

M U N I
M E D

Akademický výzkum v oblasti Outcome-based modelů



Barbora Říhová

Farmakologický ústav

Lékařská fakulta, Masarykova univerzita, Brno

Managed Entry Agreements (MEA)

Market Access Agreements

Risk-sharing Agreements

Patient Access Schemes ...

- Řízený vstup LP
- Dohoda o **sdílení rizika** mezi výrobcem a plátcem, resp. mezi výrobcem a poskytovatelem, umožňující vstup a úhradu zdravotní technologie za specifických podmínek

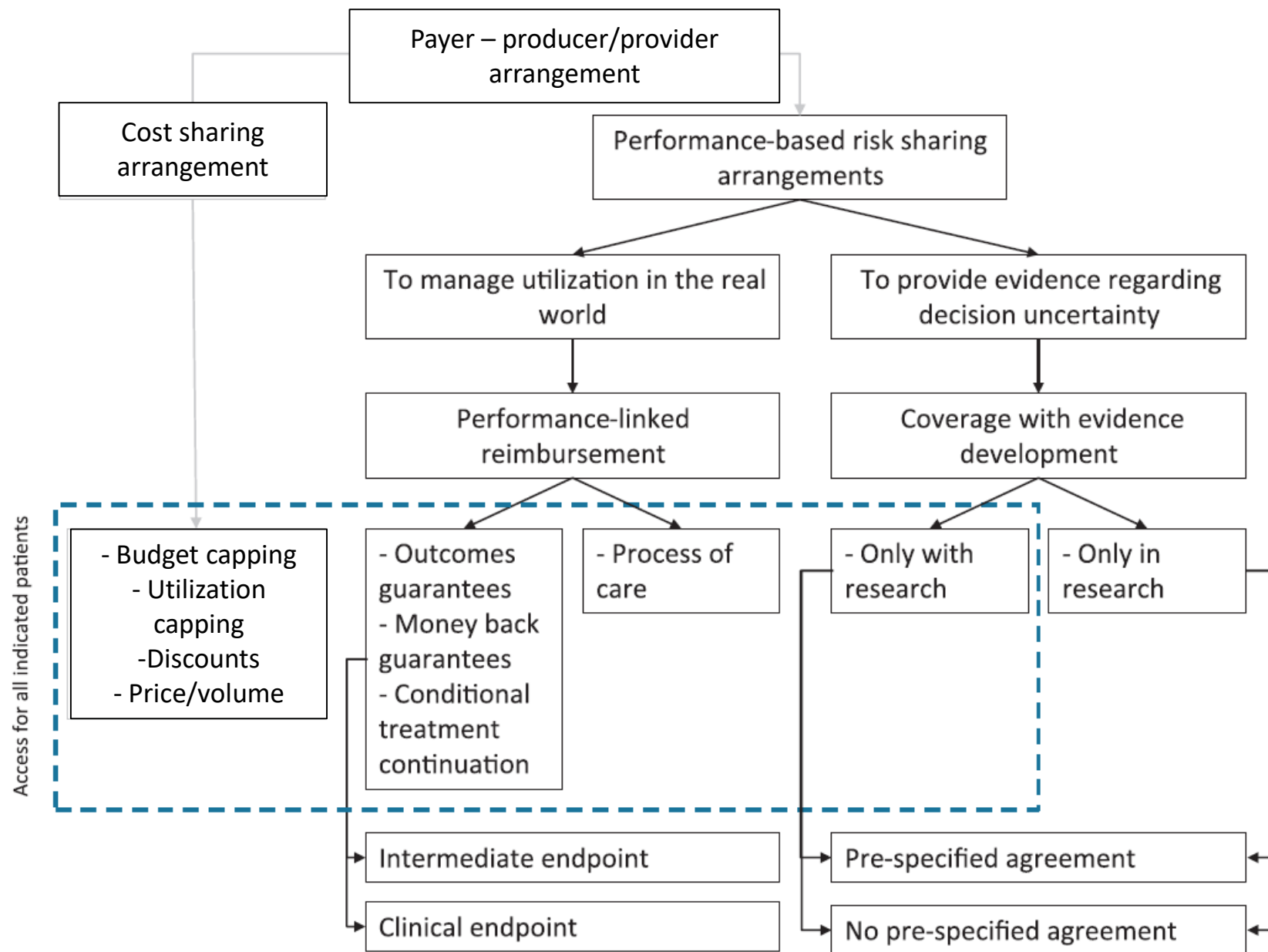
RIZIKO VÝROBCE

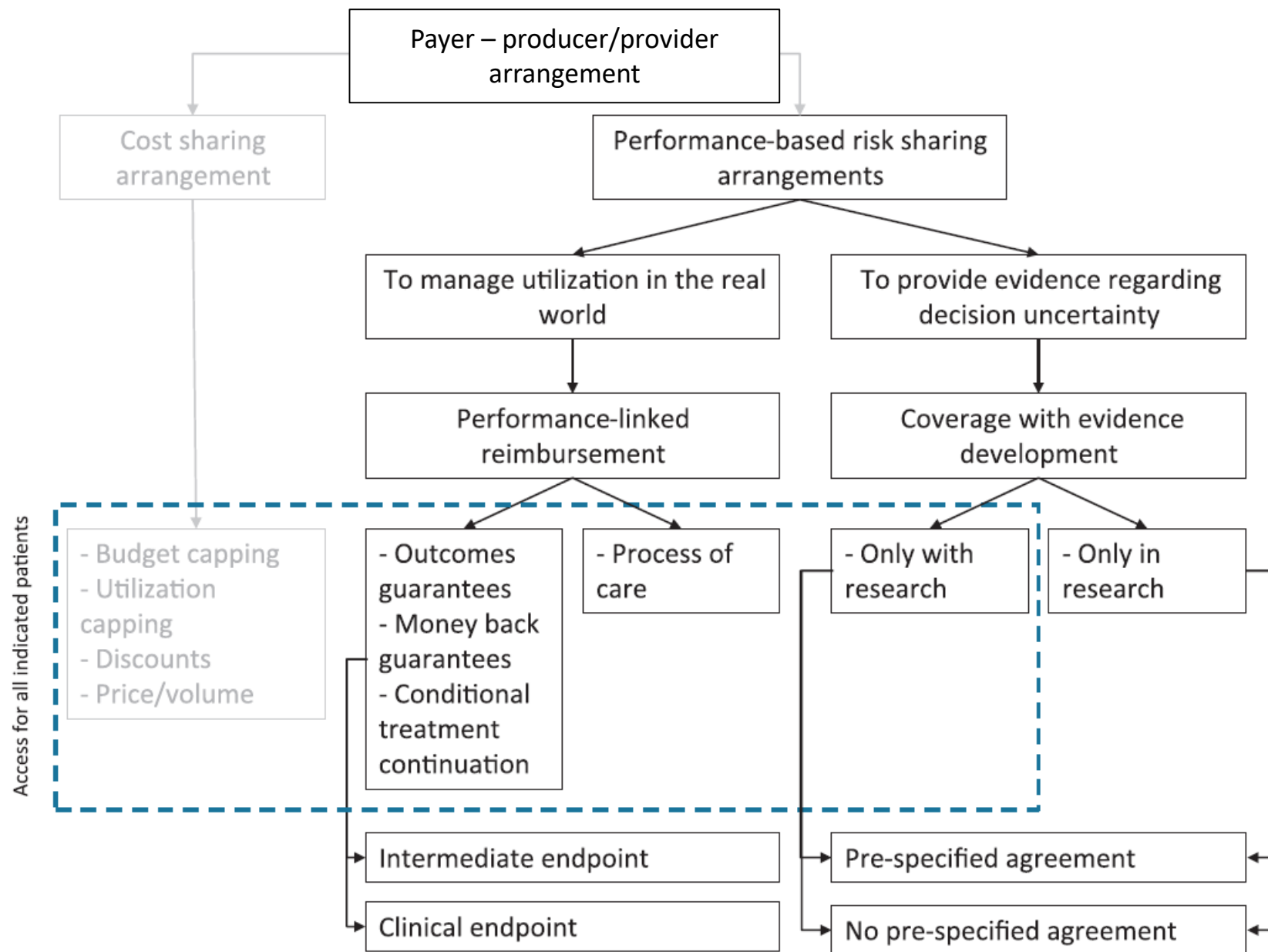
Investice do inovací, jež nemusí být uhrazeny

vs.

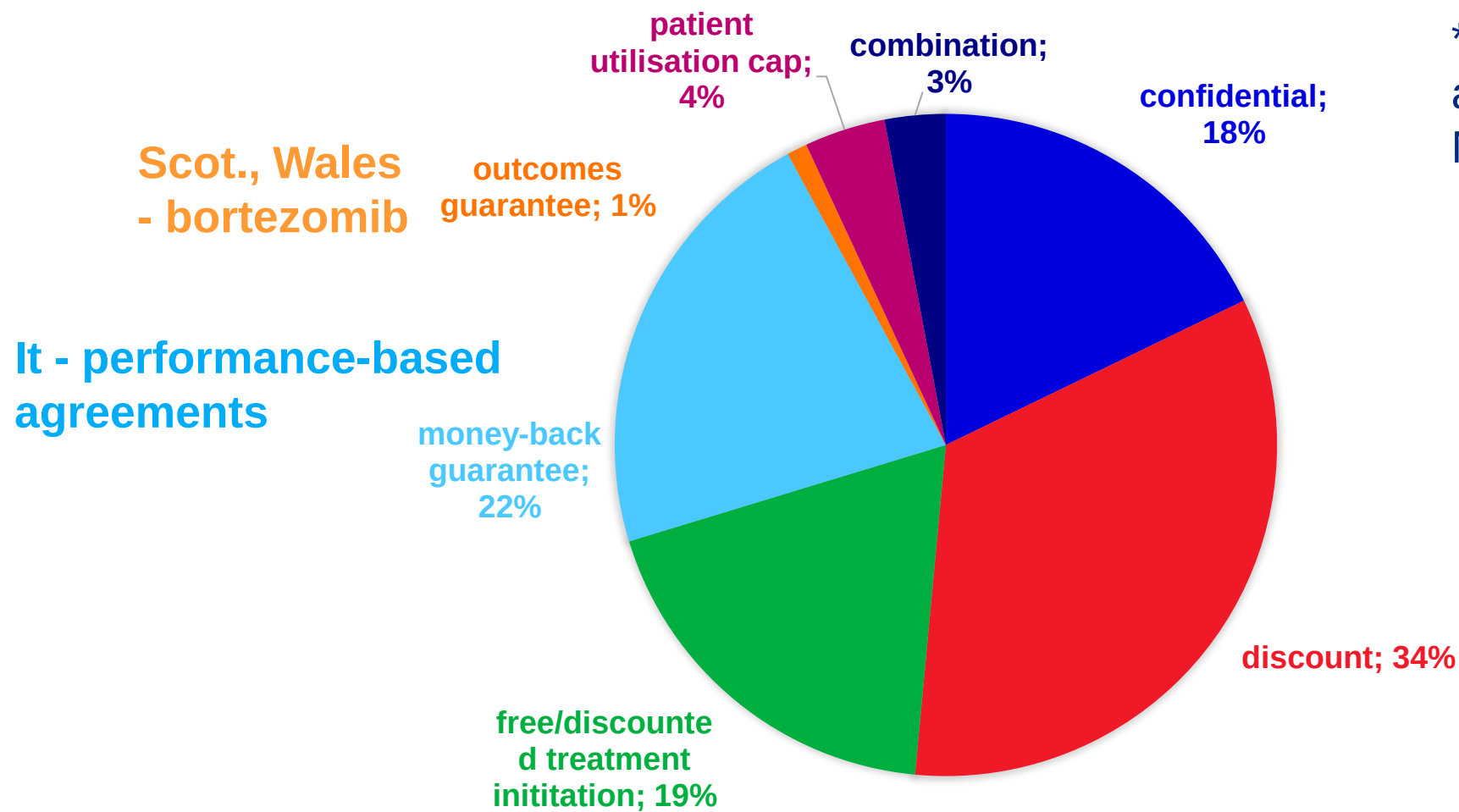
RIZIKO PLÁTCE

Investice do technologie, jež nedosáhne dostatečných výsledků



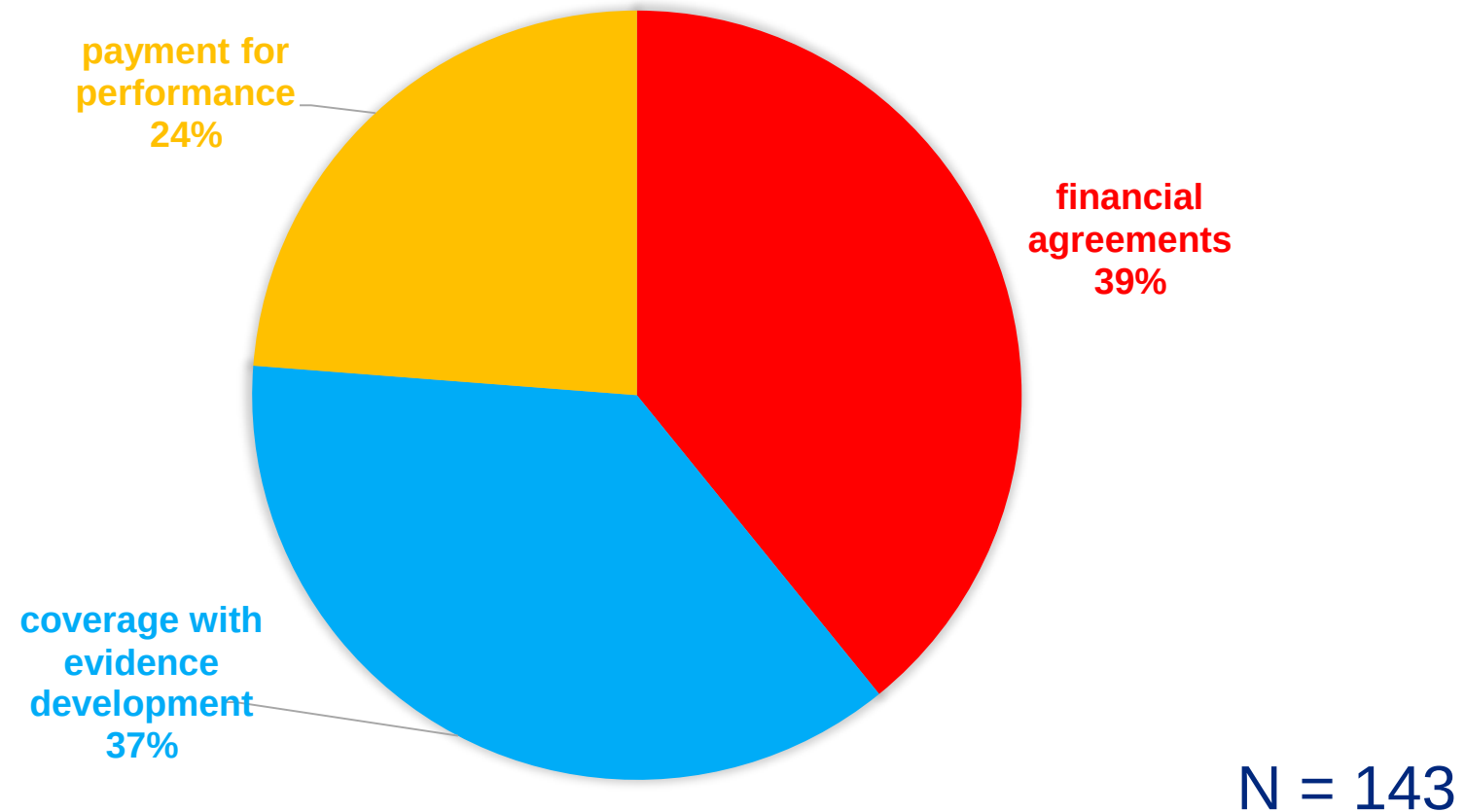


MEA 2008 – 2015 u onkologických léčiv v Evropě*



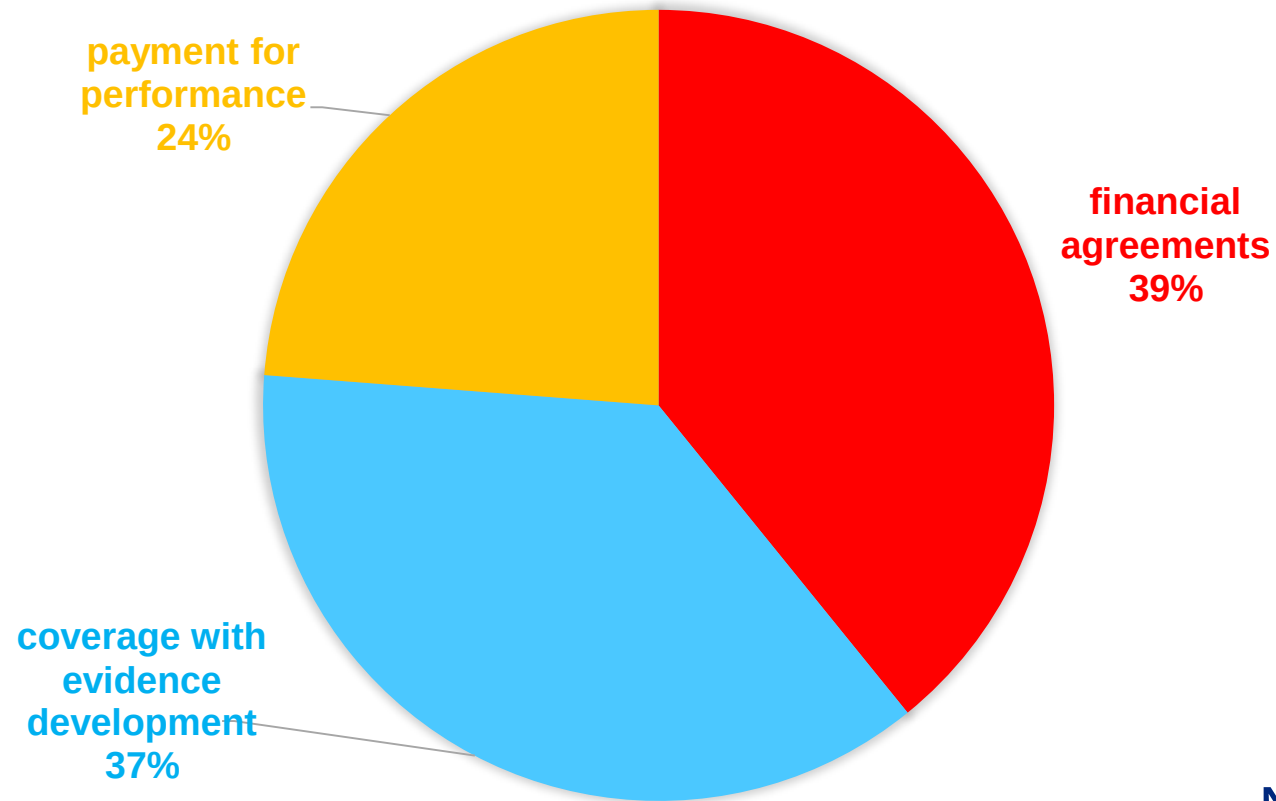
*Belg., NL, Scotland, England and Wales, Sw., It., CR, Fr.
N = 164

Review MEA 2015



Review MEA 2015

85% payment for performance based on surrogate endpoints



95% CED based on patient-relevant endpoints (e.g. survival)

N = 143

Performance-based risk-sharing agreements

- „schemes between healthcare payers and medical product manufacturers in which the **price, level, or nature of reimbursement are tied to future measures of clinical or intermediate endpoints** ultimately related to patient quality or quantity of life“
 - Carlson JJ, Sullivan SD, Garrison LP, Neumann PJ, Veenstra DL. Linking payment to health outcomes: a taxonomy and examination of performance-based reimbursement schemes between healthcare payers and manufacturers. Health Policy 2010;96:179–90.
- přímá vazba úhrady LP na výsledky léčby během používání v reálné klinické praxi – úhrada závisí na budoucím hodnocení dosažených klinických výsledků

Performance-based risk-sharing agreements

– Typické vlastnosti

- Zahájení krátce po uvedení na trh za účelem upřesnění výše a podmínek úhrady
- Sběr dat a následné hodnocení na individuální bázi či sumárně

– Důvody pro PBRSA:

- Ověření účinnosti v reálné klinické praxi (širší populace)
- Upřesnění NÚ či adherence
- Velikost cílové populace
- Podíl pacientů neodpovídajících na léčbu

– Příklady: Itálie

- **cost sharing** – sleva na úvodní cykly léčby všech pacientů
- **risk sharing** – pacienti s nedostatečnou odpovědí na léčbu hrazení ZP částečně
- **payment by results** – pacienti s nedostatečnou odpovědí na léčbu plně hrazení výrobcem
- **success fee** – platba ZP výrobcí pouze za úspěšně odléčené

Outcomes-based model

- PCSK9 inhibitory v terapii hypercholesterolémie v USA
 - Surrogate endpoint – snížení LDL-C po 12 týdnech
 - Výrobce platí úvodní léčbu do dosažení cílové hodnoty LDL-C (12 týdnů u 80% pacientů + 24 týdnů pro 20% pacientů)
 - Časový horizont 1 rok

Table 2 – Base-case and sensitivity results for LDL-C goal attainment outcome (model 1).

Simulation	Treated population	Drug effectiveness* (%)	Manufacturer reimbursement (\$)	Payer per-patient cost (\$)
Without OBA	500	80	5,040,000	10,080
	1000	80	10,080,000	10,080
	500	70	4,935,000	9870
	500	90	5,145,000	10,290
With OBA	1000	80	7,840,000	7840
	1000	70	6,510,000	6510
	1000	90	9,170,000	9170

Note. Boldfaced figures represent the base case without OBA.

LDL-C, low-density lipoprotein cholesterol; OBA, outcomes-based agreement.

* Percentage of patients who achieve the LDL goal at 12 wk.

– Projekt

„Outcome-Based MEAs inovativních léčiv v onkologii“

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

Metodologie outcome-based modelu

- sdílení nákladů mezi zdravotní pojišťovnou (ZP) a držitelem rozhodnutí o registraci (MAH) založený na účinnosti léčby u konkrétního pacienta
 - retrospektivní rozhodnutí o úhradě ze ZP dle individuálně dosažených výsledků léčby konkrétních pacientů z reálné klinické praxe
- **modelování podílu pacientů a celkových nákladů hrazených ZP nebo MAH**
 -) **dle dosažené délky léčby v reálné klinické praxi ve vztahu k délce léčby hodnoceným LP** v registrační klinické studii

Metodologie outcome-based modelu

- pacienti z reálné klinické praxe (KOC – mBC, mRCC)
- **účinnost** u individuálních pacientů je klíčem k úhradě léčby jednotlivce
- parametry účinnosti ???
 - **délka léčby**
 - účinnost **nedosahující** / **srovnatelná** / **převyšující** délku léčby v registrační klinické studii



non-respondéři

hrazení MAH



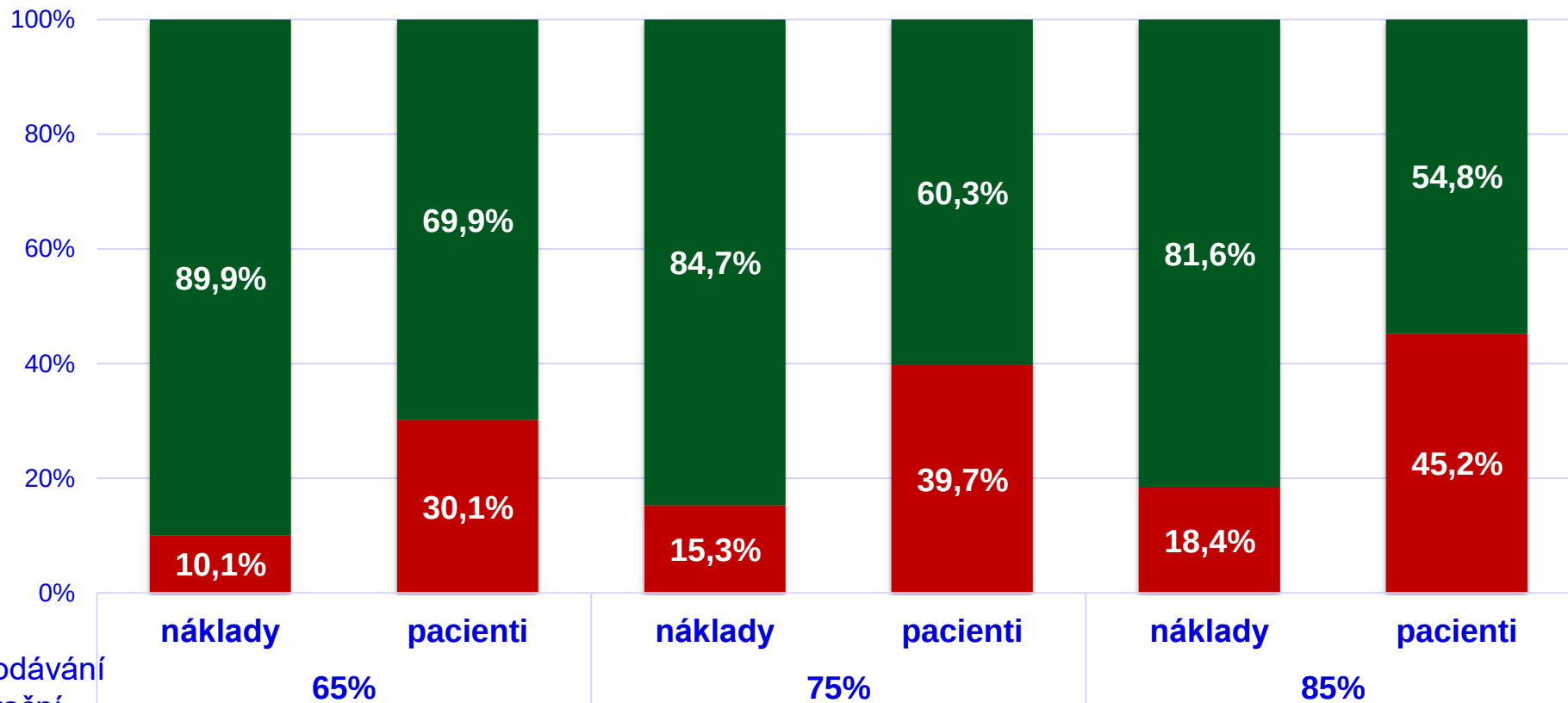
respondéři

hrazení ZP

= RISK-SHARING

everolimus mBC

Průměrné náklady na léčbu 572 491 Kč



dosažený podíl délky podávání
LP ve srovnání s registrační
studii BOLERO* (5,5 měsíce)

Délka léčby (měsíce)

3,57

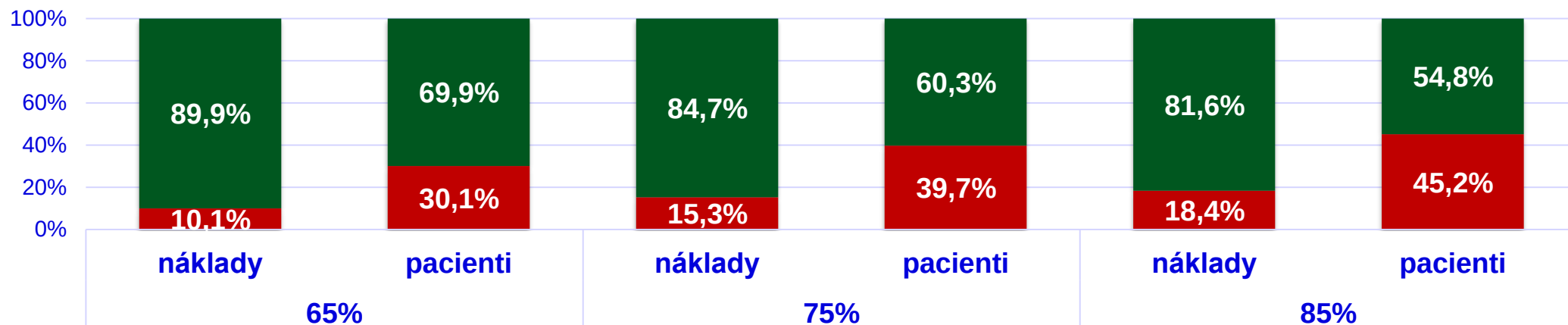
4,12

4,67

■ MAH ■ ZP

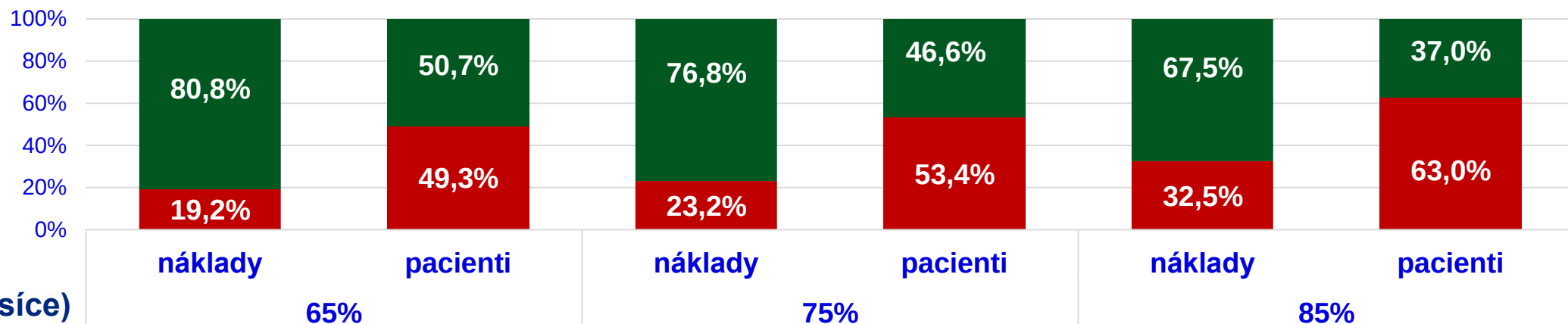
everolimus mBC

Průměrné náklady na léčbu 572 491 Kč



sunitinib mRCC

Průměrné náklady na léčbu 632 321 Kč



RCT* (11,0 měsíce)

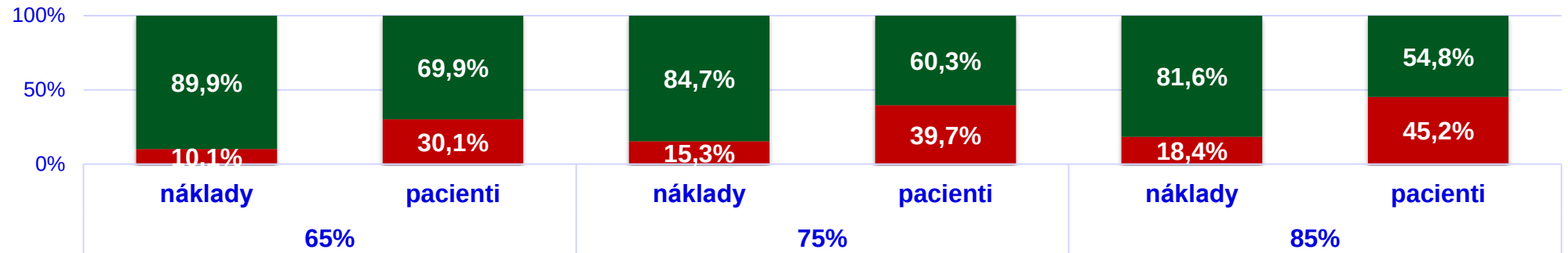
Délka léčby (měsíce)

7,15

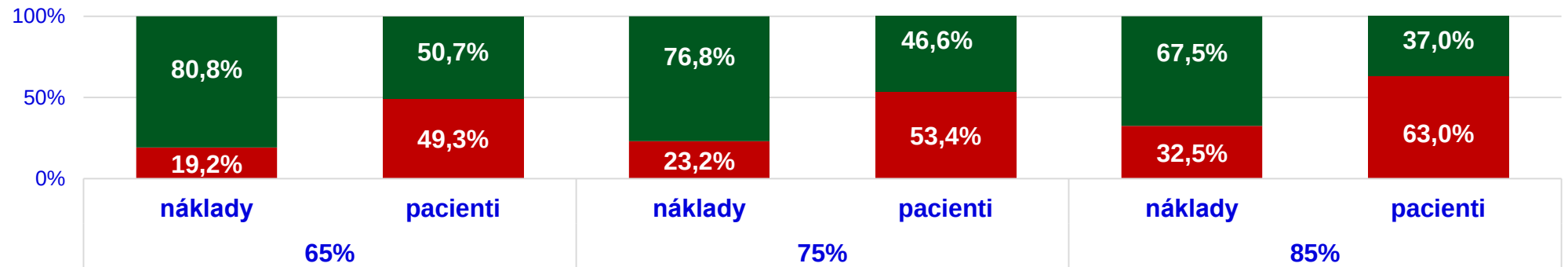
8,25

9,35

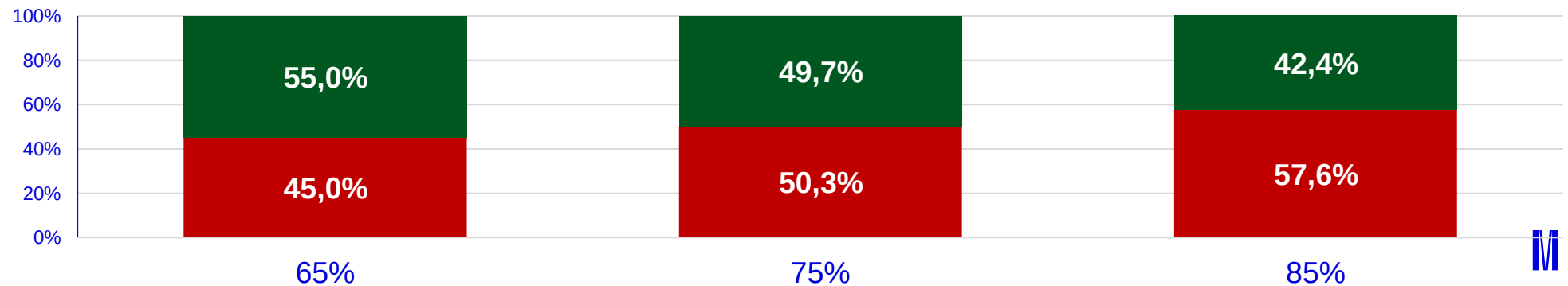
everolimus mBC



sunitinib mRCC



pazopanib mRCC (pacienti z registru)



■ MAH ■ ZP

Managed entry agreements (MEA)

+

- + Urychlení vstupu na trh
- + Optimalizace použití
- + Dočasná sleva – kontrola rozpočtu
- + Efektivnější využívání nákladů v případě outcome-based modelů

–

- Netransparentnost
- Nepřesné externí referencování
- Administrativní náročnost (zejména v „outcomes-based“ modelech)

Závěrem...

- **úhradový model** snižující **míru nejistoty účinnosti** přenášenou z RCT do praxe
- smlouva mezi ZP a MAH založená na **platbě za výsledky léčby** dosažené u individuálních pacientů v reálné klinické praxi
- důkazy o účinnosti získané z reálné klinické praxe (***real-world evidence***)
- klíčové body **proveditelnosti** outcome-based modelu:
 - striktní definice respondérů a non-respondérů:
 -) vhodný **parametr účinnosti + nastavení hranice**
 - **platba za pacienta** - ex ante vs. ex post (pay-back)
 - **načasování**: hodnocení léčiv při vstupu a nutnost přehodnocení zvoleného schématu po zavedení na trh (3-5 let)
- data nutno ověřit na větší kohortě pacientů

MUNI
MED

Děkuji vám za pozornost.

brihova@med.muni.cz