

Projekt LF MU a PharmAround „Outcome-Based Models“ současný stav a plánované aktivity

(R. DEMLOVÁ, LF MU A MOÚ, BRNO)

KONFERENCE PHARMAROUND, 9.11.2018

Důvody proč...

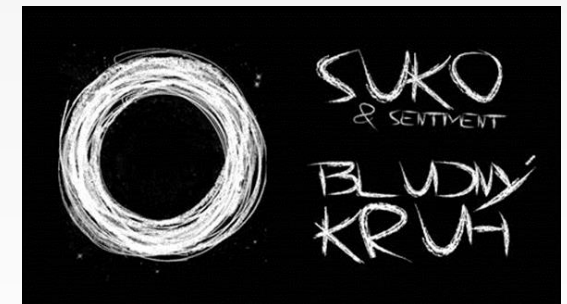
- Zvyšující se **náklady na inovativní léčiva** (investice do výzkumu a vývoje, cena léku)
- Přítomnost významné **míry nejistoty** v době rozhodování o úhradě
- Nutnost **inovativních řešení pro zpřístupnění** nových léků pacientům při současném zajištění dlouhodobé finanční udržitelnosti systémů zdravotní péče

Důvody proč... „uncertainty“

- **Nejistota „klinické evidence“ a „klinického benefitu“**
souvisí s designem fází III klinických studií x stávající poznatky vědy ve 21.století
- **Nejistota „ideální / optimální vhodné populace pacientů“**
chybějící prediktivní faktory léčebné odpovědi
- **Nejistota „nákladové efektivity“**
většina inovativních léčiv nesplňuje hranici ochoty platit / nejen v ČR
- **Nejistota „dopadu do rozpočtu“**
v případě, že by všichni potenciálně indikovaní pacienti byli léčeni

Důvody proč... „uncertainty“

- **Nejistota „klinické evidence“ a „klinického benefitu“**
souvisí s designem fází III klinických studií x stávající poznatky vědy ve 21.století
- **Nejistota „ideální / optimální vhodné populace pacientů“**
chybějící prediktivní faktory léčebné odpovědi
- **Nejistota „nákladové efektivity“**
většina inovativních léčiv nespĺňuje hranici ochoty platit / nejen v ČR
- **Nejistota „dopadu do rozpočtu“**
v případě, že by všichni potenciálně indikovaní pacienti byli léčeni



Financial

Outcome - based

Combination

Finanční ujednání

- procesně jednodušší než smlouvy založené na výkonu
- otázka „důvěrnosti“ mezi výrobcem a plátcem
- výsledná dohoda založená na cenové dohodě..
- ..zejména s ohledem dopadu do rozpočtu
- potenciální možnosti zahrnují použití „price/volume discount, free doses, dose/time cap...“

Dohody založené na výsledku / outcome – based

Nutnost volby a sledování relevantního „outcome“ parametru

- objektivní
- relevantní pacient/nemoc
- dostupně aplikovatelný (tj. praktický a měřitelný)
- bez finančních nákladů na jeho pořízení
- lze jej sledovat v čase
- potenciálními cílovými parametry mohou být odpověď na léčbu (tj. míra odpovědi), parametr progresu onemocnění, zobrazovací metody, senzitivní/specifický biomarker...

Proč onkologie v rámci pilotního projektu

Onkologie je segment s největšími investicemi do výzkumu a vývoje

Snaha o „precision oncology“ / personalizaci / stratifikaci

Inovativní léčiva x prediktory pro léčebnou odpověď

Outcome-parametry jsou sledovatené

versus

Registrace inovativních léčiv na základě fáze III – regulační nastavení, jež má řadu limitací

Proč onkologie v rámci pilotního projektu

- Závěry klinických studií fáze III nemohou zodpovědět otázky, které pro evidence-based principy přináší doba personalizované medicíny
- Výsledkem randomizované studie je odpověď na otázku „**which treatment performs best in the overall population**“, a tato odpověď je zcela neuspokojivá pro „personalizovaný přístup“ a otázku „**can we identify people for whom this is the right drug**“ ?
- Klinické studie fáze III v kontextu personalizovaného přístupu selhávají a zejména do budoucna budou nutností reálná klinická data - „real world data“ u každého konkrétního pacienta*/

*/ Selzer E. Impact of molecular targets in cancer drug development: historical influence and future perspectives. Expert Rev Clin Pharmacol, 2010

2009 – 2013 EMA approved 48 drugs for 68 indications

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

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

Cílem projektu I. a II. fáze bylo

identifikovat efektivní model na sdílení rizik (Outcome-based models) u vybraných léčiv v onkologii

s ohledem na

- „prospěch“ ideálně každého jednotlivého pacienta
- dlouhodobou finanční udržitelnost zdravotnického systému
- zájmy všech zainteresovaných složek (regulátorů, plátců, držitelů registrace, patientské organizace a poskytovatelé zdravotních služeb)

při současně

- únosná administrativní náročnost
- snadná auditovatelnost při jejich kontrole a rovný přístup

Pilotní projekt Outcome-Based MEAs inovativních léčiv v onkologii v České republice

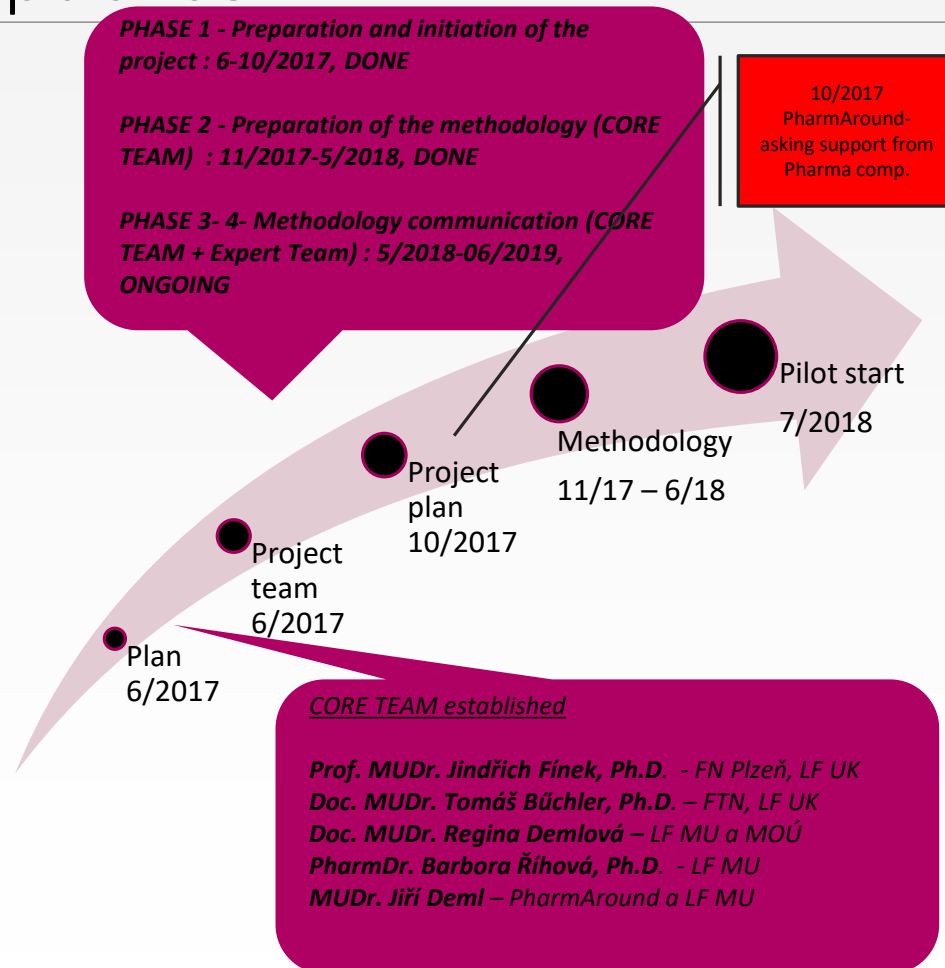


- **Pracovní skupina (Core Team)**

- Základní koncept/metodika
- expertní znalost v oblasti onkologické péče, klinických hodnocení, farmakologie

- **Oponentní skupina (Expert Team)**

- otevření diskuze, evaluace metodiky
- Plátci/SÚKL/MAH/pacientské organizace/univerzity



Pilotní projekt Outcome-Based MEAs inovatívních léčiv v onkologii v České republice

Iniciace III. Fáze s přizváním relevantních stakeholders

- Sledování / hodnocení relevantního „outcome“ parametru
- Z pilotních dat se jeví jako aplikovatelný parametr „délka podávání daného LP“
- Ověření modelu na robustnějších datech
- Modelace s dalšími inovativními LP, které vstoupily do úhradových systémů za daných podmínek

- Prezentace dalších výsledků na Brněnských onkologických dnech **středa 10.4.2019**

Děkuji za pozornost

