacjentów do lekarzy specjalistów.

7. Piśmiennictwo

Bergstra S.A., Branco J.C., Vega-Morales D., et al., *Inequity in Access to bDMARD Care and How It Influences Disease Outcomes Across Countries Worldwide: Results from the METEOR-registry*, „Annals of the Rheumatic Diseases" 2018, nr 77 (10), s. 1413-1420, https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/29980576/

Cantoro L., Di Sabatino A., Papi C., et al., *The Time Course of Diagnostic Delay in Inflammatory Bowel Disease Over the Last Sixty Years: An Italian Multicentre Study*, „Journal of Crohn's and Colitis" 2017, nr 11 (8), s. 975-980, doi: 10.1093/ecco-jcc/jjx041

Haroon M., Gallagher P., FitzGerald O., *Diagnostic delay of more than 6 months contributes to poor radiographic and functional outcome in psoriatic arthritis*, „Annals of the Rheumatic Diseases" 2015, nr 74 (6), s. 1045-1050, doi: 10.1136/annrheumdis-2013-204858

Informator o umowach, Narodowy Fundusz Zdrowia, https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/

Inotai A., Tomek D., Niewada M., et al., *Identifying Patient Access Barriers for Tumor Necrosis Factor Alpha Inhibitor Treatments in Rheumatoid Arthritis in Five Central Eastern European Countries*, „Frontiers in Pharmacology" 2020, nr 11, doi: 10.3389/fphar.2020.00845

Jiménez Treviño S., Pujol Muncunill G., Martín-Masot R., et al., *Spanish Pediatric Inflammatory Bowel Disease Diagnostic Delay Registry: SPIDER Study From Sociedad Española de Gastroenterología, Hepatología y Nutrición Pediátrica*, „Frontiers in Pediatrics" 2020, nr 8, doi: 10.3389/fped.2020.584278

Karmacharya P., Wright K., Achenbach S.J., et al., *Diagnostic Delay in Psoriatic Arthritis: A Population-based Study*, „The Journal ofJ Rheumatology" 2021, nr 48 (9), s. 1410-1416, doi: 10.3899/jrheum.201199

Kerkhof P.C.M. van de, et al., *Physician perspectives in the Management of Psoriasis and Psoriatic Arthritis: Results from the Population-Based Multinational Assessment of Psoriasis and Psoriatic Arthritis Survey*, „Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology" 2015, nr 29 (10), s. 2002-2010, https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/jdv.13150

Ludność. Stan i struktura ludności oraz ruch naturalny w przekroju terytorialnym (stan w dniu 31.12.2020), Główny Urząd Statystyczny

Maza A., Richard M.A., Aubin F., et al., *Significant delay in the introduction of systemic treatment of moderate to severe psoriasis: a prospective multicentre observational study in outpatients from hospital dermatology departments in France*, „The British Journal of Dermatology" 2012, nr 167 (3), s. 643-648, doi: 10.1111/j.1365-2133.2012.10991.x

Nahon S., Ramtohul T., Paupard T., et al., *Evolution in clinical presentation of inflammatory bowel disease over time at diagnosis: a multicenter cohort study*, „European Journal of Gastroenterology and Hepatology" 2018, nr 30 (10), s. 1125-1129, doi: 10.1097/MEG.0000000000001201

Obarska I., *Biologiczne leki równoważne i ich znaczenie dla systemu ochrony zdrowia w Polsce. Dostęp do leczenia biologicznego w Polsce*, Modern Health-care Institute, Warszawa 2019

Obarska I., Stajszczyk M., *Raport. Wycena świadczeń w programach lekowych istotnym elementem budowy strategii zwiększania dostępu do innowacyjnych terapii w chorobach autoimmunizacyjnych*, HealthCare System Navigator, Warszawa 2019

Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 lutego 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 marca 2022 r., Dziennik Urzędowy Ministra Zdrowia, 20.12.2021, http://dziennikmz.mz.gov.pl/legalact/2021/100/

Pentek M., Lakatos P.L., Oorsprong T., et al., *Access to biologicals in Crohn's disease in ten European countries*, „World Journal of Gastroenterology" 2017, nr 23, s. 6294-6305, https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5603496/

Putrik P., Ramiro S., Kvien T.K., et al., *Equity in Clinical Eligibility Criteria for RA treatment Working Group. Variations in criteria regulating treatment with reimbursed biologic DMARDs across European countries. Are differences related to country's wealth?*, „Annals of the Rheumatic Diseases" 2014, nr 73 (11), doi: 10.1136/annrheumdis-2013-203819

Putrik P., Ramiro S., Kvien T.K., et al., *Inequities in access to biologic and synthetic DMARDs across 46 European countries*, „Annals of the Rheumatic Diseases" 2014, nr 73 (11), s. 198-206, doi: 10.1136/annrheumdis-2012-202603

Rencz F., Pentek M., Bortlik M., et al., *Biological therapy in inflammatory bowel diseases: access in Central and Eastern Europe,* „World Journal of Gastroenterology" 2015, nr 21, s. 1728-1737, https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4323448/

Ricciuto A., Fish J.R., Tomalty D.E., et al., *Diagnostic delay in Canadian children with inflammatory bowel disease is more common in Crohn's disease and associated with decreased height*, „Archives of Disease in Childhood" 2018, nr 103 (4), s. 319-326, doi: 10.1136/archdischild-2017-313060

Stajszczyk M., Obarska I., Brzosko M., et al., *Leki biologiczne w chorobach reumatycznych w Polsce — jak zwiększyć dostęp pacjentów do terapii*, „Rheumatology Forum" 2018, nr 4 (2), s. 118-125

Stajszczyk M., Obarska I., *Dostępność terapii i świadczeń w programach lekowych w chorobach autoimmunologicznych. Wpływ wprowadzenia ryczałtowego modelu opieki ambulatoryjnej na budżet płatnika publicznego*, HealthCare System Navigator, Warszawa 2021

Stajszczyk M., Władysiuk M., Rutkowski J., *Leczenie chorób zapalnych stawów w Polsce. Wpływ zniesienia ograniczeń czasu leczenia oraz optymalizacji dawkowania w programach lekowych na budżet płatnika publicznego*, CEESTAHC / Polskie Towarzystwo Reumatologiczne, Kraków 2020

Stanowisko Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego dot. projektu nowelizacji ustawy refundacyjnej z dnia 30.06.2021 r., Polskie Towarzystwo Reumatologiczne, www.reumatologia.ptr.net.pl/?stanowiskopolskiego-towarzystwa-reumatologicznego-dot-projektu-nowelizacji-ustawy-refundacyjnej-z-dnia-30062021-r,332

Stanowisko Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego dot. konieczności pilnego wprowadzenia świadczenia wczesnej diagnostyki chorób reumatycznych oraz zmiany modelu opieki ambulatoryjnej w programach lekowych, Polskie Towarzystwo Reumatologiczne, www.reumatologia.ptr.net. pl/?stanowisko-polskiego-towarzystwa-reumatologicznego-dot-koniecznosci-pilnego-wprowadzeniaswiadczenia-wczesnej-diagnostyki-chorob-reumatycznych-oraz-zmiany-modelu-opieki-ambulatoryjnejw-programach-lekowych,336

Statystyki, Narodowy Fundusz Zdrowia, dostęp: https://statystyki.nfz.gov.pl/DrugPrograms

Średni koszt rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do grudnia 2020 r., Narodowy Fundusz Zdrowia, 26.02.2021, dostęp: https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,7931.html z dn. 01.04.2021

Timmer A., Behrens R., Buderus S., et al., *Childhood onset inflammatory bowel disease: predictors of delayed diagnosis from the CEDATA German-language pediatric inflammatory bowel disease registry*, „The Journal of Pediatrics" 2011, nr 158 (3), s. 467-473, doi: 10.1016/j.jpeds.2010.09.014

Torres J., Bonovas S., Doherty G., et al., *ECCO Guidelines on Therapeutics in Crohn's Disease: Medical Treatment*, „Journal of Crohn's and Colitis" 2020, nr 14 (1), s. 4-22

Walker G.J., Lin S., Chanchlani N., et al., *Quality improvement project identifies factors associated with delay in IBD diagnosis*, „Alimentary Pharmacology and Therapeutics" 2020, nr 52 (3), s. 471-480, doi: 10.1111/apt.15885

Zarządzenie nr 162/2020/DGL Prezesa NFZ z dnia 16 października 2020 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe, Narodowy Fundusz Zdrowia, 30.12.2021, https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/zarzadzenia-prezesa-nfz/zarzadzenie-nr-1622020dgl-tekst-ujednolicony,7471.html

Zestawienia, eZdrowie, https://ezdrowie.gov.pl/portal/home/zdrowe-dane/zestawienia#

Zhao S.S., Pittam B., Harrison N.L., et al., *Diagnostic delay in axial spondyloarthritis: a systematic review and meta-analysis*, „Rheumatology" 2021, nr 60 (4), s. 1620-1628, doi: 10.1093/rheumatology/keaa807

© Wydawcą raportu jest Polski Związek Pracodawców Przemysłu Farmaceutycznego

Wszelkie prawa zastrzeżone

ISBN 978-83-948719-1-8