Streszczenie

Analiza sytuacji leków sierocych w wybranych krajach, tj. Belgii, Danii, Francji, Niemczech, Włoszech, Polsce, Hiszpanii, Szwecji, Holandii oraz Anglii, Szkocji i Walii wykazała, że odsetek refundowanych leków sierocych różni się pomiędzy krajami, przy czym najmniejszy odsetek został zaobserwowany w Polsce, a największy w Danii.

Ocena zgodności w podejmowani decyzji refundacyjnych oraz rekomendacji HTA dotyczących leków sierocych pokazała, że najwyższa zgodność w decyzjach refundacyjnych została zaobserwowana pomiędzy Włochami i Hiszpanią; w przypadku rekomendacji HTA najwyższą zgodność zaobserwowano w przypadku Anglii i Szkocji.

Badanie rodzajów autoryzacji wydawanych przez EMA w odniesieniu do leków sierocych pokazało, że autoryzacja warunkowa istotnie zmniejsza szanse danego leku na refundację we Francji, Hiszpanii i we Włoszech, natomiast autoryzacja przyznana na specjalnych zasadach miała podobny efekt tylko w Niemczech.

Ocena wpływu typu choroby leczonej danym lekiem sierocym wyjawiła, że leki wykorzystywane w terapii schorzeń metabolicznych miały znacznie większe szanse na autoryzację na zasadach specjalnych i znacznie mniejsze szanse na autoryzację warunkową, w porównaniu do leków stosowanych w terapii schorzeń innych niż metaboliczne i onkologiczne. W przypadku leków stosowanych w terapii schorzeń onkologicznych zaobserwowano dokładnie odwrotną zależność.

Dogłębna analiza procesu podejmowania decyzji refundacyjnych w krajach UE-CEE tj. Bułgarii, Chorwacji, Czechach, Estonii, Litwie, Łotwie, Polsce, Rumunii, Słowacji i na Węgrzech wyjawiła, że niektóre z analizowanych krajów wprowadziły już specjalne regulacje dotyczące refundacji leków sierocych; w niektórych krajach zastosowano inny (wyższy) punkt odcięcia dla Inkrementalnego Współczynnika Efektywności Kosztów (ICER). Niektóre kraje takie jak Litwa czy Rumunia czy wprowadziły formalnego procesu HTA.

Analiza sytuacji leków sierocych w rozważanych krajach wykazała, że odsetek refundowanych leków sierocych znacznie różni się pomiędzy krajami, jednakże nie był istotnie skorelowany zarówno z całkowitym Produktem Krajowym Brutto (PKB) jak i z PKB per capita.

Ocena zgodności w podejmowani decyzji refundacyjnych dotyczących leków sierocych w krajach UE-CEE pokazała, że najmniejsza zgodność została zaobserwowana pomiędzy Estonią i Łotwą, natomiast największa pomiędzy Estonią i Litwą.

Dodatkowo w Czechach, Słowacji i na Litwie leki sieroce autoryzowane przez EMA warunkowo miały istotnie mniejsze szanse na refundację w porównaniu do pozostałych leków sierocych, co więcej w przypadku Chorwacji, Estonii, Węgier i Litwy leki sieroce stosowane w terapii chorób onkologicznych miały istotnie większe szanse na refundację w porównaniu do pozostałych leków sierocych.

Ocena systemu formułowania rekomendacji HTA w krajach UE-CEE pokazała, że na Węgrzech, Liwie oraz Słowacji pozytywna rekomendacja wiązała się z pozytywną decyzją refundacyjną dotyczącą danego leku, natomiast negatywna rekomendacja z brakiem refundacji.

Analiza podgrupy leków sierocych stosowanych w terapii schorzeń onkologicznych wykazała, że największy odsetek leków, które zostały ocenione w procesie HTA został zaobserwowany w Polsce a najniższy na Łotwie i w Rumunii, co znajduje odzwierciedlenie w odsetku refundowanych leków z analizowanej grupy, który jest największy w Polsce a najmniejszy na Łotwie.

Analiza wydatków z budżetu państwa na refundację onkologicznych leków sierocych wyjawiła rosnące obciążenie dla płatnika publicznego związane z refundacją tych leków. W ciągu trzech analizowanych lat wzrost wydatków wyniósł 68% przy czym zanotowany wzrost PKB oraz PKB per capita wyniosły odpowiednio 8.5% oraz 9.3% dla całej grupy krajów UE-CEE. Wydatki na refundację onkologicznych leków sierocych znacznie różniły się pomiędzy krajami jednak nie były skorelowane z PKB per capita lecz z całkowitym PKB danego kraju.

Summary

The examination of orphan drugs in selected countries i.e., Belgium, Denmark, England, France, Germany, Italy, Poland, Scotland, Spain, Sweden, The Netherlands, and Wales revealed that the percentage of reimbursed orphan drugs varied among the countries from the lowest in Poland to the highest in Denmark.

Analysis of agreement in decision-making regarding reimbursement of orphan drugs and HTA recommendations among analysed countries revealed that the highest, substantial agreement in reimbursement decisions was observed between Italy and Spain, and the highest agreement in recommendations was observed between England and Scotland.

Study of the EMA-issued type of authorisation of analysed orphan drugs showed that the conditional approval significantly decreased the chance for reimbursement in France, Italy, and Spain; however the approval granted under the exceptional circumstances had similar impact only in Germany.

Analysis of impact of the type of the disease treated with the specific orphan drugs revealed that the drugs for metabolic diseases were more likely to be approved under exceptional circumstances, but had lesser odds for being conditionally approved when compared to other drugs for non-metabolic and non-oncologic diseases. The opposite was observed for drugs used in treatment of patients with oncologic diseases.

In-depth study of reimbursement decision-making process among EU-CEE countries i.e., Bulgaria, Croatia, Czechia, Estonia, Hungary, Latvia, Lithuania, Poland, Romania, and Slovakia revealed that some of the considered countries already established separate regulations on reimbursement of orphan drugs; in case of some of these countries higher ICER values for orphans are used; in Lithuania and Romania, no formal HTA process was employed.

The examination of orphan drugs in selected countries showed that the share of reimbursed orphan drugs varied significantly across the countries, but it was not associated either with GDP or GDP per capita.

Analysis of agreement in decision-making regarding reimbursement of orphan drugs revealed that the lowest, slight agreement in reimbursement decisions was observed between Estonia and Latvia, and the highest, substantial agreement, between Estonia and Lithuania.

Additionally, in Czechia, Lithuania and Slovakia, EMA's conditional approval significantly decreased the chances for reimbursement. What is more, in Croatia, Estonia, Hungary, and Lithuania, drugs for oncological diseases had significantly greater chances for reimbursement.

Detailed analysis of HTA recommendation-making process revealed that in Hungary, Latvia, and Slovakia, a positive recommendation was associated with a positive reimbursement decision, while a negative recommendation, with a lack of reimbursement.

The study of subset of orphan drugs used in treatment of oncology diseases showed that the highest share of drugs with any recommendation was observed in Poland, and the lowest, in Latvia and Romania. The share of reimbursed drugs was the lowest in Latvia and the highest in Poland.

Analysis of public expenditures revealed that the reimbursement of oncology orphan drugs is associated with a growing burden for the public budget, with an average 3-year increase in expenses of 68%, as compared with an increase of only 8.5% in the total GDP and of 9.3% in GDP per capita among EU-CEE countries. The total expenditures on the reimbursement of oncology orphan drugs varied among countries and was highly correlated with the total national GDP but not with GDP per capita. Expenditures per capita also were not significantly correlated with GDP per capita.