

Tomasz Bochenek

Innowacja lekowa w świetle ustawy refundacyjnej

Słowa kluczowe: innowacja lekowa, ceny leków, refundacja leków, polityka lekowa, zwrot przychodów, podział ryzyka

■ Wprowadzenie

Nie istnieje pojedyncza i powszechnie obowiązująca definicja innowacji, obejmująca wszelkie obszary działalności człowieka. Znaczenie tego pojęcia zależy od dziedziny, której dotyczy. Innowacją może być więc coś, co jest nowo wprowadzone do stosowania lub proces wprowadzania do użytku czegoś nowego. Cecha innowacyjności może być również wiązana ze skutkiem wprowadzenia czegoś nowego; wtedy innowacją można określać taki sposób wykorzystania nowych pomysłów, który jest uwieńczony sukcesem, lub taką zmianę, która działaniu człowieka nadaje nowy wymiar. Innowacją określa się też wdrażanie i stosowanie produktów i procesów, które są nowe pod względem technologicznym, a także istotne ulepszenia technologiczne produktów i procesów. W takim ujęciu innowacyjną jest firma, która wdrożyła produkty lub procesy, które są nowe pod względem technologicznym lub też są one w istotny sposób ulepszone pod względem technologicznym [1].

Innowacja może mieć charakter radykalny lub inkrementalny. Z innowacją lekową, a więc związaną ze stosowaniem leków, kojarzona jest współcześnie raczej ta druga cecha. Istnieją różne pola oddziaływania innowacji lekowej [2]. Wartość leków określaną jako innowacyjną może być związana ze zwalczaniem nowych zagrożeń chorobowych lub odkrywaniem nowych wskazań dla już znanych leków. Innowacyjne leki mogą przynosić korzystne efekty zdrowotne, wpływając np. na poprawę jakości lub długości życia pacjenta. Mogą również przyspieszać leczenie lub zwiększać jego bezpieczeństwo, dając mniej działań niepożądanych. Innowacyjność leków może być związana z lepszym znoszeniem ich przyjmowania przez pacjentów, słabszymi interakcjami z innymi lekami, większą wygodą stosowania. Innowacja lekowa może też mieć bardziej odległe, pozaosobnicze pola oddziaływania, wiążąc się ze zwiększaniem wydajności

pracy lub uwalnianiem określonych zasobów systemu opieki zdrowotnej.

Innowacjom w obszarze leków powszechnie przypisuje się w medycynie bardzo duże znaczenie. W badaniu kwestionariuszowym przeprowadzonym wśród 225 wybitnych lekarzy amerykańskich, którzy zostali poproszeni o wskazanie 30 najważniejszych innowacji w dziedzinie medycyny i opieki zdrowotnej (tzn. takich innowacji, których brak mógłby okazać się współcześnie najbardziej szkodliwy dla pacjentów), wyróżniona została szczególna rola leków¹. W pierwszej dziesiątce tych innowacji znalazły się bowiem aż cztery leki, w pierwszej dwudziestce zaś leków było 11 [3].

Za siłę napędową współczesnych odkryć i rozwoju nowoczesnych metod leczenia można uznawać, wspólnie z akademickimi ośrodkami naukowymi, przemysł medyczny. W przypadku innowacji lekowej rola tego przemysłu zaznacza się w sposób szczególnie mocny, stąd wszelkie regulacje prawne w obszarze polityki lekowej i cenowo-refundacyjnej mają pośredni lub bezpośredni wpływ na innowację lekową.

■ Innowacja lekowa za granicą i w Polsce

Z innowacją lekową wiążą się często duże oczekiwania pacjentów, a w wielu krajach do tej innowacji przywiązywana jest waga szczególna. W latach 2005–2008 pod patronatem Komisji Europejskiej realizowana była inicjatywa Forum Farmaceutyczne (Pharmaceutical Forum; pełna nazwa – High Level Pharmaceutical Forum), związana z wymianą poglądów, doświadczeń i debatami prowadzonymi w gronie uczestników polityki lekowej w krajach członkowskich Unii Europejskiej (UE). Forum Farmaceutyczne zapoczątkowane zostało przez działania G. Verheugena i M. Kyprianou. Zostały one podjęte wraz z deklaracją konieczności stawienia czoła wyzwaniom zdrowia publicznego, niesionym przez stosowanie

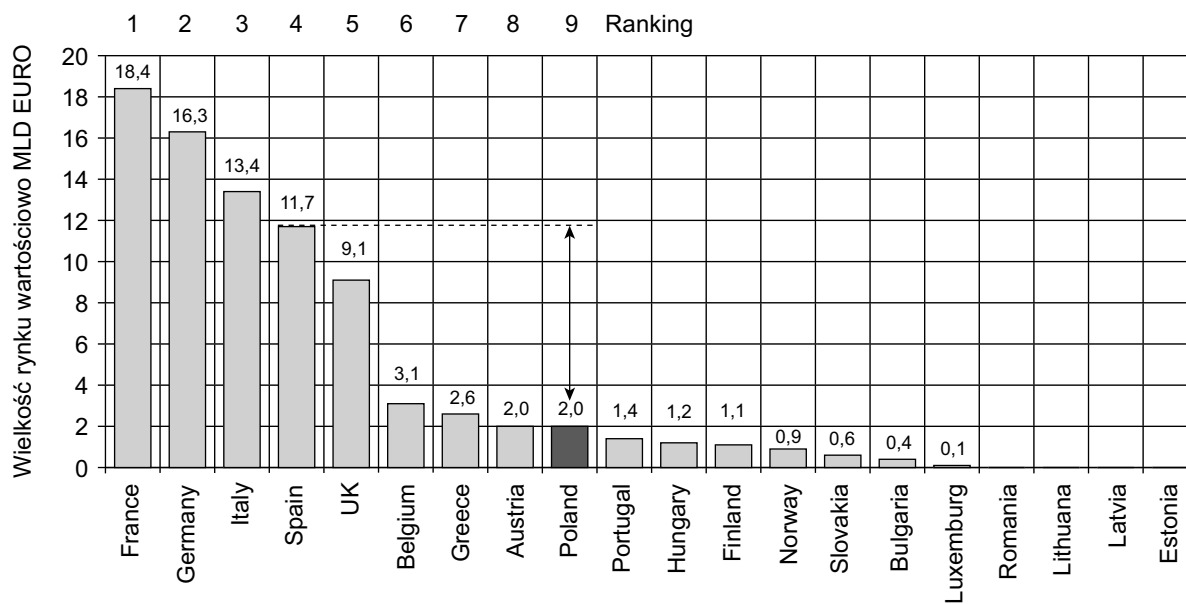
i finansowanie leków przez współczesne systemy opieki zdrowotnej [4]. Wnioski i rekomendacje płynące z prac Forum Farmaceutycznego skupiły się w trzech obszarach tematycznych:

- 1) informacja dla pacjentów;
- 2) efektywność względna (*relative effectiveness*; porównawcza ocena efektów i kosztów różnych metod leczenia w warunkach codziennej praktyki);
- 3) ustalanie cen i refundacja leków.

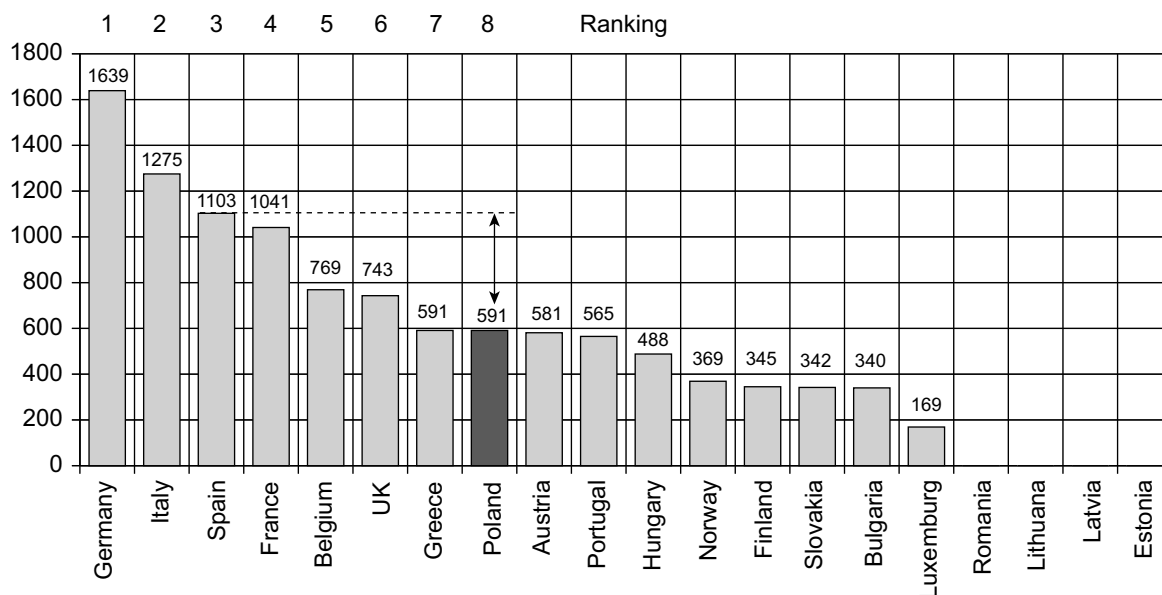
W trzecim obszarze wniosków i rekomendacji szczególną uwagę poświęcono innowacji. Zaznaczono, że polityka cenowo-refundacyjna powinna równoważyć: szybki i sprawiedliwy dostęp do leków dla wszystkich pacjentów w krajach członkowskich UE, kontrolę wydatków, wynagradzanie wartościowej innowacji na konkurencyjnym i dynamicznym rynku farmaceutycznym, stwarzanie zachęt do badań i rozwoju (R&D; *research and development*). Forum Farmaceutyczne uznało, że ważne jest uzgodnienie, jakie rodzaje innowacji lekowej są pożądane i będą w związku z tym doceniane, a także sposobu, w jaki ocena wartości innowacji będzie przekładać się na decyzje cenowo-refundacyjne. Istotnym warunkiem powstawania bardzo potrzebnych współcześnie leków jest jasne i powszechne artykułowanie oczekiwań względem przemysłu farmaceutycznego, powiązane z konsekwentną polityką cenowo-refundacyjną. Kraje członkowskie UE, interesariusze polityki lekowej oraz Komisja Europejska zostali zachęcani przez Forum Farmaceutyczne do współpracy nad tworzeniem korzystnych dla innowacji warunków działalności przemysłu farmaceutycznego. Rekomendacja numer 8, zatytułowana „Expect, identify and reward valuable innovation”, przekazuje następujące treści [4]:

- Kraje członkowskie UE wzywane są do jasnego i powszechnego wyrażania swoich oczekiwań względem innowacji oraz sposobów jej wynagradzania. Przemysłowi farmaceutycznemu pozwoli to na wyznaczenie priorytetów własnej działalności i przygotowywanie dokumentacji wymaganej przez władze zdrowotne (płatników), władzom zdrowotnym zaś ułatwi planowanie średnio- i długoterminowych budżetów.
- Firmom farmaceutycznym rekomenduje się prace nad opracowywaniem i dostarczaniem leków innowacyjnych, potrzebnych obywatelom. Zachęca się jednocześnie przemysł farmaceutyczny do współpracy ze środowiskami pacjentów.
- Krajowe polityki cenowo-refundacyjne w obszarze leków powinny uwzględniać powyższe zalecenia. Powinny one zapewniać spójny sposób wynagradzania tych korzyści płynących z innowacji lekowej, które w przejrzysty sposób zostaną uznane za wartościowe oraz powinny zawierać systemy oceny wartości leków.

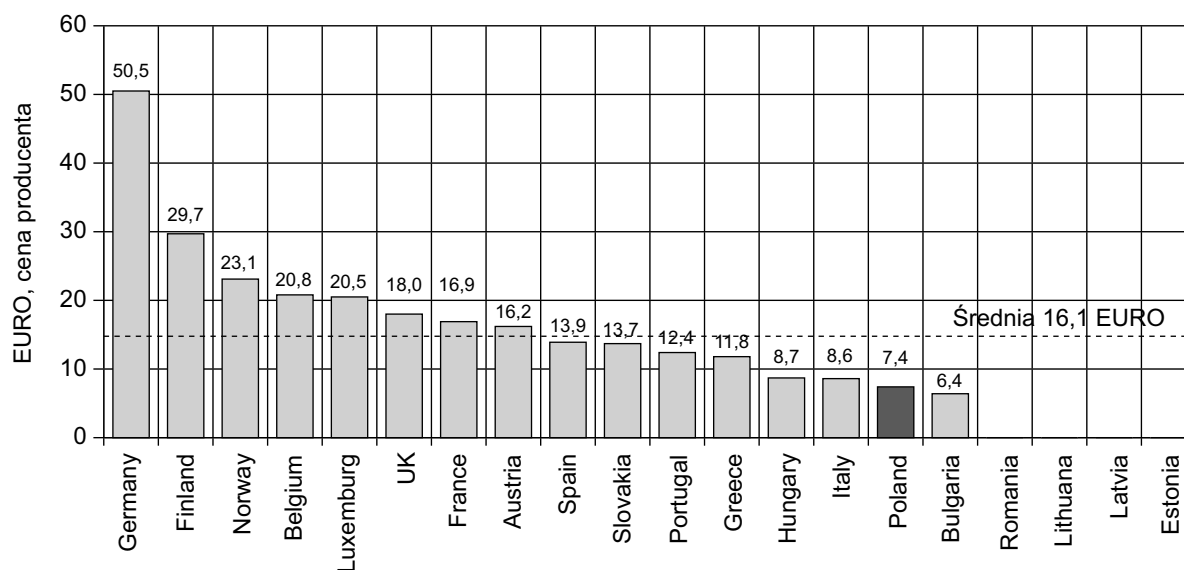
Polski nie można uznać za kraj, w którym leki innowacyjne (oryginalne²) mają duży udział w leczeniu pacjentów. W ujęciu wartościowym Polska (około 2 mld euro) jest dziewiątym rynkiem leków innowacyjnych w Europie, blisko sześć razy mniejszym od Hiszpanii, kraju UE często porównywanego z naszym (**Rysunek 1**). Pod względem liczby dostępnych leków innowacyjnych (591) zajmujemy ósme miejsce w Europie (**Rysunek 2**), przy czym większość z nich to leki długo obecne na rynku. Średnia cena tych leków w Polsce (7,4 euro) kształtuje się 54% poniżej średniej europejskiej (16,1 euro) (**Rysunek 3**) [5]. Dostęp polskich pacjentów do innowacji w systemie opieki zdrowotnej ogólnie jest po-



Rysunek 1. Pozycja polskiego rynku leków innowacyjnych w Europie w ujęciu wartościowym.
 Źródło: IMS Health [5].



Rysunek 2. Pozycja polskiego rynku leków innowacyjnych w Europie w ujęciu ilościowym.
Źródło: IMS Health [5].



Rysunek 3. Średnia cena netto leku innowacyjnego (oryginalnego) w Polsce na tle innych krajów europejskich.
Źródło: IMS Health [5].

ważnie ograniczony. Na rynku leków problem dostępu do nowoczesnego leczenia widoczny jest szczególnie wyraźnie [6].

Trudno jest jednoznacznie określić oficjalne stanowisko władz Polski względem innowacji lekowej. Wiedzę na ten temat można czerpać z dokumentów, które nie są poświęcone innowacji lekowej bezpośrednio lub wyłącznie. Należą do nich dokumenty o charakterze programowym, zatytułowane „Polityka lekowa pań-

stwa”, nieregularnie publikowane przez ministra właściwego do spraw zdrowia. Dokument wydany ostatnio, to znaczy w 2004 roku, dotyczył planów działania na lata 2004–2008 [7], poprzedni zaś wydany był jeszcze w 1995 roku [8]. Widoczny jest brak konsekwencji w formalnym i spójnym artykułowaniu polityki lekowej państwa, co całkowicie nie odpowiada roli, jaką odgrywa leczenie farmakologiczne w systemie opieki zdrowotnej. Jest to również sprzeczne z zaleceniami Świa-

towej Organizacji Zdrowia, która polityką lekową (*drug policy, pharmaceutical policy*) zajmuje się intensywnie i od dawna zaleca rzetelne opracowywanie dokumentów formalizujących politykę lekową państwa, wdrażanie deklarowanych tam działań, a także monitorowanie sposobu realizacji stawianych celów [9]. W „Polityce lekowej państwa 2004–2008” w kilku miejscach pojawiają się wzmianki dotyczące innowacji lekowej. Od razu można jednak zauważyć, że dominuje przeciwstawianie leków innowacyjnych i drogich lekom generycznym (odtwórczym) i tańszym. Stanowi to duże uproszczenie problemu innowacji lekowej.

Polskie władze zdrowotne, określając formalnie politykę lekową państwa, wyrażały potrzebę wspomagania jednostek naukowo-badawczych nastawionych na innowacyjność, od razu dodając, że ze względu na to, iż refundowanie leków odtwórczych ma przynosić oszczędności dla budżetu (płatnika), konieczne jest „opracowanie programu i instrumentów wspomagających działalność wytwórczą w tym sektorze”. Deklarowano „zapewnienie wymiernych oszczędności dla budżetu państwa związanych z prowadzeniem racjonalnej polityki refundacyjnej, opartej na wytwarzanych produktach leczniczych zarówno innowacyjnych, jak i odtwórczych”. Wskazywano też na potrzebę przygotowania „sektora farmaceutycznego do sprostania konkurencji w związku z wejściem Polski do struktur europejskich”, czemu miało służyć „wzmocnienie prac badawczo-rozwojowych nad polskimi, innowacyjnymi produktami leczniczymi, produkcja i wprowadzenie na rynek pakietu leków generycznych, zdobywanie nowych rynków zbytu, promowanie krajowych leków za granicą” [7]. Omawiając miejsce innowacji w obu dokumentach „Polityka lekowa państwa”, należy zaznaczyć, że ten drugi (i ostatni) nie zawiera żadnych dat lub nawet ogólnych terminów realizacji deklarowanych celów. Harmonogram zawarty był w dokumencie poprzednim (z 1995 roku), co było zgodne z wytycznymi Światowej Organizacji Zdrowia [9]. Niewątpliwą korzyścią płynącą dla autorów dokumentu programowego, pozbawionego harmonogramu wdrażania stawianych w nim celów, jest komfortowy brak możliwości późniejszego zweryfikowania realizacji tych celów przez przeciwników politycznych, wyborców i opinię publiczną.

Innymi dokumentami rządowymi odnoszącymi się do innowacji lekowej są publikowane okresowo „Strategie dla przemysłu farmaceutycznego”. W „Strategii”, która ukazała się w 2005 roku, problematyka innowacji lekowej pojawia się w kilku miejscach [10]. Postrzeganie innowacji wydaje się tutaj pełniejsze niż w „Polityce lekowej państwa”. Wskazywane są np. możliwości innowacji w farmaceutycznym przemyśle generycznym. Zaznaczono, że „krajowy przemysł farmaceutyczny jest znaczącym nośnikiem postępu techniczno-technologicznego. Przynosząc duże zyski, ma decydujący wpływ na efekty ekonomiczne całego sektora chemicznego. Przemysł ten charakteryzuje wysoka rentowność, która jednak uwarunkowana jest kosztowną innowacyjnością...”. Ponadto wyjaśniono, że „polscy producenci leków specjalizują się głównie w produkcji leków generycznych

(odtwórczych), ponieważ nie dysponują środkami na finansowanie badań naukowych nad lekami oryginalnymi”. Sformułowane zostało nawet odrębne zadanie do realizacji przez polski rząd, jakim jest „wspieranie firm farmaceutycznych w zakresie innowacyjności poprzez: pozyskiwanie opracowań, partnerów i kapitału do uruchomienia produkcji niektórych substancji chemicznych, które jako surowce i półprodukty stosowane są do produkcji leków generycznych (...), kontynuację prac nad lekami oryginalnymi” [10]. Ponieważ ani polityka lekowa, ani polityka cenowo-refundacyjna nie leżały w kompetencjach ministrów sygnujących „Strategię dla przemysłu farmaceutycznego”, nie wskazywano na konkretne rozwiązania z zakresu refundacji leków, które miałyby promować innowację lekową. Pod tym względem znaczenie „Strategii” było więc ograniczone.

■ Ustawa refundacyjna – nowatorski akt prawny w polskiej polityce lekowej

Wobec dotychczasowego niedoceniaenia innowacji lekowej przez polskie władze zdrowotne, odzwierciedlonego rzadkim poruszaniem tej problematyki w oficjalnych dokumentach programowych rządu polskiego, spore oczekiwanie może wzbudzać projekt ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (tzw. ustawy refundacyjnej), przygotowanej przez ministra zdrowia (MZ) i przedstawionej publicznie po raz pierwszy we wrześniu 2010 roku podczas obrad XX Forum Ekonomicznego w Krynicy [11]. W okresie prac nad niniejszą publikacją ustawa znajdowała się na końcowym etapie procesu legislacyjnego.

Ustawa wprowadza całkowity budżet na refundację leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobów medycznych dostępnych na receptę, w ramach programów zdrowotnych, chemioterapii i tzw. importu docelowego leków (związanego ze sprowadzaniem z zagranicy leków niezarejestrowanych w Polsce, a niezbędnych dla ratowania zdrowia lub życia pacjenta). Budżet ten ustala się w wysokości 17% sumy środków publicznych przeznaczonych na finansowanie świadczeń gwarantowanych w danym roku. Gdy próg ten zostanie przekroczony, wówczas firmy farmaceutyczne, których leki wykażą dodatnią dynamikę poziomu refundacji w danej grupie limitowej, będą zobowiązane do zwrotu na rzecz NFZ „kwoty przekroczenia” (*pay-back*). Kwota ta ma być obliczana przez NFZ według specjalnego wzoru matematycznego przed końcem pierwszego kwartału roku, w odniesieniu do refundacji za cały rok poprzedni. Ograniczenie wydatków na refundację leków i wprowadzenie obowiązku zwrotu kwoty przekroczenia to rozwiązania stosowane już w niektórych krajach, m.in. w Belgii, Francji, Portugalii, Rumunii, Wielkiej Brytanii, na Węgrzech i we Włoszech [12]. Senackie poprawki do ustawy refundacyjnej wprowadziły ograniczenie *pay-back* do 50% [13].

Powstają nowe kategorie dostępności refundacyjnej leków. Zastępują one dotychczasowy podział na leki

podstawowe, uzupełniające i stosowane w chorobach przewlekłych. Wprowadza się podział na leki:

- 1) dostępne w aptekach (w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń oraz we wskazaniu określonym stanem klinicznym);
- 2) dostępne w ramach programu lekowego;
- 3) stosowane w ramach chemioterapii (w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń oraz we wskazaniu określonym stanem klinicznym);
- 4) stosowane w ramach udzielania świadczeń gwarantowanych innych niż opisane w punktach 1–3.

Ustawa wprowadza następujące kategorie odpłatności za opakowanie jednostkowe leku (nb. są one identyczne z dotychczasowymi):

- 1) bezpłatnie;
- 2) za odpłatnością ryczałtową;
- 3) za odpłatnością w wysokości 30 lub 50% limitu finansowania (do wysokości limitu i za dopłatą w wysokości różnicy pomiędzy ceną detaliczną a wysokością limitu finansowania).

Tak jak do tej pory zakłada się funkcjonowanie grup limitowych, wyznaczając w ich ramach podstawę limitu finansowania. Utrzymany więc został system cen referencyjnych, stosowany poza Polską także w wielu innych krajach. Po raz pierwszy na świecie wprowadzono go w Nowej Zelandii, na kontynencie europejskim zaś w Niemczech [14]. Drobną, ale istotną zmianą jest wprowadzenie pojęcia „limitu finansowania” zamiast „limitu ceny”³. Co jeszcze ważniejsze, wprowadza się znacznie bardziej precyzyjne niż obowiązujące do tej pory, kryteria finansowe kwalifikacji leków do grup limitowych. Uzależnia się przynależność do grupy limitowej od przewlekłości leczenia i jego kosztów. „Domyślnym” poziomem ma być odpłatność 30%, do której będzie się kwalifikować wszystkie leki, które nie zostały włączone uprzednio do innych poziomów odpłatności. Wprowadza się kryterium obciążenia finansowego pacjenta przy określaniu grup odpłatności. Leki, których stosowanie mniej obciąża finansowo pacjenta ze względu na ograniczony czas trwania farmakoterapii (do 30 dni), mają trafiać do poziomu odpłatności 50%. Leki, które bardziej obciążają budżet pacjenta ze względu na wysoki koszt miesięczny lub ze względu na konieczność przewlekłego stosowania, mają należeć do poziomu odpłatności ryczałtowej. Natomiast bezpłatnie mają być wydawane leki stosowane w leczeniu nowotworów złośliwych, zaburzeń psychotycznych, upośledzeń umysłowych lub zaburzeń rozwojowych, chorób zakaźnych o szczególnym znaczeniu epidemicznym dla populacji, a także leki stosowane w ramach programu lekowego. Także kategoria odpłatności ryczałtowej ma uwzględniać kryterium czasu trwania leczenia i kosztu terapii dla pacjenta, odnosząc ten koszt do poziomu minimalnego wynagrodzenia za pracę w Polsce.

Tworzenie grup limitowych ma być związane z kojarzeniem odpowiedników generycznych (leków odtworczych o tej samej nazwie międzynarodowej) lub terapeutycznych (leków o podobnym działaniu terapeutycznym). Nowością jest powiązanie podstawy limitu refundacji z lekami posiadającymi istotniejszy udział wśród dostep-

nych zamienników. Do tej pory podstawę limitu tworzyły niekiedy leki wprawdzie tanie, lecz faktycznie niedostępne w obrocie. Dzięki ustawie refundacyjnej leki nieposiadające większego lub nawet jakiegokolwiek znaczenia rynkowego nie będą brane pod uwagę przy ustalaniu limitów refundacji, co powinno urealnić politykę lekową.

Urzędowa marża hurtowa na leki, liczona od urzędowej ceny zbytu, zostaje zmniejszona z 8,91 do 5%, jednak stopniowo aż do 2014 roku [15]. Marża apteczna ma być nadal degresywna, lecz ważną nowością jest obliczanie jej od ceny hurtowej leku stanowiącego podstawę limitu w danej grupie limitowej. Chociaż marża apteczna ma stracić swój górny pułap kwotowy, to limitowana będzie przecież podstawa wyliczania marży. Zmiany te mają najwyraźniej zniechęcać aptekarzy do sprzedawania leków zamiennych, lecz droższych. Zarówno ceny urzędowe, jak również marże (hurtowe i detaliczne) mają mieć charakter sztywny (niezmienny), nie zaś maksymalny (nieprzekraczalny, jak do tej pory) – i jest to jedna z najważniejszych zmian stanu obecnego, sankcjonowana zresztą bardzo poważnymi karami finansowymi w przypadku naruszenia zasad stosowania cen zbytu, marż hurtowych lub detalicznych.

Objęcie leku refundacją ma odbywać się przez wydanie decyzji przez MZ, określającej od razu cenę urzędową zbytu i wydawanej na okres od dwóch do pięciu lat, według szczegółowo rozbudowanych kryteriów. Brana będzie pod uwagę istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wnioski o objęcie refundacją, skuteczność kliniczna i praktyczna, bezpieczeństwo stosowania, relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, stosunek kosztów do efektów zdrowotnych uzyskiwanych dzięki dotychczas refundowanym lekom (w porównaniu z lekiem wnioskowanym), konkurencyjność cenowa, wpływ na wydatki NFZ, istnienie alternatywnej technologii medycznej oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania. Znaczenie będzie miała również wiarygodność i precyzja oszacowań kryteriów, dokonywanych przez wnioskodawcę. Decyzja refundacyjna będzie podejmowana także w kontekście ustalonych priorytetów zdrowotnych oraz przy uwzględnieniu innych możliwości dostępnego współcześnie leczenia. Brany będzie pod uwagę próg uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (*quality-adjusted life year* – QALY), ustalony w wysokości trzykrotności produktu krajowego brutto *per capita*, w przypadku zaś braku możliwości wyznaczenia tego kosztu – koszt uzyskania dodatkowego roku życia. Przed wydaniem decyzji refundacyjnej przez MZ wymagane będzie zajęcie stanowiska przez Komisję Ekonomiczną, wydanie rekomendacji przez Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM) i ocena konkurencyjności cenowej. Bardzo interesujące są zapisy dotyczące równoważenia interesów świadczeniobiorców i przedsiębiorców zajmujących się wytwarzaniem lub obrotem lekami, możliwości płatniczych NFZ, a także uwzględniania działalności naukowo-badawczej i inwestycyjnej firmy farmaceutycznej w zakresie związanym z ochroną zdrowia na terytorium Polski i w innych państwach członkowskich UE lub EFTA. W przypadku leków drugich w kolejności

na wykazach refundacyjnych ich urzędowa cena zbytu nie będzie mogła przekroczyć 75% urzędowej ceny zbytu jedyne go odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu. Dla kolejnego odpowiednika cena urzędowa zbytu nie będzie mogła przekroczyć urzędowej ceny zbytu odpowiednika wyznaczającego podstawę limitu. Taki mechanizm ustalania cen zamienników kolejno ukazujących się w wykazach refundacyjnych ma stymulować stopniowe obniżanie ich cen.

Ważną i oczekiwaną nowością jest wprowadzenie możliwości stosowania instrumentów dzielenia ryzyka (*risk-sharing*) przy wprowadzaniu leków do systemu refundacyjnego. Mechanizmy te mają być związane z uzależnieniem (1) wielkości przychodu wnioskodawcy od uzyskiwanych efektów zdrowotnych, (2) wysokości urzędowej ceny zbytu od zapewnienia dostaw po obniżonej cenie, (3) wysokości urzędowej ceny zbytu od wielkości obrotu lekiem, (4) ceny zbytu od zwrotu części uzyskanej refundacji do NFZ lub (5) ustaleniem innych warunków refundacji mających wpływ na zwiększenie dostępności do świadczeń, ewentualnie obniżenie kosztów tych świadczeń.

Bardzo duże kontrowersje wzbudzały zapisy ustawy wprowadzające opłatę w wysokości 3% przychodu z tytułu objęcia leku refundacją w danym roku kalendarzowym, która miała być wnoszona przez firmę farmaceutyczną na rachunek AOTM. Przychody z tytułu tych opłat miały być przeznaczane na finansowanie działań naukowo-badawczych, jednak ustawa nie precyzowała sposobu wykorzystywania tych środków finansowych. Zapisy te zostały usunięte przez senacką poprawkę, przyjętą przez Sejm [13, 15].

Ustawa powołuje 17-osobową Komisję Ekonomiczną (zastępującą niejako dotychczasowy Zespół do spraw Gospodarki Lekami), która ma wykonywać szeroko nakreślone zadania, związane m.in. z negocjacjami i ustalaniem urzędowych cen zbytu, ustalaniem poziomu odpłatności i wskazań, w których lek ma być refundowany, okresu obowiązywania decyzji refundacyjnej, instrumentów dzielenia ryzyka. Określone zostają kryteria powadzenia negocjacji przez Komisję Ekonomiczną i zaznacza się, że mają być w nich uwzględniane m.in.: potrzeba równoważenia interesów świadczeniobiorców i przedsiębiorców zajmujących się wytwarzaniem lub obrotem lekami, możliwości płatnicze NFZ oraz działalność naukowo-badawcza i inwestycyjna firmy farmaceutycznej w zakresie związanym z ochroną zdrowia na terytorium Polski i w innych państwach członkowskich UE lub EFTA.

Dotychczasowa Rada Konsultacyjna AOTM zostaje zastąpiona przez Radę Przejrzystości AOTM. Ma ona pełnić funkcję opiniodawczo-doradczą i ma być włączona w proces podejmowania decyzji refundacyjnych. Do zadań Rady Konsultacyjnej ma należeć przygotowywanie stanowisk dotyczących kwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej jako gwarantowanych wraz z określeniem sposobu i poziomu ich finansowania, usuwania świadczeń z wykazu świadczeń gwarantowanych lub zmian poziomu ich finansowania, przygotowywanie i przedstawianie stanowisk dotyczących decyzji refundacyjnych, a także wydawanie opinii o programach zdrowotnych.

Wprowadzone zostają różne tryby podejmowania decyzji refundacyjnych, związane z tym rodzaje składanej dokumentacji, włączając w to analizy z zakresu oceny technologii medycznych lub tzw. analizy racjonalizacyjne (przy wnioskach o podwyższenie ceny urzędowej). Określa się terminy rozpatrywania wniosków refundacyjnych i związane z rozpatrywaniem tych wniosków opłaty ponoszone przez wnioskodawców. Opłaty te mają stanowić dochód budżetu państwa.

Radykalnie zmienia się forma publikacji wykazów refundacyjnych. Dotychczasowe rozporządzenia MZ (dotyczące leków podstawowych i uzupełniających, wykazu chorób przewlekłych i leków, które w nich mogą być stosowane jako refundowane, cen tych leków oraz tzw. limitów cen) zostają zastąpione przez obwieszczenia MZ. W jednym dokumencie ma być zawarty wykaz leków refundowanych, ich dane identyfikacyjne, kategorie dostępności refundacyjnej, poziom odpłatności, urzędowa cena zbytu, wysokość limitu finansowania i grupa limitowa. Obwieszczenia będą ogłaszane raz na dwa miesiące w Dzienniku Urzędowym Rzeczypospolitej Polskiej „Monitor Polski”.

Ważną zmianą jest umożliwienie MZ wydawania decyzji o objęciu refundacją leku (w ramach programu lekowego lub chemioterapii) poza jego wskazaniami rejestracyjnymi, tzn. poza wskazaniami do stosowania, dawkowaniem lub sposobem podawania określonym w charakterystyce produktu leczniczego (*off-label use*). Oznacza to oficjalne uznanie możliwości finansowania ze środków publicznych leków w ich zastosowaniach pozarejestracyjnych i może stanowić „szybką ścieżkę” finansowania leków w nowych wskazaniach. Może to mieć zastosowanie m.in. wówczas, gdy wiedza naukowa postępuje szybciej niż aktualizacja dokumentacji rejestracyjnej. Jednakże należy zauważyć, że taka możliwość ustawowa może być źródłem przyszłych zarzutów wobec MZ i NFZ odnośnie do ułatwienia finansowania ze środków publicznych metod leczenia, które nie są jeszcze wystarczająco przebadane, sprawdzone i udokumentowane.

Wiele zapisów ustawy dotyczy zmian sposobu funkcjonowania aptek jako miejsc realizacji recept lekarskich podlegających refundacji, a także zmian w zasadach współpracy z NFZ lekarzy wystawiających recepty na leki refundowane. Wprowadzone zostają umowy aptek z NFZ mocniej wiążące obie strony w realizacji zadań związanych z refundacją leków. Będzie istniał nie tylko obowiązek informowania ubezpieczonych przez aptekę o możliwościach nabycia leku objętego refundacją innego niż lek przepisany, lecz o tej samej nazwie międzynarodowej i dawce, o postaci farmaceutycznej, która nie powoduje powstania różnic terapeutycznych i o tym samym wskazaniu terapeutycznym, a którego cena nie przekracza limitu finansowania ze środków publicznych, lecz również obowiązek posiadania takiego leku przez aptekę. Substytucja generyczna będzie wzmocniona obowiązkiem uzasadnienia przez lekarza w dokumentacji medycznej pacjenta faktu dokonania na recepcie adnotacji o braku możliwości zamiany zleconego leku. Wprowadzone zostają rygorystyczne zasady przekazywania danych refundacyjnych przez apteki do NFZ, nie-

przekazanie zaś tych danych w formie prawidłowej, po upływie dodatkowego terminu na ich uzupełnienie, ma skutkować całkowitym wstrzymaniem refundacji w kwestionowanym zakresie. Będzie istniał obowiązek zawierania przez lekarzy wystawiających recepty na leki refundowane umów z NFZ, upoważniających do wystawiania takich recept, bez względu na to, czy ich wystawianie odbywać się będzie w toku pracy w charakterze lekarza ubezpieczenia zdrowotnego, czy też nie (recepty dla pacjentów leczonych poza placówkami posiadającymi umowę z NFZ o udzielanie świadczeń zdrowotnych, *pro auctore, pro familia*). Zwiększa się możliwość skutecznego monitorowania preskrypcji lekarskiej przez NFZ, ponieważ wprowadzone zostają rygorystyczne sankcje za nieprzestrzeganie przez lekarzy obowiązujących zasad wystawiania recept lekarskich.

Będzie istniał zakaz stosowania niejednorodnych warunków umów zawieranych pomiędzy przedsiębiorcami zajmującymi się wytwarzaniem lub obrotem lekami. Umowy te, podobnie jak umowy zawierane ze świadczeniodawcami, nie będą mogły być uzależnione od przyjęcia lub spełnienia innych świadczeń, złamanie zaś zasad będzie obłożone wysokimi sankcjami. Wprowadza się dosyć głęboką ingerencję w działalność zarówno firm farmaceutycznych, jak również innych przedsiębiorców z branży lekowej. Stałe marże i sztywne ceny leków mocno ograniczą swobodę działalności gospodarczej, pojawia się więc pytanie o skuteczność tego typu rozwiązań w polityce lekowej państwa. Obecnie nie jest pewne, czy taka ingerencja będzie efektywnie wykorzystywana przez MZ w prowadzeniu polityki lekowej – okaże się to dopiero w przyszłości. Obawy wzmacnia to, że w uzasadnieniu do projektu ustawy brakuje przedstawienia „twardych dowodów”, faktów i obliczeń potwierdzających tezę, że zróżnicowanie cen leków, rabaty i upusty negatywnie odbijają się na pacjentach i na budżecie NFZ. Jeżeli tańsze dla pacjentów leki (słynne „leki za jeden grosz”) miały do tej pory skutkować marnotrawstwem związanym z nadmiernym wykupywaniem leków, to pojawia się pytanie, czemu nie wprowadzono dostępnych już i skutecznych sposobów monitorowania ordynacji lekarskiej, eliminując problem u podstaw? Temu właśnie celowi mogą służyć systemy w rodzaju rejestru usług medycznych oraz umiejętne wykorzystywanie informacji pozyskiwanych przez NFZ.

Ustawa refundacyjna jest bardzo ambitnym i nowatorskim aktem prawnym. Po raz pierwszy w historii regulacje cenowo-refundacyjne dotyczące leków ujęte są w sposób całościowy i uporządkowany. Postulaty uporządkowania polskich przepisów dotyczących refundacji leków oraz zmian w zakresie polityki lekowej i cenowo-refundacyjnej zgłaszane były w latach poprzednich [16]. Ustawa zawiera wiele nowych rozwiązań, dotychczas nieznanymi w polskim systemie opieki zdrowotnej, tak więc jej znaczenie wykracza daleko poza funkcję porządkującą obecny stan prawny, zbierającą szereg przepisów różnej rangi w jeden dokument i nadającą im status nowej ustawy. Polskie władze zdrowotne (MZ, NFZ) otrzymują bardzo poważne narzędzia ingerencji w rynek farmaceutyczny, przy czym nie jest to ingerencja bezpreceden-

wa w skali europejskiej, są bowiem opisane w literaturze przedmiotu doświadczenia innych krajów w tym zakresie [14]. Czas pokaże, z jakim skutkiem ustawowe narzędzia będą wykorzystywane w praktyce. Wobec tego, że w dotychczasowej praktyce zmiany w polityce lekowej były niezwykle powolne, ustawę refundacyjną można uznać za przełomowy akt prawny, przynoszący zmiany o charakterze rewolucyjnym dla polskiego systemu opieki zdrowotnej. W jaki sposób te zmiany dotyczyć mogą innowacji lekowej i jak mogą one wpłynąć na przyszłość tej innowacji w Polsce?

■ Zapisy ustawy refundacyjnej, które mogą wpłynąć na innowację lekową

Niektóre zapisy ustawy refundacyjnej wydają się ściśle oddziaływać na innowację lekową, inne zaś mogą na nią wpływać pośrednio. Ustawa wprowadza ważne kryterium oceny dokumentacji refundacyjnej przez Komisję Ekonomiczną, jakim jest działalność naukowo-badawcza i inwestycyjna firmy farmaceutycznej w zakresie związanym z ochroną zdrowia na terytorium Polski i w innych państwach członkowskich UE lub EFTA. Kryterium to może stać się ważnym instrumentem stymulowania R&D w branży farmaceutycznej.

Pozytywny, chociaż doraźny wpływ na innowację mogą wywierać zapisy ustawowe dające MZ możliwość wydawania decyzji o objęciu refundacją leku poza jego wskazaniami rejestracyjnymi określonymi w charakterystyce produktu leczniczego. Pacjentom umożliwi to szybki dostęp do innowacyjnych metod leczenia, z zastrzeżeniem że stosowanie leków w trybie *off-label* powinno być wyjątkiem, a nie regułą.

Pośredni i pozytywny wpływ na innowację lekową może mieć dalsze wzmocnienie znaczenia oceny technologii medycznych (*health technology assessment* – HTA) w systemie opieki zdrowotnej i przy podejmowaniu decyzji cenowo-refundacyjnych. HTA niewątpliwie wspiera racjonalne dzielenie publicznych środków finansowych, więc można się spodziewać, że wzmocnienie roli AOTM powinno z jednej strony pomagać w eliminowaniu mniej skutecznych metod leczenia farmakologicznego, a z drugiej wygospodarować środki finansowe na leki innowacyjne.

Pozytywny wpływ na innowację lekową powinno mieć wprowadzenie mechanizmów dzielenia ryzyka, otwierające drogę do szybszego pojawiania się innowacyjnych leków w systemie refundacyjnym. Dotyczyć one będą właśnie leków innowacyjnych, a zwłaszcza wysoce innowacyjnych. Pozwolą na zmniejszenie obaw MZ i NFZ o stabilność budżetu płatnika przy wprowadzaniu do systemu refundacyjnego nowych, kosztownych leków, producentom zaś tych leków znacznie ułatwią dostęp do ich finansowania z publicznych pieniędzy. Powinno się to odbyć z pozytywnym skutkiem dla pacjentów, do tej pory często pozbawionych możliwości innowacyjnego leczenia z powodu zbyt powolnego reagowania władz zdrowotnych, paraliżowanych obawami o budżet płatnika.

Na etapie konsultacji społecznych projektu ustawy refundacyjnej wiele instytucji zgłosiło krytyczne uwagi odnośnie do wprowadzenia limitu wydatków na leki w wysokości 17% sumy środków publicznych przeznaczonych na finansowanie świadczeń gwarantowanych w danym roku oraz mechanizmu *pay-back* [17]. Z podobną krytyką spotkały się zapisy dotyczące wprowadzenia sztywnych cen i marż na leki oraz brak możliwości stosowania rabatów i upustów (oponentami byli głównie przedstawiciele przemysłu farmaceutycznego, pozytywnie do tych zmian odnosiła się część środowiska aptekarskiego). Argumentowano, że zapisy te zamrozą wydatki na leki, zmniejszą do nich dostęp, zmniejszą konkurencję cenową pomiędzy producentami i w rezultacie zwiększą obciążenia finansowe ponoszone przez pacjentów. Jednakże zwroty przychodów mogą pełnić rolę mechanizmu obniżającego ceny efektywne leków pomimo utrzymywania ich na wyższym poziomie nominalnym [18]. Strategia taka może być korzystna dla firm działających w skali międzynarodowej, które obawiają się skutków importu równoległego produkowanych przez siebie leków lub też skutków międzynarodowych porównań cenowych przy ustalaniu cen leków w innych krajach (*price benchmarking, international price comparisons*). Stąd wśród uwag do projektu ustawy pojawiły się postulaty zróżnicowania reguł *pay-back* dla leków innowacyjnych (w okresie ochrony patentowej), oryginalnych (po zakończeniu ochrony patentowej) wraz z generycznymi oraz leków udostępnianych w ramach programów lekowych i chemioterapii [18]. Według szacunków IMS Health Poland wprowadzenie ustawy refundacyjnej obniży refundację NFZ o ponad 5 mld zł, a ciężar tego mają ponieść głównie pacjenci [5]. Należy przy tym zaznaczyć, że obliczenia te zostały przeprowadzone przed ostatecznymi zmianami treści projektu, a zwłaszcza przed wniesieniem poprawek senackich do ustawy. Zgłaszane powszechnie zastrzeżenia dotyczące zwiększenia ograniczeń budżetowych w refundacji leków mogą wzbudzać obawy o to, czy na wynagradzanie i promowanie innowacji lekowej będą poświęcane wystarczająco duże środki finansowe.

Niepokój środowiska innowacyjnych firm farmaceutycznych budzi wyznaczanie szerokich grup limitowych [19]. Chodzi tutaj o ograniczenie do dwóch liczby kryteriów farmakologicznych kwalifikacji leków do tych grup (te same wskazania i przeznaczenia, w których leki są refundowane, oraz podobna skuteczność). Są to faktycznie określenia ogólne i istnieje potencjalne ryzyko, że w praktyce będą one stosowane bardzo szeroko. W takim przypadku mogłoby dochodzić do łączenia we wspólną grupę limitową leków o bardzo zróżnicowanej innowacyjności, skutkiem czego nie byłoby możliwości premiowania leków wysoce innowacyjnych odpowiednio wyższymi limitami cenowymi. Istnieją jednak zapisy ustawowe, które mogą okazać się w tym kontekście niezwykle korzystne dla leków innowacyjnych. Bardzo istotną, jeżeli chodzi o promowanie innowacji lekowej, nowością jest bowiem dopuszczenie możliwości tworzenia odrębnej grupy limitowej w sytuacji, gdy droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób wpływa na efekt zdrowotny lub siłę interwencji albo też ma dodat-

kowy efekt zdrowotny. Wymagać to będzie pozytywnej opinii Rady Przejrzystości AOTM. W sytuacji gdy pojawi się na rynku lek, który ma wprawdzie swoje zamienniki (refundowane już na określonych zasadach), lecz innowacyjne cechy tego leku, związane z drogą podawania lub postacią farmaceutyczną, będą uzasadniać stworzenie odrębnej grupy limitowej – możliwe będzie utworzenie takiej właśnie odrębnej grupy wraz z nowym (wyższym) limitem finansowania. Wydaje się, że duże znaczenie dla premiowania innowacji lekowej będzie miał sposób interpretacji i praktycznego stosowania zapisów ustawowych dotyczących tworzenia grup limitowych.

Wnioski

1. Rola i sposób postrzegania innowacji lekowej w polskiej polityce zdrowotnej nie są sygnalizowane w sposób spójny i jednoznaczny.
2. Ustawa refundacyjna wnosi do polityki lekowej i cenowo-refundacyjnej gruntowne zmiany, które mogą wywrzeć wpływ na innowację lekową w polskim systemie opieki zdrowotnej.
3. Nie można obecnie określić zdecydowanie kierunku możliwych zmian w obszarze innowacji lekowej, które spowoduje ustawa refundacyjna. Pojawia się jednak nadzieja na sumarycznie korzystny wpływ nowych regulacji, stąd konieczne będzie monitorowanie sposobu wdrażania ustawy refundacyjnej.

Przypisy

¹ Do leków tych lekarze zaliczali zwłaszcza: inhibitory konwertazy angiotensynowej (stosowane w nadciśnieniu), statyny (obniżające stężenie cholesterolu w osoczu), inhibitory pompy protonowej i H₂-blokery (hamujące wydzielanie kwasu solnego w żołądku) oraz selektywne inhibitory wychwytu serotoniny (SSRI – leki przeciwdepresyjne).

² Poprzednikiem leku generycznego jest lek oryginalny, który w momencie wprowadzania na rynek faktycznie wnosi innowację. Lek oryginalny jest wtedy lekiem innowacyjnym w pełnym znaczeniu pojęcia „innowacja”. Jednak po upływie wielu lat od wprowadzenia do obrotu innowacyjność leku oryginalnego, nadal obecnego na rynku, lecz wówczas najczęściej obok leków odtwórczych (generycznych), może być już wątpliwa. Należy mieć w pamięci tę uwagę semantyczną przy utożsamianiu leków innowacyjnych z oryginalnymi, co często ma miejsce.

³ Obecne określenie „limit ceny” jest mylące i wprowadza w błąd pacjentów. Sugeruje ono, że w Polsce leki są finansowane przez publicznego płatnika w bezpośredniej relacji do swojej limitowanej ceny, nie zaś do limitu, który może być znacznie niższy niż cena detaliczna.

Abstract

The pharmaceutical innovation and the Reimbursed Act

Key words: pharmaceutical innovation, pharmaceutical pricing, pharmaceutical reimbursement, pharmaceutical policy, pay-back, risk-sharing

The innovation in pharmaceutical sector can be characterized as incremental. The expectations towards new drugs are very high but the access

of Polish patients to the pharmaceutical innovation is limited. Role and perception of this innovation within the Polish health care policy are not signaled coherently and unambiguously. The Reimbursement Act is an important new legal act, which was intensely debated in the second half of 2010 and the first half of 2011. This legal act changes conditions of functioning of virtually all subjects acting on the market of pharmaceuticals which are financed from public sources. The Reimbursement Act introduces thorough changes into the pharmaceutical policy and pricing and reimbursement policies. These changes can influence the pharmaceutical innovation in the Polish health care system. It is impossible to circumscribe the direction of these changes decisively. However, there is a hope for a summary positive influence of new regulations, so monitoring of a manner of implementation of the Reimbursement Act will be necessary.

Piśmiennictwo:

1. OECD, *Oslo Manual: Proposed guidelines for collecting and interpreting technological innovation data*. OECD, Paris 1997.
2. EFPIA, *The pharmaceutical industry in figures*. EFPIA – European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, Brussels 2006.
3. Fuchs V.R., Sox H.C. Jr., *Physicians' views of the relative importance of thirty medical innovations*, „Health Affairs (Millwood)” 2001, 20, 5, 30–42.
4. High Level Pharmaceutical Forum, Final Conclusions and Recommendations of the High Level Pharmaceutical Forum 2005–2008. http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/ev_20081002_frep_en.pdf (zacytowano 22.05.2011).
5. Pilkiewicz M., *Polska na tle innych krajów UE. Analiza skutków wprowadzenia nowej ustawy na rynek farmaceutyczny (materiały konferencyjne)*, IMS Health Poland, Warszawa 2011.
6. Grupa Robocza na Rzecz Innowacji w Opiece Zdrowotnej, *Dostęp polskich pacjentów do innowacji w ochronie zdrowia. Analiza sytuacji i propozycje rozwiązań*, Warszawa 2008, http://www.cioz.pl/materiały/RAPORT_Grupy_Roboczej_Dostep_do_innowacji_w_ochronie_zdrowia_08.pdf (zacytowano 20.05.2011).
7. Ministerstwo Zdrowia, *Polityka lekowa państwa 2004–2008*, Ministerstwo Zdrowia, Warszawa 2004.
8. Ministerstwo Zdrowia, *Polityka lekowa państwa*, Ministerstwo Zdrowia, Warszawa 1995.
9. WHO, *How to develop and implement a national drug policy*. WHO, Geneva 2001.
10. MGiP, MSP, *Strategia dla przemysłu farmaceutycznego do roku 2008*. Ministerstwo Gospodarki i Pracy, Ministerstwo Skarbu Państwa, Warszawa 2005.
11. Ministerstwo Zdrowia, *Projekt ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*, <http://www.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=q491&ms=382&ml=pl&mi=382&mx=0&mt=&my=131&ma=016153> (zacytowano 20.05.2011).
12. Klim A., Łanda K., Bondaryk K., Budasz-Świdorska M., Ofierska-Sujkowska G., *Umowy podziału ryzyka (Risk Sharing Schemes, RSS)*, w: Łanda K. (red.), *Pricing. Ceny leków refundowanych, negocjacje i podział ryzyka*. Central and Eastern European Society of Health Technology Assessment, Kraków/Warszawa 2009.
13. Medycyna Praktyczna, *Senat poprawił ustawę refundacyjną*, <http://prawo.mp.pl/wiadomosci/show.html?id=59380>, (zacytowano 26.05.2011).
14. Bochenek T., Kozierkiewicz A., *Ceny i refundacja leków*, Termedia Wydawnictwa Medyczne, Poznań 2009.
15. Polska Agencja Prasowa, *Koniec z lekami za grosz*. „Dziennik Polski”, 13.05.2011.
16. Ministerstwo Zdrowia, *Założenia zmian w systemie refundacji leków*, http://www.mz.gov.pl/wwwfiles/ma_struktura/docs/zalacznik_r_07.pdf (zacytowano: 26.05.2011).
17. Ministerstwo Zdrowia, *Uwagi do projektu ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*, <http://www.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=q491&ms=382&ml=pl&mi=382&mx=0&mt=&my=131&ma=016407> (zacytowano 26.05.2011).
18. CASE – Doradcy Spółka z o.o., *Poziom wydatków na leki. Polska na tle krajów OECD*. w: Ministerstwo Zdrowia, *Uwagi do projektu ustawy refundacyjnej*, <http://www.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=q491&ms=382&ml=pl&mi=382&mx=0&mt=&my=131&ma=016407> (zacytowano 10.05.2011).
19. INFARMA Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych, *Uwagi do projektu ustawy refundacyjnej z dn. 08.10.2011*, <http://www.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=q491&ms=382&ml=pl&mi=382&mx=0&mt=&my=131&ma=016407> (zacytowano 25.05.2011).

■ O autorze:

dr nauk med. Tomasz Bochenek – Zakład Gospodarki Lekiem, Instytut Zdrowia Publicznego, Wydział Nauk o Zdrowiu, Uniwersytet Jagielloński Collegium Medicum, Kraków.