

Role lékařův problematice inovativní a mimořádně nákladné léčby

Pavel Žák

Česká hematologická společnost JEP ČLS
FN Hradec Králové

Osnova sdělení

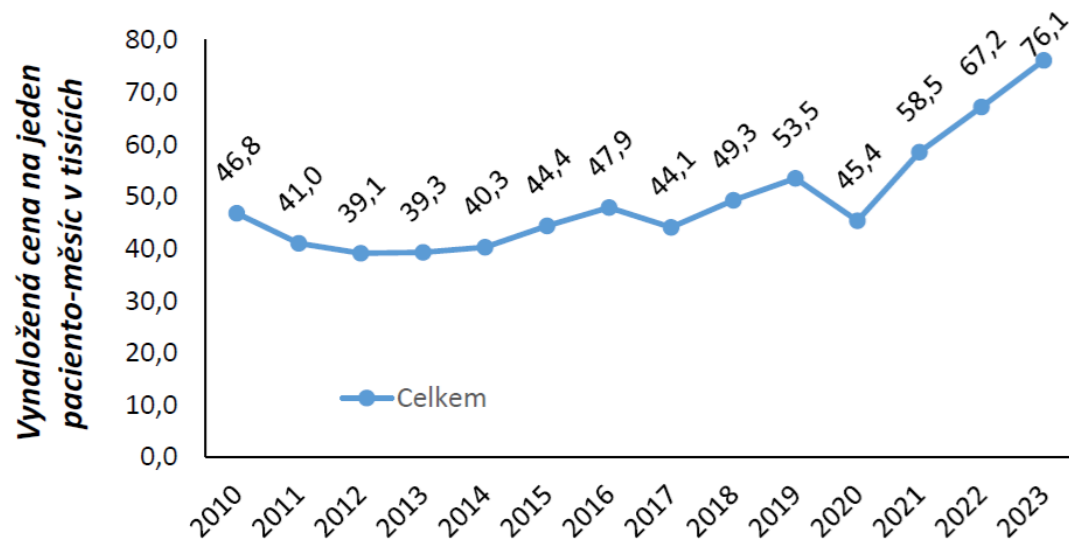
1. Hematologie jako jeden z příkladů rozvoje inovativní léčby a její dopady na výsledky a ekonomiku
2. HEMGENIX - příklad z hematologie (neonkologické)
3. CAR-Tcell terapie – příklad z hemato-onkologie
4. Závěry

1. Hematologie jako jeden z příkladů rozvoje inovativní léčby a její dopady na výsledky léčby a ekonomiku

Vývoj jednotkových cen za jeden měsíc léčby

Zdroj dat: NZIS - NRHZS

HEMATOONKOLOGIE



Index poklesu/nárůstu 2018 -> 2023:	1,54
Průměrná roční změna v období 2018–2023:	+10,37 %
Index poklesu/nárůstu 2021 -> 2023:	1,30
Průměrná roční změna v období 2021–2023:	+14,08 %

Celková zátěž novotvary mízní a krvetvorné tkáně v ČR

Zdroj: ¹Národní onkologický registr, ²Český statistický úřad

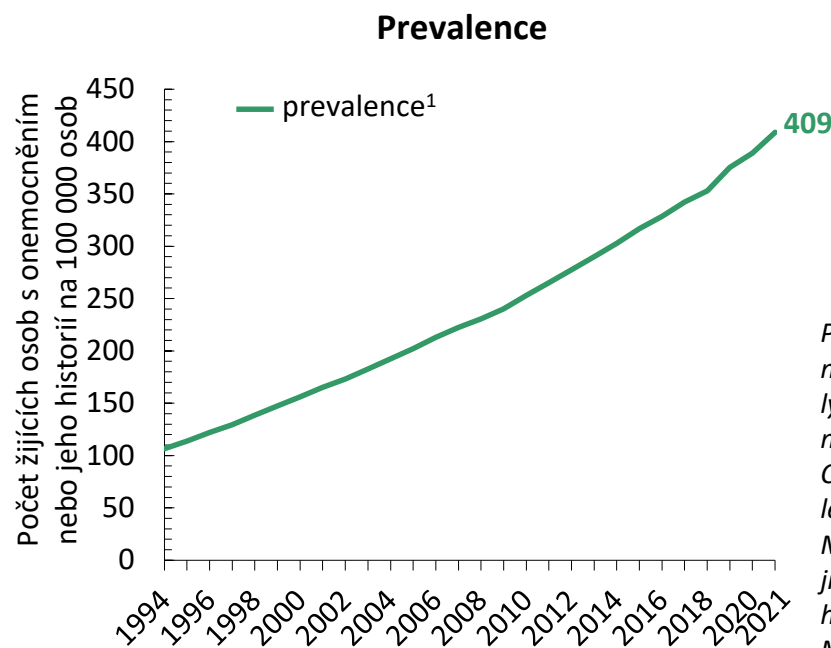
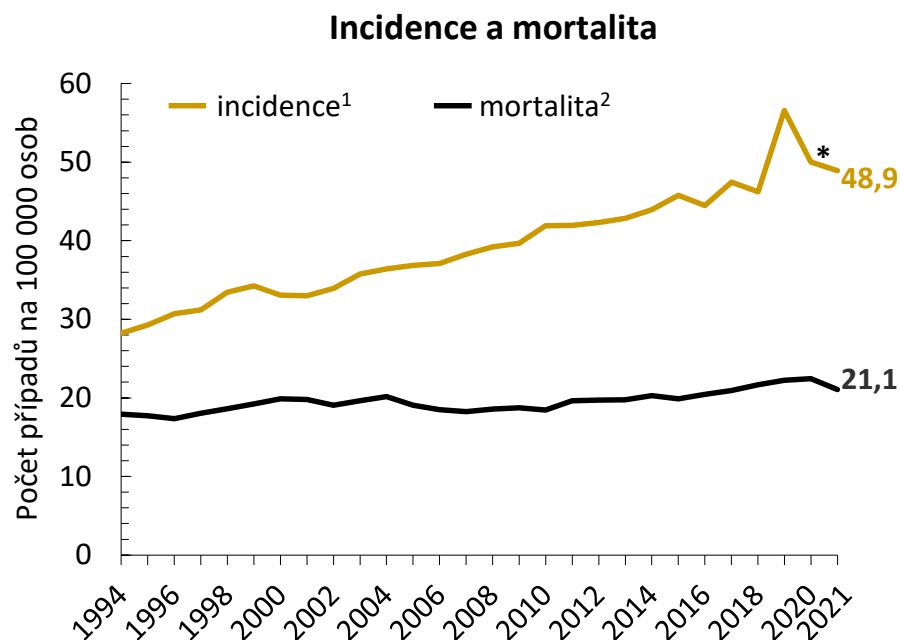
Absolutní počet	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
Incidence ¹	4 626	4 827	4 699	5 025	4 911	6 036	5 353*	5 136*
Mortalita ²	2 134	2 095	2 160	2 216	2 304	2 372	2 403	2 212
Prevalence ¹	31 866	33 413	34 707	36 238	37 508	40 036	41 614	42 928

* Pokles v letech 2020 a 2021 lze přisuzovat především epidemii COVID-19, některé skupiny nádorů byly pod-diagnostikovány.

** Meziroční změna je hodnocena na základě lineární trendu

Průměrná roční změna:

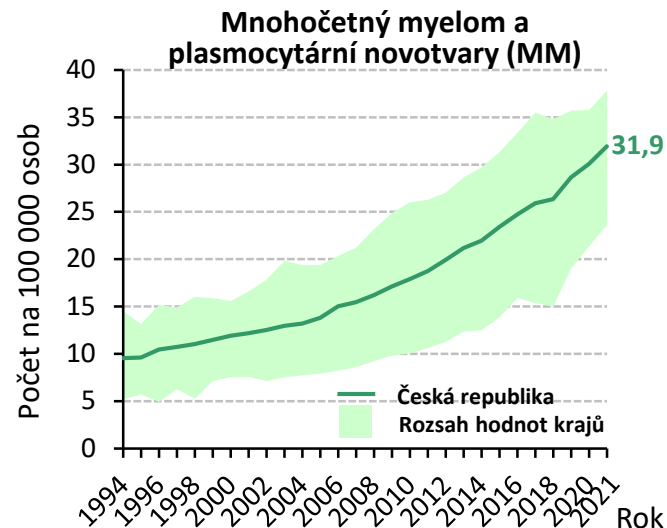
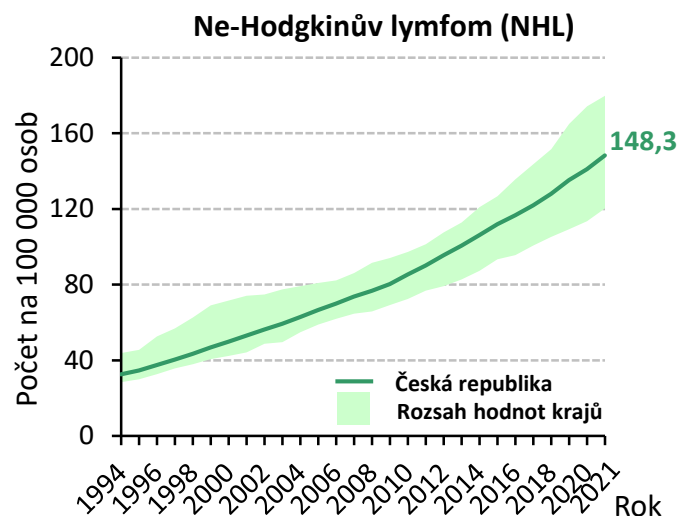
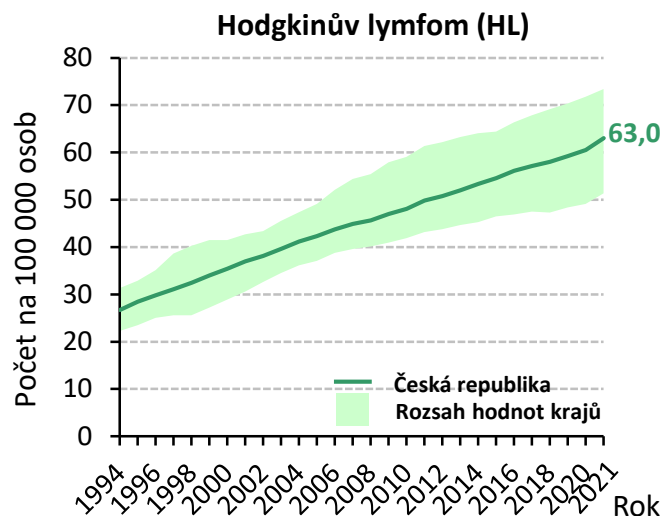
- Incidence: +2,4%
- Prevalence: +4,3%
- Mortalita: 0%



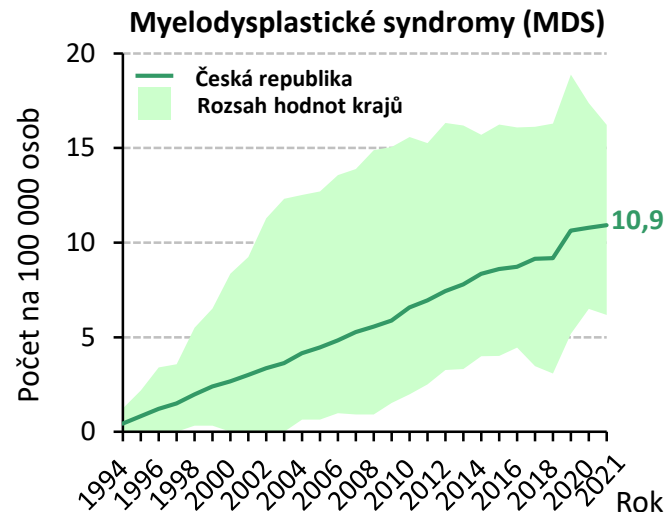
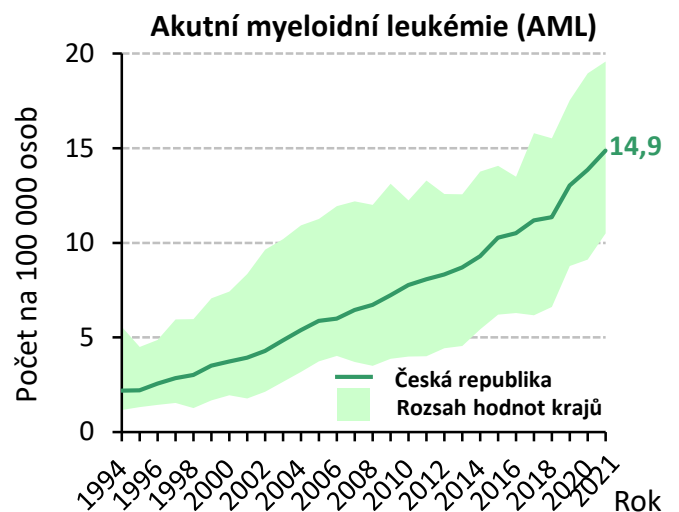
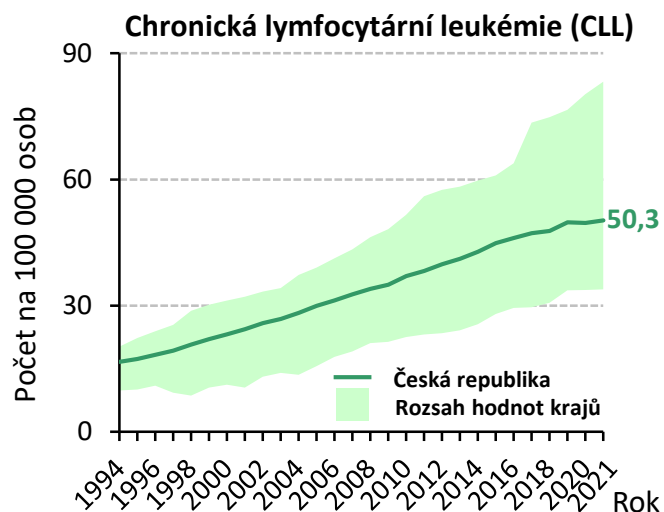
Poznámka: Novotvary mízní a krvetvorné tkáně zahrnují následující diagnózy: Hodgkinův lymfom (HL), Ne-Hodgkinův lymfom (NHL), Mnohočetný myelom a plasmocytární novotvary (MM), Chronická lymfocytární leukémie (CLL), Chronická myeloidní leukémie (CML), Akutní myeloidní leukémie (AML), Akutní lymfoblastická leukémie (ALL), Myelodysplastické syndromy (MDS), Polycythaemia vera (PV), jiné maligní a jiné dysplastické; u incidence a prevalence jsou hematoonko dg dle MKN10 s korekcí dle morfologie MKN-O-3, u mortality dle MKN10

Vývoj prevalence u vybraných novotvarů mízní a krvetvorné tkáně v ČR

Zdroj: Národní onkologický registr



Prevalence vybraných novotvarů mízní a krvetvorné tkáně v České republice setrvale dlouhodobě roste.



Závěry 1 (období 2020-2023)

- Mírný nárůst incidence
- Významné zlepšení léčebných výsledků
- „Uspokojivá“ dostupnost inovativních postupů
- Významný nárůst nákladů na léčbu

2. HEMGENIX - příklad z hematologie (neonkologické)

Hemgenix



Hemophilia B is an appropriate target for treatment with gene therapy because:



**It is caused by a mutation of a single gene
(the F9 gene)**



**The F9 gene is small and can be packaged
into an adeno-associated viral (AAV) vector**

Hemgenix

- Genová terapie, výrobce CSL Behring
- Cena **2 000 000 Eu** jednorázová infúze
- Účinnost 20 let u více jak 50% pacientů (faktor 9 nad 5%)
- Nákladová efektivita nepodporuje aplikaci této léčby
- Evidence base medicine (EBM) – podpora této strategie
- ČR 2 pacienti pro rok 2025

Hemgenix

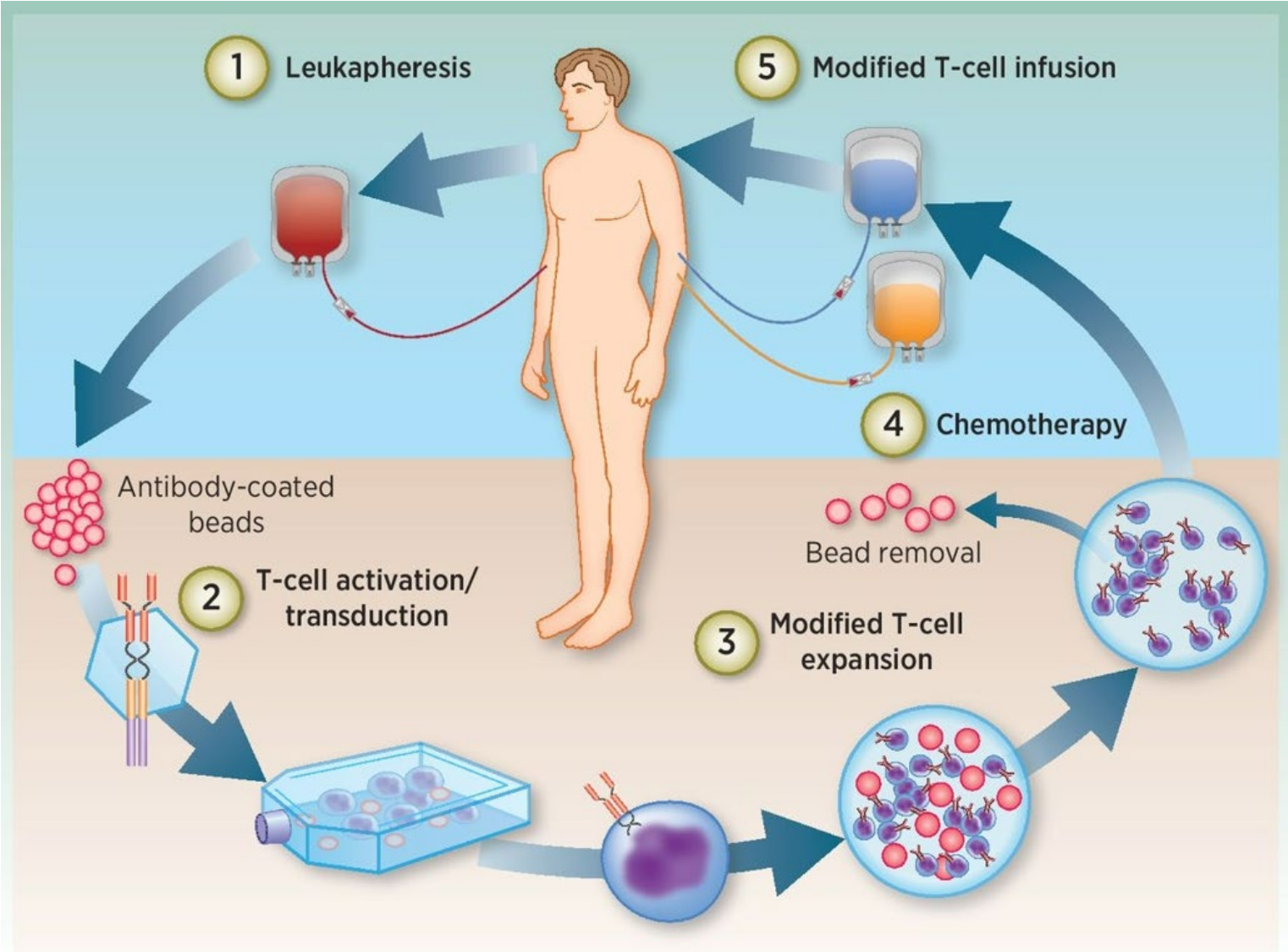
- EU již schváleno
- ORPHAN produkt (nemusí být splněna nákladová efektivita)
- SÚKL stanovil maximální cenu
- Nastává diskuse s plátcem
 - Dohoda na způsobu úhrady (risk sharing program)
 - Není stanoven počet, ale jen odhad
 - Hodnoceno jako LP
- Pozn: Roctavian pro hemofilii A ale EBM prozatím ne

Závěry 2 (Hemgenix)

- Máme pečlivě vybrané pacienty, kteří profitují z této léčby
- Firma vytvořila podmínky, které plátce asi bude akceptovat
- Vysoká cena bude vyžadovat vytvoření zvláštní položky

3. CAR-Tcell terapie – příklad z hemato-onkologie

CAR-Tcell



CAR-Tcell

- Od roku 2019 zahájení léčby v ČR
 - Dnes se rutinně užívá Kymriah a Yescarta, od roku též ciltacell
 - SÚKL stanovil maximální cenu, reálná cena cca 6 000 000 Kč
 - Dohoda s plátcí „risk sharing“ programu
 - Kategorie LP, ale dohodnuto že bude schvalováno plátcí a teprve poté léčba
-
- Jistě dojde k významnému nárůstu používání této léčby

CAR-Tcell

- Podzim 2024 dochází ke změně vstřícného postoje plátce!
- Od roku 2025 dochází k zařazení nákladů na CAR-T do centrové léčby, přestože nemá symbol S a stále platí, že se jedná o LP podávaný za hospitalizace.
- CAR-T není SÚKLeM regulačně zahrnut pod centrovou léčbu „S“
- Úhradová vyhláška pro rok 2025 již byla projednána a schválena. Jde tedy o krok nesystémový a plátce upravuje předem nastavená pravidla. CAR-T terapie do návrhu objemu centrové péče nebyla zahrnuta.

Závěry 3 (CAR-Tcell)

- Není dořešeno hrazení
- Jsou rozpory v zařazení této léčby
- Z pohledu lékaře lze indikovat co nejúčelnějšo, ale data jednoznačně podporují efektivitu léčby

Závěrem

- Politika jednoho z plátců u CAR-T se obrátila během 5 měsíců o 180 st.
- Nerozumíme nestandardnímu přístupu a výkladu platných regulací – co je LP, co je centrový lék?
- Pravidla risk-sharing programů mohou ekonomicky „zpřístupnit“ léčbu
- ČHS ČLS JEP ve spolupráci s ÚZIS připravuje velmi přesné podklady pro tvorbu úhradové vyhlášky a je demotivující nerespektování odhadů (rok 2023 růst 2% přestože odhad byl 17% !)
- Genová léčba by měla být kategorizována odlišně, měl by být vytvořen realistický rozpočet pro genovou terapii
- Odborná společnost by měla prosazovat efektivní léčebné postupy s ohledem na ekonomickou nákladnost. Společnost musí podporovat databáze pro vyhodnocování léčby !