

# Možné typy „Managed Entry Schemes“ a jejich specifika

---

(R. DEMLOVÁ, MOÚ A LF MU)

BOD, 16.5.2018

---

# Úvod

---

## **obecné faktory**

- stárnutí populace
- delší přežití pacientů s vážnými onemocněními a
  - vyšší incidence nádorových onemocnění
  - „precision oncology“
- inovativní léčiva a vzrůstající ceny nových léčebných možností

## **...vedou k**

- tlaku na veřejné rozpočty a nárůstu výdajů a/nebo k určitému omezení dostupnosti pro pacienty

# Chart 4: Key In-Market and Investigational Agents for NSCLC



\* denotes: ALK +ve NSCLC, ^ denotes: EGFR +ve NSCLC pts., \*\* denotes: phase II/III, ^^ denotes: trial ongoing only in Israel, ‡ denotes: approved only in China, † denotes: planned studies

Source: IMS Health, Disease Insights, R&D Focus, Mar 2016; Clinicaltrials.gov, Company websites, May 2016

## COMMENTARY: Prostate Cancer: Enough 'Me Too' Drugs

---

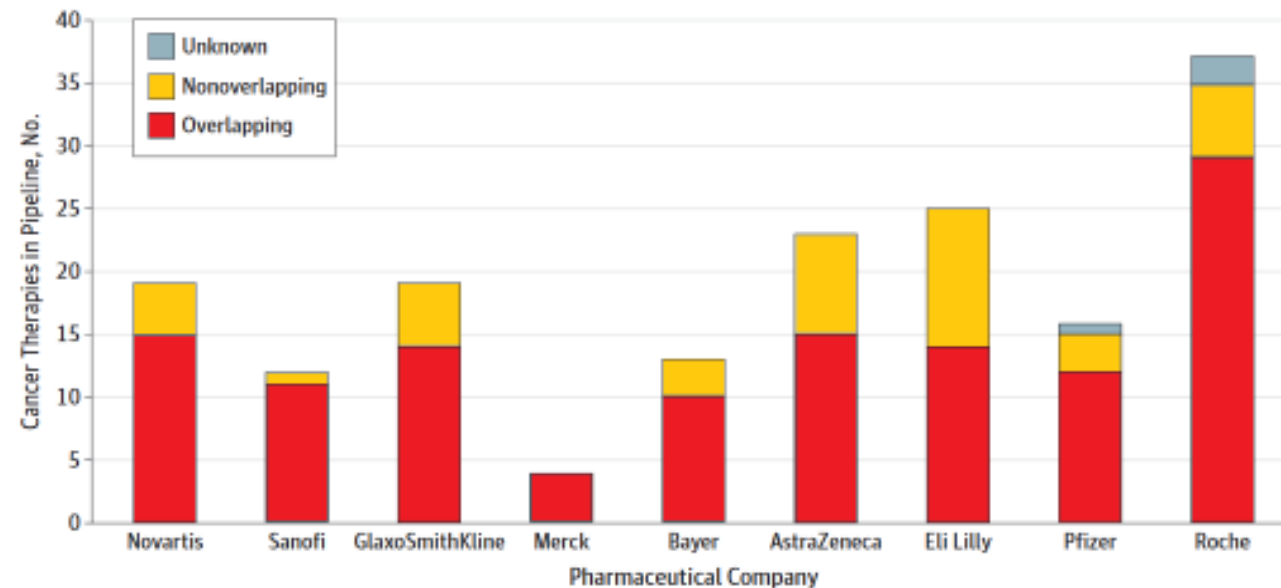
Stéphane Oudard, MD, PhD; Bertrand Tombal, MD, PhD

*We are adding drugs in the same class, and I don't think that these new drugs will be profoundly different from the existing drugs in that class. We always need more drugs. Patients are still dying. We should not forget that, but **we don't need just "me too" drugs.***

# Me Too – Too Many, ESMO 2017



Joseph Tabernero, ESMO President (9 MAHs - 124 drugs – 74% „overlapping mechanism of action“)



## 2009 – 2013 EMA approved 48 drugs for 68 indications

Characteristics	Number of	Percentage
Drugs:	48	
Indications:	<b>68</b>	<b>100 %</b>
<b>Study designs:</b>		
Approved on the basis of a single arm study	7	<b>12 %</b>
OS as primary endpoint	19	<b>28 %</b>
<b>At the time of market approval:</b>		
Significant prolongation of survival in	24 <i>(median 2.7 months)</i>	<b>35 %</b>
Improvement in QoL in	7	<b>10 %</b>
<b>Postmarketing period (median of 5.4 years follow-up):</b>		
Improvement in QoL or survival in	35	<b>51 %</b>
Clinically meaningful survival benefit <i>(out of 23 indication that could be scored)</i>	11	<b>48 % (of 23)</b>

# „Řízený vstup léčivých přípravků - MEAs („Managed Entry Scheme/Agreements“)

---

„Řízený vstup na trh je **dohoda mezi výrobcem a plátcem/poskytovatelem**, umožňující přístup a úhradu zdravotní technologie za specifických podmínek.“

- MEAs usnadňují přístup pacientů k daným terapiím v situacích, kdy by konvenční rozhodnutí o úhradě přístup neumožňovalo
- MEAs se uzavírají ve více než 60% zemí EU (zdroj OECD)
- MEAs se uzavírají především pro léčiva (méně u ZP), a to zejména v onkologii, kardiologii a u vzácných onemocnění
- MEAs jsou uzavírány ve většině zemí na 1 – 5 let, v některých zemích časově neomezené
- Problematická je transparentnost procesů, což má negativní vliv na regulaci cen/úhrad, systém externího referencování může poskytovat neobjektivní výsledky

# „Řízený vstup léčivých přípravků - MEAs („Managed Entry Scheme/Agreements“)

---

- V zásadě se dají rozdělit na
  - Finanční (price/volume discount, free doses, dose/time cap...)
  - Value/performance (outcome-based, payment by results....)
  - Kombinace obou (příklad Itálie...)
- Nejrozšířenější jsou finanční MEAs (jednodušší, nižší administrativní zátěž)
- V Austrálii, Itálii, Švédsku nebo USA se poměrně hodně využívají i Value/Performance MEAs



# Finanční MEAs/risk-sharing dohody

Finanční mechanismy/cíle	Popis	Typy ujednání používané v ČR
Price - Volume	dohoda plátce s dodavatelem na speciální ceně a/nebo na základě dohodnutého předpokládaného objemu nákupu/obratu. Může být realizováno, slevami, rabaty, snížením ceny...	ujednání o slevě, prohlášení o ceně, ujednání o smluvní ceně, smlouva o ceně, smlouva o úhradě, simple payback
Nákladový strop	dohoda plátce s dodavatelem na očekávaném využití/objemu nebo nákladech na pacienta / populaci; dodavatel odpovídá za náklady, které přesahují dohodnutou platbu na pacienta / populaci; lze rovněž použít na portfolio produktů/pro určitou indikaci	ujednání o limitaci nákladů na rok (či více), na pacienta, limitaci hrazené léčby, snížení nákladů na počet cyklů, dávkový strop na pacienta, budget cap,
Portfoliové dohody	dohoda plátce s dodavatelem na ceně/slevě/rabatu jiného/jiných produktů, aby plátce souhlasil s vysokou úhradou pro nový přípravek. "vytvoření prostoru"	
Diferencovaná cenotvorba	dohoda plátce s dodavatelem na různých cenách pro různé segmenty pacientů - dle možností plátce/pacientů - "stupňování ceny"	
Zlevněné zahájení léčby	dohoda plátce s dodavatelem na snížení ceny (až bezplatné poskytnutí produktu) pro definované období zahájení léčby (nebo na definované úvodní množství cyklů)	
Cenová eskalace	dohoda plátce s dodavatelem na vysokém snížení ceny při uvedení na trh - pro podporu dostupnosti/akceptace léčby pro nový produkt - následně definované zvyšování ceny až po cílovou cenu	
Cenotvorba dle indikace	dohoda plátce s dodavatelem na různých cenách pro jednotlivé indikace dle definované hodnoty - přínosu	



# Managed entry schemes - financial

**Objective**

**Financial schemes**

**Monitoring**

Total cost for all patients

Total cost per patient

**Instruments**

Discounts

Price/  
volume

Utilisation  
capping

**IMPACT**

- Initial discount on all doses or free initial doses for eligible patients
- Discount or free doses after the agreed spending/volume threshold is reached
- Reimbursement for higher than forecasted expenditure
- Cap on number of doses/total cost reimbursed per patient after which the manufacturer assumes the cost

# MEAs spojené s měřením účinnosti léčby

Typ	Popis	Reflektuje efekt/účinnost léčby pacienta
podmínečná úhrada	Plátce uhradí určité množství produktu po definovanou dobu a za dohodnutou cenu potřebné pro prokázání účinnosti léčby (definované parametry)	ne přímo, hodnotí celou kohortu
dohody závislé na kvalitě léčby	úhrada při dodržování doporučených léčebných postupů pro produkty nebo chorobné stavy. Může být také interpretováno jako poskytnutí slevy při dosažení vysoké efektivity léčby	ne přímo, postaveno na zvýšení compliance a adherence k léčbě
modely závislé na účinnosti	Platba / sleva je založena na klinickém obrazu/ odezvě pacienta / populace. Dodavatel vrátí veškeré nebo procentní podíl nákladů , nebo plátcí nebudou povinni platit za část spojenou s nesplněnými definovanými parametry	ano - nutno definovat parametry odezvy a najít vhodný mechanismus



# Managed entry schemes - outcome

**Objective**

**Performance-based agreements**

**Monitoring**

Utilisation in the real life

Evidence regarding decision uncertainty

**Instruments**

Performance based reimbursement

Coverage with evidence development

Outcome guarantees

Patient eligibility with conditional treatment continuation

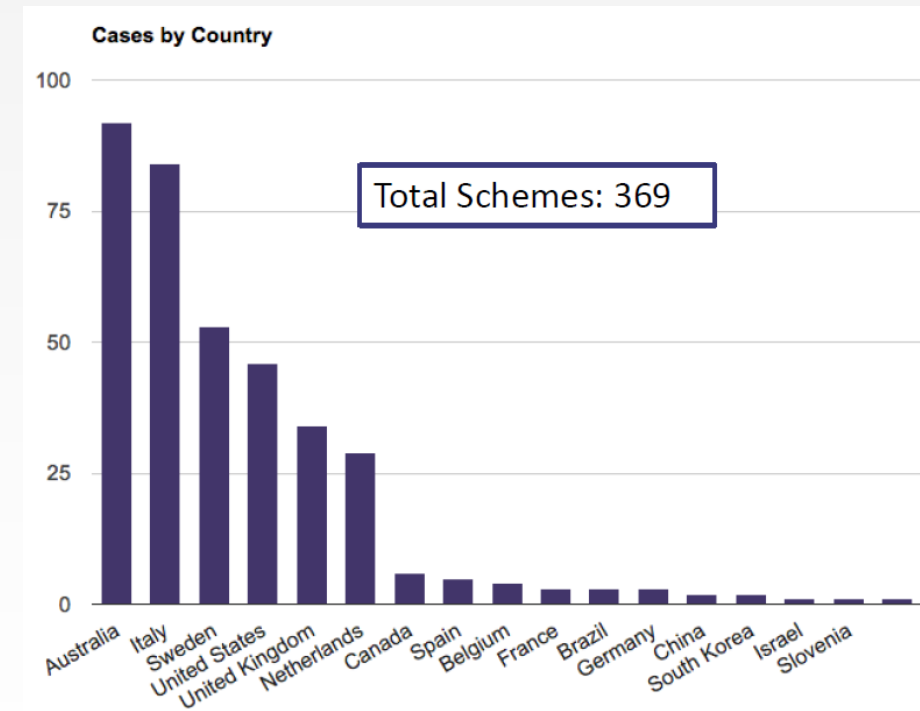
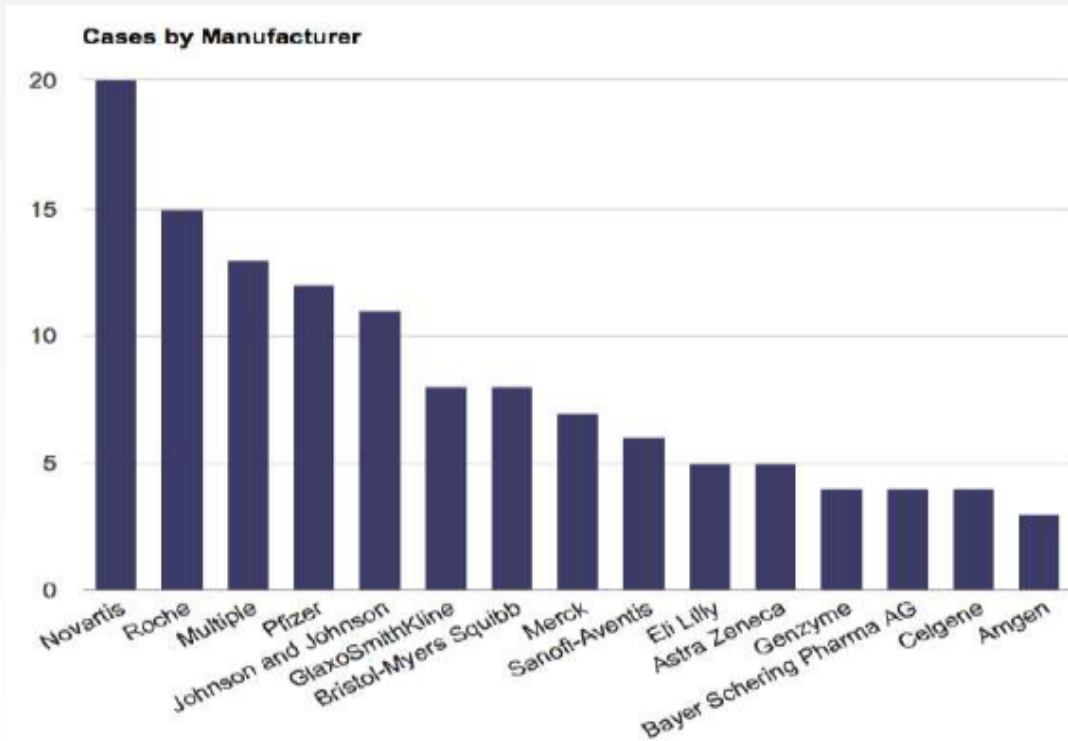
## IMPACT

- Reimbursement if drug is not effective
- Treatment interruption if drug is not effective according to pre-established targets
- Discount if drug is not effective or less effective than expected
- Reassessment which may lead to price change, conclusion of new agreements, or new reimbursement decision

# Performance Based Agreements

OBA dle MAHs

OBA dle zemí



## Příklad MEAs (Itálie, AIFA)

---

- podíl nákladů na léčiva činí 14,85 % celkových nákladů zdravotnictví
- **"payment by results" (49 % MEAs)** – u pacientů odpovídajících na léčbu je léčba hrazena z rozpočtu zdravotnictví; u pacientů neodpovídajících na léčbu musí výrobce uhradit plnou výši ceny terapie
- **„performance-cost sharing" (32 % MEAs)** – u pacientů odpovídajících na léčbu je léčba hrazena z rozpočtu zdravotnictví; u pacientů neodpovídajících na léčbu je léčba zastavena, přičemž na první cykly terapie či na celou délku terapie (u pacientů odpovídajících na léčbu) je výrobcem poskytnuta sleva
- „dose capping" (13 % MEAs) – dohoda o dávkovém zastropování (dose-capping arrangement), kdy náklady na terapii jsou nastaveny na úrovni terapie s použitím nejnižší terapeutické dávky
- „rozpočtový strop (budget cap)", který je definovaný během vyjednávání o cenách a úhradách; v případě překročení stropu musí výrobce uhradit zpětně překročenou částku (v roce 2017 zpětné platby činily 235 mil. EUR)

## Příklad MEAs (Itálie, AIFA)

---

- léky s MEAs – pacienti jsou součástí speciálních registrů, které sbírají a analyzují data o účinnosti, bezpečnosti, epidemiologická data etc. – výstupy z registrů je možné použít pro další stanovování cen a úhrad a pro vyjednávání o cenách
- v AIFA registrech se v roce 2017 nacházelo cca 1,5 mil. pacientů a trend počtu pacientů v registrech je vzrůstající
- mezi výhody OBA MEAs patří např. zajištění úhrady pro inovativní léky; individualizace u pacientů bez odpovědi; sběr RWD
- mezi nevýhody OBA MEAs patří např. složitost implementace a aktivace nových registrů; zvýšení administrativní zátěže pro pracovníky ve zdravotnictví; kolísání kvality dat, která závisí na compliance pracovníků; vysoké množství nově budovaných registrů

# „Learning Healthcare System“

---

- Systém se učí na základě sběru a vyhodnocování dat o léčbě pacientů v reálné praxi
- Umožňují jej už současné technické možnosti (informatika, sdílení informací, big data atd)
- Velký potenciál v komplexních oblastech (kombinace léčby) – např onkologie
- Nutná spolupráce a připravenost pro využívání výstupů
- Přínos mají akademická i neziskové organizace – nové algoritmy, metodiky
- Příklady
  - Izrael – práce s real world data – neziskový fond Clalit
  - USA – „Financing and Reimbursement of Cures in the US (FoCUS)“
    - tzv „design labs“
    - Zástupci výrobců, pacientů, plátců, poskytovatelů péče, regulátorů a legislativy
    - Cca 60 lidí – 3dny



# Pilotní projekt „Outcome-Based MEAs inovativních léčiv v onkologii“

---

## Cílem projektu je

**identifikovat, lokalizovat a implementovat** efektivní modely na sdílení rizik (**Outcome-based models**) **použitelné a akceptovatelné v České republice** při vstupu nových léčivých přípravků na trh

s ohledem na

- dlouhodobou finanční udržitelnost zdravotnického systému
- zájmy všech zainteresovaných složek (plátců, regulátorů, držitelů registrace, patientské organizace a poskytovatelé zdravotních služeb)
- rychlý přístup k moderní terapii,
- transparentní a jednotný postup při dohadování těchto modelů,
- únosná administrativní náročnost
- snadná auditovatelnost při jejich kontrole a rovný přístup

# Nezávislý pilotní projekt Outcome-Based MEAs inovativních léčiv v onkologii v České republice



- Pracovní skupina (Core Team)
  - Základní koncept/metodika
  - expertní znalost v oblasti onkologické péče, klinických hodnocení, farmakologie
- Oponentní skupina (Expert Team)
  - otevření diskuze, evaluace metodiky
  - Plátci/MZ ČR/SÚKL/PZS/MAH/pacientské organizace/univerzity

## Phases:

PHASE 1 - Preparation and initiation of the project- DONE  
PHASE 2 - Preparation of the methodology (CORE TEAM + Expert Team from project partners)- 11/2017-2/2018  
PHASE 3- Methodology finalization - stakeholder involvement – 2/2018-5/2018  
PHASE 4- Methodology promotion, communication – 3/2018-12/2019  
PHASE 5 – Pilot Project Implementation – 7/2018-12/2018  
PHASE 6-Implementation – 1/2019

10/2017  
PharmAround-  
asking support from  
Pharma comp.

Plan  
6/2017

Project  
team  
9/2017

Project  
plan  
10/2017

Education  
(Sympos.,  
Meeting)  
5/2018

Pilot start  
7/2018

## CORE TEAM established

Prof. MUDr. Jindřich Fínek, Ph.D. - FN Plzeň, LF UK  
Doc. MUDr. Tomáš Bůchler, Ph.D. – FTN, LF UK  
Doc. MUDr. Regina Demlová – LF MU a MOÚ  
PharmDr. Barbora Říhová, Ph.D. - LF MU  
MUDr. Jiří Deml – PharmAround a LF MU

---

Děkuji za pozornost

