



UNIwersytet Medyczny
IM. PIASTÓW ŚLĄSKICH WE WROCLAWIU

Wydział Farmaceutyczny

Katedra i Zakład Farmakologii Klinicznej

ROZPRAWA DOKTORSKA

mgr farm. Aleksandra Zachariasz

**Wpływ kryteriów branych pod uwagę w decyzjach
dotyczących refundacji produktów leczniczych
na korzyści zdrowotne świadczeniobiorców w Polsce**

Impact of criteria considered in reimbursement decisions for medicinal
products

on the health benefits of healthcare recipients in Poland

Promotor

Prof. dr hab. Anna Wiela-Hojeńska

Wrocław 2024

Streszczenie

Refundacja produktów leczniczych stanowi podstawowe narzędzie państwowej polityki lekowej, zapewniające obywatelom dostęp do farmakoterapii. Kryteria refundacyjne w Polsce określa ustawa refundacyjna z 2011 r. Są one sformułowane w ogólny sposób, nie wskazują konkretnych definicji zawartych w nich pojęć, a także nie wyszczególniają wskaźników służących do określenia wartości poszczególnych zmiennych. Podejmowanie decyzji refundacyjnych w systemie polskim jest nakierowane na maksymalizację efektów zdrowotnych. Podstawowym kryterium decyzyjnym jest efektywność-kosztowa. Zmiany związane z nadawaniem coraz mniejszego znaczenia temu kryterium mogą skutkować utratą korzyści zdrowotnych w postaci lat życia skorygowanych o jakość (QALYs).

Celem pracy była analiza sposobu podejmowania decyzji refundacyjnych w Polsce w odniesieniu do metod wielokryterialnej analizy decyzyjnej (MCDA), ocena preferencji polskich pacjentów na temat kryteriów branych pod uwagę w podejmowaniu decyzji o finansowaniu produktów leczniczych oraz ocena skutków decyzji refundacyjnych w zależności od przyjętych celów refundacji.

Przeprowadzono pilotażowe badanie preferencji wśród 15 zarządów organizacji pacjentów. W badaniu ankietowym respondenci rozdzielali 100 punktów pomiędzy kryteria refundacyjne oraz cztery zaproponowane cele refundacji. W drugiej części badania wykonano symulację wpływu proponowanych celów refundacji i związanych z nimi skutków decyzji na przykładzie produktów leczniczych ocenianych w ramach tworzenia wykazu technologii o wysokim poziomie innowacyjności (TLI). Na podstawie danych pozyskanych z opublikowanych raportów AOTMiT, dotyczących poszczególnych TLI, wyselekcjonowano dane o dodatkowej korzyści zdrowotnej w postaci zyskanych lat życia (LYG), oszacowano koszty terapii i komparatorów oraz obliczono ICER. Utworzone zostały rankingi technologii w zależności od przyjętego celu refundacji i kryteriów w zakresie średniego budżetu przeznaczanego na refundację TLI.

Analiza ujętych w ustawie refundacyjnej z 2011 r. kryteriów decyzyjnych dla produktów leczniczych ujawniła, że nie są one wyraźnie zdefiniowane, brakuje sprecyzowania wskaźników i metod pomiaru ich wartości. Kryteria nie są dostatecznie powiązane z konkretnie określonym celem refundacji. Nieznany jest również wpływ poszczególnych kryteriów refundacyjnych na podejmowane decyzje o finansowaniu

produktów leczniczych. Obserwacje te należałoby wziąć pod uwagę przy ewentualnych zmianach systemowych, związanych ze sposobem podejmowania decyzji refundacyjnych. Stwierdzono, iż sposób podejmowania decyzji refundacyjnych w Polsce jest procesem wielokryterialnym. Biorąc pod uwagę definicję oraz metody MCDA, jest to proces deliberatywny, opierający się o podstawowe kryterium efektywności-kosztowej, w którym wykorzystuje się metody analizy wielokryterialnej z regułami decyzyjnymi. Obserwacje te powinny zostać wzięte pod uwagę podczas wdrażania proponowanych zmian w zakresie oceny i sposobu podejmowania decyzji o finansowaniu leków w chorobach rzadkich, zwłaszcza w odniesieniu do metod ilościowych MCDA, mających wiele ograniczeń. Odejście od głównego kryterium efektywności-kosztowej może skutkować znaczną utratą korzyści zdrowotnej wyrażonej jako QALYG/LYG. Ocena preferencji kryteriów refundacyjnych ujętych w ustawie refundacyjnej wykazała, że polscy pacjenci w znacznym stopniu nie rozumieją ich opisu i znaczenia. Pacjenci przypisywali największą wagę klinicznym wartościom produktów leczniczych a najmniejszą parametrom ekonomicznym, co może być uzasadnione brakiem dostatecznej wiedzy na temat znaczenia pojęć związanych z kryteriami. Preferowanym celem refundacji według opinii pacjentów była maksymalizacja korzyści zdrowotnej. Badania preferencji wymagają kontynuacji na większą skalę i podejmowania działalności edukacyjnej zwiększającej świadomość poszczególnych interesariuszy na temat kryteriów refundacyjnych. Oszacowane dla warunków polskich parametry farmakoekonomiczne TLI ujawniły, że zdecydowana większość z nich jest nieefektywna kosztowo. Należy zidentyfikować racjonalne rozwiązania refundacji leków nieefektywnych kosztowo, aby uniknąć nieoptymalnego wydatkowania środków finansowych. Wydzielenie osobnego budżetu i odrębnych kryteriów decyzyjnych dla produktów leczniczych do stosowania w chorobach rzadkich i nowoczesnych produktów onkologicznych, obarczonych dużą niepewnością, wydaje się odpowiednim rozwiązaniem. Pomimo wskazanych ograniczeń przeprowadzonego badania, uzyskane wyniki mogą mieć istotne znaczenie w kontynuowaniu dalszych obserwacji dotyczących poszukiwań racjonalnych rozwiązań w zakresie finansowania produktów leczniczych, uwzględniającego potrzeby różnych grup beneficjentów procesu refundacji.

Summary

The reimbursement of medicinal products is a fundamental tool of drug policy, guaranteeing access to pharmacotherapy for healthcare recipients. The reimbursement criteria in Poland are set out in the 2011 Reimbursement Act. They are formulated in a general way, do not indicate specific definitions of the concepts included, and do not specify the indicators used to determine the values of certain variables. Reimbursement decision-making in the Polish system is directed towards maximising health outcomes. The basic decision criterion is cost-effectiveness. The proposed changes related to prioritising this criterion increasingly less may result in a loss of health benefits in terms of quality-adjusted life years (QALYs).

The aim of the study was to analyse how reimbursement decisions are made in Poland with reference to the methods of multicriteria decision analysis (MCDA), to assess the preferences of Polish patients on the criteria considered in decisions on the reimbursement of medicinal products and to evaluate the effects of reimbursement decisions depending on the reimbursement objectives adopted.

A pilot preference survey was conducted among patient organisation boards. In the survey, respondents distributed 100 points between reimbursement criteria and four proposed reimbursement objectives. Fifteen organisations were surveyed. In the second part of the study, a simulation of the impact of the proposed reimbursement objectives and the associated decision implications was performed using the example of medicinal products evaluated in the development of the Highly Innovative Technology List (TLI). Based on data extracted from published AOTMiT reports on individual TLIs, data on additional health benefit as life years gained (LYG) were selected, costs of therapies and comparators were estimated and ICERs were estimated. Technology rankings were created depending on the adopted reimbursement objective and criteria in the average budget allocated to TLI reimbursement.

An analysis of the decision-making criteria for medicinal products included in the Reimbursement Act revealed that they are not clearly defined, indicators and methods for measuring their value are not specified. The criteria are not sufficiently linked to a specifically defined reimbursement objective. The impact of the particular reimbursement criteria on decisions to fund medicinal products is also unclear. These observations should be considered for possible system changes related to the way

reimbursement decisions are reached. It was observed that the way reimbursement decisions are made in Poland is a multi-criteria process. Taking into consideration the definition and methods of MCDA, it is a deliberative process, based on the basic criterion of cost-effectiveness, which uses methods of MCDA with decision rules. These observations should be considered when implementing the proposed changes to the assessment and decision-making process for the funding of medicines in rare diseases, especially quantitative MCDA methods, which have many limitations. Giving increasingly reduced importance to the cost-effectiveness criterion may result in a significant loss of health benefit expressed as QALYG/LYG. An evaluation of the preferences of the reimbursement criteria included in the Reimbursement Act showed that Polish patients significantly misunderstand their description and meaning. Patients assigned the most importance to the clinical values of medicinal products and the lowest to the economic parameters, possibly due to insufficient knowledge of the meaning of the terms associated with the criteria. The preferred objective of reimbursement according to patients' opinions was to maximise the health benefit. Preference studies need to be continued on a larger scale and educational activities should be undertaken to increase the awareness of individual stakeholders about reimbursement criteria. The TLI pharmacoeconomic parameters estimated for Polish settings revealed that most of them are cost ineffective. Rational reimbursement solutions for cost-ineffective medicines should be identified to avoid suboptimal expenditure of funds. A separate budget and specific decision criteria for rare disease medicines and innovative oncology products with significant uncertainties seems an appropriate solution. Despite the indicated limitations of the study, the results obtained may be important in the continuation of further analyses concerning the search for rational solutions for the financing of medicinal products, considering the needs of different groups of beneficiaries of the reimbursement process.