

# Innowacyjne terapię onkologiczne



A background image of lavender flowers in shades of purple and blue, with a yellow geometric shape on the right side containing text.

# Innowacyjne terapię onkologiczne

Propozycja poprawy  
polskiego systemu opieki  
onkologicznej

The EY logo, consisting of the letters 'EY' in a bold, white, sans-serif font, with a yellow diagonal line above the 'Y'.

**EY**

Building a better  
working world



---

## Autorzy raportu składają podziękowania za recenzje, komentarze i opinie do niniejszej publikacji:

---

- ▶ **prof. dr hab. n. med. Alicji Chybickiej** - kierownik Katedry i Kliniki Transplantacji Szpiku, Onkologii i Hematologii Dziecięcej w Wrocławiu, prezes Polskiego Towarzystwa Pediatrycznego, zastępcy przewodniczącego Senackiej Komisji Zdrowia,
- ▶ **dr hab. n. med. Rafałowi Dziadziuszko** prof. Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego - krajowemu konsultantowi w dziedzinie radioterapii onkologicznej, prof. nadzw. w Katedrze i Klinice Onkologii i Radioterapii Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Jackowi Fijuthowi** - przewodniczącemu Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, kierownikowi Zakładu Teleradioterapii Regionalnego Ośrodka Onkologicznego w Łodzi,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Krzysztofowi Hermanowi** - krajowemu konsultantowi ds. Chirurgii Onkologicznej,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Jackowi Jassemowi** - przewodniczącemu Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Onkologicznego w latach 2010-2013, kierownikowi Kliniki Onkologii i Radioterapii Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Wiesławowi Jędrzejczakowi** - kierownikowi Katedry i Kliniki Hematologii, Onkologii i Chorób Wewnętrznych Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Zbigniewowi Kojowski** - krajowemu konsultantowi ds. Ginekologii Onkologicznej,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Markowi Krawczykowi** - rektorowi Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, kierownikowi Katedry i Kliniki Chirurgii Ogólnej, Transplantacyjnej i Wątroby Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Maciejowi Krzakowskiemu** - krajowemu konsultantowi w dziedzinie Onkologii Klinicznej, kierownikowi Kliniki Nowotworów Płuca i Klatki Piersiowej Centrum Onkologii - Instytutu im. M. Skłodowskiej-Curie w Warszawie,
- ▶ **dr hab. n. med. Adamowi Maciejczykowi** - dyrektorowi Dolnośląskiego Centrum Onkologii we Wrocławiu,
- ▶ **dr n. med. Januszowi Mederowi** - prezesowi Zarządu Głównego Polskiej Unii Onkologii, przewodniczącemu Komisji Bioetycznej przy Centrum Onkologii - Instytucie im. Marii Skłodowskiej-Curie,
- ▶ **dr hab. n. med. Sergiuszowi Nawrockiemu** prof. Śląskiego Uniwersytetu Medycznego - kierownikowi Katedry Onkologii i Kliniki Radioterapii Śląskiego Uniwersytetu Medycznego,
- ▶ **dr n. med. Zbigniewowi Pawłowiczowi** - wieloletniemu dyrektorowi Regionalnego Centrum Onkologii w Bydgoszczy, kierownikowi Zespołu ds. oceny pakietu onkologicznego,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Tadeuszowi Pieńkowskiemu** - kierownikowi Kliniki Onkologii i Chirurgii Europejskiego Centrum Zdrowia w Otwocku, członkowi Zarządu Międzynarodowego Towarzystwa Senologicznego (SIS),
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Piotrowi Rutkowskiemu** - zastępcy przewodniczącego Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, kierownikowi Kliniki Nowotworów Tkanek Miękkich, Kości i Czerniaków Centrum Onkologii - Instytut im. M. Skłodowskiej-Curie w Warszawie,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Marii Sąsiadek** - krajowemu konsultantowi ds. Genetyki Klinicznej,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Krzysztofowi Warzosze** - dyrektorowi Centrum Onkologii - Instytut im. M. Skłodowskiej-Curie w Warszawie oraz Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Dariuszowi Wołowcowi** - krajowemu konsultantowi ds. Hematologii, przewodniczącemu Rady Naukowej Instytutu Hematologii i Transfuzjologii VII kadencji,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Piotrowi Wysockiemu** - zastępcy przewodniczącego Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, kierownikowi Kliniki Onkologicznej Centrum Onkologii - Instytut im. M. Skłodowskiej-Curie w Warszawie,
- ▶ **prof. dr hab. n. med. Witoldowi Zatońskiemu** - kierownikowi Zakładu Epidemiologii i Prewencji Nowotworów Centrum Onkologii - Instytut im. M. Skłodowskiej-Curie w Warszawie.

Szczególne podziękowania kierujemy również do prezesa NFZ, **dr n. med. Tadeusza Jędrzejczyka** oraz prezesa AOTMiT, **dr n. med. Wojciecha Matusewicza** za komentarze do niniejszego raportu.

# Spis treści

---

## Rozdział



## pierwszy



## drugi

---

**Wstęp**

**10**

---

**Główne wnioski**

**16**

---



## piąty

---

**Polska onkologia potrzebuje zmian** **48**

---

Przyczyny występowania różnic w wynikach leczenia onkologicznego **49**

---

Kluczowe czynniki kształtujące wyniki leczenia onkologicznego **52**

---

Obecny stan czynników kształtujących polską onkologię **54**

---

Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce i innych krajach europejskich **57**

---



## szósty

---

**Istotność kliniczna korzyści terapeutycznych leków przeciwnowotworowych** **64**

---

Wyniki dotyczące całkowitego czasu przeżycia (OS) **70**

---

Wyniki dotyczące czasu przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS) **70**

---

Wyniki dotyczące odsetka obiektywnej odpowiedzi na leczenie (ORR) **70**

---

Podsumowanie **71**

---



trzeci



czwarty

---

**Obecny stan opieki onkologicznej w Polsce 30**

---

---

**Koszty pośrednie chorób nowotworowych 34**

---

Uwagi metodologiczne 36

---

Koszty pośrednie chorób nowotworowych  
w Polsce w 2013 r. 38

---

Prognoza kosztów pośrednich nowotworów złośliwych  
w 2025 r. 45

---

Wnioski 47

---

# Spis treści



## siódmy

<b>Przykłady rozwiązań dotyczących opieki onkologicznej w innych krajach</b>	<b>72</b>
Francja	74
Norwegia	75
Belgia	76
Wielka Brytania (na przykładzie Anglii)	77
Podsumowanie	78



## ósmy

<b>Propozycja poprawy polskiego systemu opieki onkologicznej poprzez zwiększenie dostępności innowacyjnych terapii onkologicznych</b>	<b>80</b>
Cele	82
Zakres funduszu	83
Model operacyjny	84
Zasady funkcjonowania funduszu	89
Proces finansowania innowacyjnych terapii onkologicznych	90
Algorytm wyboru leków przeciwnowotworowych	94
Kontrola funkcjonowania funduszu	99
Założenia prawno-regulacyjne	100
Szacunek kosztów związanych z realizacją zadań funduszu	104
Korzyści wynikające z wprowadzenia funduszu	106
<b>Zestawienie najważniejszych danych liczbowych</b>	<b>110</b>
<b>Punktacja w algorytmie oceny leków</b>	<b>114</b>



## Spis rysunków

Rysunek 1. Trzy grupy determinant skuteczności systemu opieki onkologicznej	20	Rysunek 7. Model operacyjny funduszu	85
Rysunek 2. Obszary do zaadresowania w systemie opieki onkologicznej	23	Rysunek 8. Przykładowa struktura organizacyjna funduszu	87
Rysunek 3. Model operacyjny funduszu	25	Rysunek 9. Proces oceny wniosku o leczenie (z przykładowymi terminami)	92
Rysunek 4. Wymiary oceny wartości leku w algorytmie selekcji leków do refundacji	26	Rysunek 10. Wymiary oceny wartości leku w algorytmie selekcji leków do refundacji	96
Rysunek 5. Trzy grupy determinant skuteczności systemu opieki onkologicznej	50		
Rysunek 6. Przykłady krajów o podobnych uwarunkowaniach instytucjonalnych ochrony zdrowia	73		

## Spis wykresów

Wykres 1. Koszty pośrednie nowotworów złośliwych w Polsce w 2013 r.	19
Wykres 2. Przeżycia 5-letnie dla chorób nowotworowych w wybranych krajach UE w poszczególnych latach	33
Wykres 3. Zgony z powodu nowotworów złośliwych (C00-C97) wg wieku, 2013 r.	41
Wykres 4. Zachorowania, zgony i populacja chorych na nowotwór złośliwy w latach 2004-2025	45
Wykres 5. Dostępność 30 innowacyjnych leków onkologicznych w systemach refundacyjnych. Stan na styczeń 2015 r.	60
Wykres 6. Porównanie poziomu wykorzystania leków w Polsce w stosunku do 13 krajów (100=średni poziom wykorzystania leku w 13 krajach <sup>o</sup> ), w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014	61
Wykres 7. Średni czas (w kwartałach) od dopuszczenia do obrotu przez KE do osiągnięcia rozpoznawalnego poziomu wykorzystania dla innowacyjnych leków	62

## Spis tabel

Tabela 1. Populacja chorych na nowotwór złośliwy (tys.) (za rok 2009 oraz szacunek za rok 2013)	39
Tabela 2. Koszty pośrednie nowotworów złośliwych (C00-C97) w 2013 r.	44
Tabela 3. Klasyfikacja odpowiedzi na leczenie wg skali RECIST	66
Tabela 4. Zachorowania i zgony spowodowane poszczególnymi typami nowotworów w Polsce w 2012 r.	67
Tabela 5. Skuteczność kliniczna innowacyjnych leków w poszczególnych typach nowotworów pokazana jako różnica między wartością wskaźnika uzyskaną w przypadku terapii lekiem innowacyjnym a wartością uzyskaną w przypadku stosowania innej metody terapii	69
Tabela 7. Kategorie leków wyróżnione na podstawie oceny z wykorzystaniem algorytmu PTOK i PTO	98

# pierwszy

Rozdział

Wstęp

Blisko

17 mld  
PLN

rocznie

Traci polska gospodarka  
z powodu nowotworów  
złośliwych



W 2025 roku prawie

350 tys.



osób będzie zmagać się  
z chorobą nowotworową

Możliwość wydłużenia  
życia dodatkowych

15 tys.



pacjentów  
w 5 letniej perspektywie

**Blisko 17 mld PLN rocznie<sup>1</sup> traci polska gospodarka z powodu nowotworów złośliwych.** Tyle w 2013 roku wyniosły koszty pośrednie spowodowane przedwczesnymi zgonami, niezdolnością do pracy czy zaangażowaniem opiekunów nieformalnych. Do 2025 roku koszty te wzrosną z obecnego poziomu 1% PKB do prognozowanego 1,3% PKB<sup>2</sup>. Będzie to przede wszystkim skutek przewidywanego wzrostu zachorowalności na nowotwory, który w ciągu dekady z 150 tys. przypadków ma dojść do 185 tys.<sup>3</sup> przypadków. Oznacza to, że **w 2025 roku prawie 350 tys.<sup>4</sup> osób będzie zmagać się z chorobą nowotworową.** Skalę tego zjawiska można sobie zobrazować porównaniem, że to tak, jakby wszyscy mieszkańcy Lublina zachorowali.

Statystycznie, ze 150 tys. przypadków zachorowań na nowotwory w skali roku, 5 lat przeżyje ok. 69 tys. pacjentów. Gdyby udało się zapewnić opiekę onkologiczną<sup>5</sup> na średnim poziomie (mierzonym wskaźnikiem 5-letniej przeżywalności) mogłoby się udać przedłużyć życie nawet 84 tys.<sup>6</sup> pacjentów, czyli dodatkowym 15 tys. chorych.

Polski system opieki onkologicznej potrzebuje zmian. Konieczne są zdecydowane działania, które poprawią stan polskiej onkologii. Do kluczowych czynników determinujących skuteczność i jakość opieki onkologicznej zaliczane są, według **klasyfikacji OECD, następujące obszary: zarządzanie strategiczne systemem zapobiegania i leczenia nowotworów, organizacja procesu leczenia oraz dostępność zasobów w systemie opieki zdrowotnej (kadry, sprzęt i leki).**

Prace z zakresu zarządzania organizacją leczenia są zaawansowane, jednak nadal brakuje centralnej strategii w tym obszarze. Od 2005 roku funkcjonuje Narodowy Program Zwalczania Chorób Nowotworowych, który skupia się na finansowaniu aparatury medycznej oraz wspieraniu profilaktyki nowotworów. Z kolei Polskie Towarzystwo Onkologiczne opracowało kompleksową Strategię Walki z Rakiem w Polsce na lata 2015-2024. Dokumentowi nie nadano jednak rangi formalnej, czyli nie stanowi strategii realizowanej przez Ministerstwo Zdrowia. Wśród działań zrealizowanych przez Ministerstwo Zdrowia można wymienić powołanie Rady ds. Onkologii, organu doradczego, którego jednym z zadań jest opracowywanie standardów postępowania medycznego w opiece onkologicznej i ich upowszechnianie. Ponadto zgodnie z zapowiedzią Ministra Zdrowia z 16 lipca 2015 r., planowane jest ustanowienie Narodowego Instytutu Raka, który miałby wspierać profilaktykę chorób nowotworowych, jako instytucja naukowo-doradcza, wytyczająca kierunki profilaktyki i wprowadzająca nowe technologie leczenia<sup>7</sup>.

W zakresie organizacji procesu leczenia również poczyniono pewne zmiany. Od początku 2015 roku obowiązuje tzw. pakiet onkologiczny, który mimo zgłaszanych wątpliwości, wdraża wiele wartościowych rozwiązań w zakresie szybkiej terapii onkologicznej. Obecnie konsultowany jest projekt zmian do

<sup>1</sup> Por. rozdz. 4

<sup>2</sup> Analiza własna EY, por. rozdz. 4

<sup>3</sup> PTO, Obecny Stan Zwalczania Nowotworów w Polsce, 2014

<sup>4</sup> Por. rozdz. 4

<sup>5</sup> Opisane w niniejszym raporcie leczenie onkologiczne obejmuje terapię nowotworów niezależnie od ich umiejscowienia, w tym nowotwory głowy i szyi, przewodu pokarmowego, układu oddechowego, kości i chrząstek stawowych, skóry, tkanek miękkich, piersi, narządów płciowych, układu moczowego, centralnego układu nerwowego, gruczołów dokrewnych, tkanki limfatycznej i układu krwiotwórczego oraz nowotwory o nieokreślonym umiejscowieniu

<sup>6</sup> Analiza własna EY

<sup>7</sup> <http://wyborcza.pl/1,91446,18376354,minister-zdrowia-o-planach-powolania-narodowego-instytutu-raka.html>

pakietu, który ma uwzględnić zastrzeżenia środowiska onkologicznego, identyfikującego potrzebę dalszego usprawnienia procesu leczenia chorób nowotworowych.

Kolejnym obszarem determinującym skuteczność i jakość opieki onkologicznej jest dostępność zasobów. Wśród krytycznych aspektów tego zagadnienia należy wymienić dostępność zasobów ludzkich. Jeden lekarz o specjalizacji onkologicznej ma, w ciągu roku, pod swoją opieką ok. 230 chorych. Wraz ze wzrostem zapadalności na choroby nowotworowe liczba pacjentów przypadających na jednego lekarza specjalistę wzrośnie nawet do ok. 260, co może wpłynąć na obniżenie efektów leczenia. Przed personelem onkologicznym stoją wyzwania związane zarówno z prognozowanym wzrostem zachorowalności na choroby nowotworowe w najbliższych latach, jak i z koniecznością zasilenia szeregów lekarzy o nowe pokolenie specjalistów. Kolejnym ważnym zasobem jest dostępność aparatury medycznej, która w ostatnich latach znacznie się poprawiła. Finansowane inwestycje w specjalistyczny sprzęt jest jednym z zadań Narodowego Programu Zwalczania Chorób Nowotworowych, na który w sumie przeznaczono niecałe 2 mld złotych, z czego ok. 75% wydano na aparaturę medyczną.

Dalsze działania dążące do optymalizacji dostępności sprzętu diagnostycznego i terapeutycznego oraz zwiększenia liczebności personelu medycznego wymagają opracowania wiarygodnych map potrzeb zdrowotnych. Obecnie Ministerstwo Zdrowia w ramach projektu finansowanego ze środków Unii Europejskiej prowadzi szkolenia w zakresie określania i mapowania potrzeb zdrowotnych. Natomiast kwestia dostępu do innowacyjnych leków wciąż wymaga określenia działań mających na celu poprawę sytuacji polskich pacjentów. Jest to szczególnie istotne w kontekście wniosków wpływających z raportu EY opracowanego dla Fundacji Alivia<sup>8</sup>.

Wśród najważniejszych wniosków można wymienić:  
**późne wprowadzanie leków do refundacji, zawężanie wskazań przyjętych w ramach programów lekowych, brak refundacji aż**

**12 z 30**

**analizowanych innowacyjnych leków onkologicznych.**



---

<sup>8</sup> Raport EY „Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii”, kwiecień 2015

Poprawę dostępności innowacyjnych leków onkologicznych można osiągnąć m.in. poprzez:

- ▶ Optymalizację procesu refundacji leków w ramach programów lekowych oraz
- ▶ Wydzielenie dodatkowych środków na finansowanie innowacyjnych terapii przeciwnowotworowych, np. w formie dedykowanego funduszu.

Rozwiązania te nie muszą być działaniami alternatywnymi. Istnieje możliwość wdrożenia obu opcji. W niniejszym raporcie przedstawiono szczegóły scenariusza dotyczącego utworzenia funduszu dedykowanego innowacyjnym terapiom onkologicznym.

Jako jednostka podlegająca Ministrowi Zdrowia fundusz będzie mógł prowadzić politykę finansową niezależną od NFZ. Wśród najważniejszych cech proponowanego rozwiązania należy wymienić:

- ▶ Umożliwienie realizacji leczenia, które nie jest dostępne w ramach standardowych procedur NFZ, programów lekowych i chemioterapii,
- ▶ Zastosowanie transparentnego algorytmu wyboru leków oraz ocena leków dopuszczonych do obrotu przez Komisję Europejską/URPL po złożeniu wniosku o refundację do Ministerstwa Zdrowia,
- ▶ Przekazanie w ręce lekarzy decyzji związanej z wyborem innowacyjnej terapii,
- ▶ Transparentna procedura zakwalifikowania pacjenta do terapii na wniosek konsylium lekarskiego.

---

## Polska onkologia

i - przede wszystkim - polscy pacjenci



**potrzebują zmian.**

---

Uruchomienie funduszu może bezpośrednio wpłynąć na poprawę jakości i efektywności polskiego systemu opieki onkologicznej. Efekty działania funduszu finansującego innowacyjne terapie będą możliwe do zaobserwowania również w dłuższej perspektywie. Mogą przejawiać się w szczególności poprawą wskaźników przeżywalności, podwyższeniem jakości życia pacjentów, a także mogą wpłynąć na gospodarkę, obniżając koszty pośrednie i umożliwiając tym samym większy wzrost PKB.

Zalety funduszu powinny zostać docenione zarówno przez środowisko onkologiczne, jak i przez opinię publiczną. Wyniki badania<sup>9</sup> zrealizowanego przez TNS Polska na zlecenie Fundacji Alivia w lutym 2015 r. stanowią potwierdzenie, że w opinii większości lekarzy (90% badanych) problemem jest brak dostępu do niektórych nowoczesnych leków onkologicznych, jeszcze więcej - bo aż 95% z nich - twierdzi, że istotną przeszkodą w skutecznym leczeniu jest ograniczanie dostępu do leków. W opinii 85% ankietowanych onkologów samo zniesienie ograniczeń w dostępie do nowoczesnych leków poprawiłoby statystyki skuteczności leczenia raka w Polsce. Z kolei z innego sondażu, przeprowadzonego w 2012 r. przez IPSOS Polska na zlecenie Polskiej Koalicji Organizacji Pacjentów Onkologicznych<sup>10</sup> wynika, że niemal 70% respondentów postrzega leczenie raka jako priorytetowe działanie podejmowane w ramach polskiego systemu ochrony zdrowia.

Problem chorób nowotworowych to problem na skalę ogólnokrajową. Biorąc pod uwagę, że w Polsce co roku u ponad 150 tys. osób diagnozowany jest nowotwór, zaś w badaniu Millward-Brown<sup>11</sup> w 2014 r. na pytanie „Czy wśród Pana rodziny lub bliskich przyjaciół zdarzyły się przypadki zachorowań na nowotwory?” odpowiedzi twierdzące stanowiły aż 72%, można wnioskować, że rak nie dotyka samego pacjenta. Problem choroby nowotworowej dotyczy zarówno pacjenta, jak i jego bliskich. **Zatem nie mówimy tutaj o interesach wąskiej grupy społecznej, ale o interesie całego społeczeństwa.**

---

<sup>9</sup> Badanie TNS Polska dla Fundacji Alivia, Nowoczesne leczenie pacjentów onkologicznych - perspektywa polskich onkologów klinicznych, 2015.

<sup>10</sup> Badanie IPSOS Polska na zlecenie Polskiej Koalicji Organizacji Pacjentów Onkologicznych, Rak - priorytet publiczny?, 2012.

<sup>11</sup> Badanie Millward-Brown na zlecenie Fundacji „Onkologia 2025”, ‘Szybka ścieżka’ dla osób chorych na raka - diagnoza poparcia społecznego, 2014.



Rozdział

# drugi

Główne  
wnioski



Przesłanką do przygotowania raportu jest dostrzegany w Polsce i na świecie problem chorób nowotworowych. Dane epidemiologiczne nie napawają optymizmem. **Nowotwory stanowią drugą najpoważniejszą przyczynę zgonów zarówno w Unii Europejskiej (27%), jak i w Polsce (25,6%).** Obecnie populację chorych na nowotwór w Polsce szacuje się na 310 tys. osób. Jednocześnie warto nadmienić, że dekadę temu populacja ta obejmowała około 270 tys. osób, czyli była mniejsza aż o 40 tys. Uwzględniając starzenie się społeczeństwa i związane z tym prognozy przewidujące wzrost zachorowalności na choroby nowotworowe, można szacować, że w 2025 r. pacjentów onkologicznych będzie niemalże 350 tys. Niepokojący jest również brak istotnej poprawy wskaźników przeżywalności. Według danych Eurocare i WHO<sup>12</sup> **w naszym kraju przeżywalność 5-letnia plasuje się na poziomie czterdziestu kilku procent i nie zmienia się istotnie od 2000 r.**

Diagnoza choroby nowotworowej stawiana jest w Polsce u ponad 150 tys. osób każdego roku. Z badań przeprowadzonych w 2014 r. wynika, że 72% społeczeństwa zetknęło się z przypadkami zachorowań na nowotwory wśród swojego najbliższego otoczenia<sup>13</sup>. Choroba dotyka nie tylko pacjenta, ale również jego rodzinę, zatem zachorowania na raka są istotnym problemem z perspektywy całego kraju.

Środowisko onkologiczne zwraca uwagę na konieczność wzmocnienia działań w zakresie opieki onkologicznej. Problem ten został wskazany m.in. w liście wystosowanym do Ministra Zdrowia, prof. Mariana Zembali, przez grupę fundacji reprezentujących przede wszystkim środowisko pacjentów (m.in. Alivia Fundacja Onkologiczna Osób Młodych, Fundacja Rak'n'Roll, Polskie Amazonki-Ruch Społeczny), jak również w liście wysłanym przez onkologów skupionych w Polskiej Lidze Walki z Rakiem.

Nowotwory stanowią drugą najpoważniejszą przyczynę zgonów zarówno w Unii Europejskiej

27%

jak i w Polsce

25,6%

Obecnie populację chorych na nowotwór w Polsce szacuje się na

310 tys. osób

### Jak wskazali eksperci:

„Nowotwory stanowią ważny test mechanizmów i wartości leżących u podstaw demokratycznego państwa. Zwrócenie uwagi na wielowymiarowość problemu choroby nowotworowej jest wyzwaniem stojącym przed wszystkimi, którzy czują się odpowiedzialni za kształt ochrony zdrowia w Polsce. (...) Rolą państwa jest wszechstronna i aktywna pomoc w tym procesie<sup>14</sup>.”

<sup>12</sup> Eurocare 5 Survival Analysis 2000-2007, dane dotyczące Polski obejmują 13% populacji; \*\* WHO, GLOBOCAN2012.

<sup>13</sup> Badanie Millward-Brown na zlecenie Fundacji „Onkologia 2025”, „Szybka ścieżka” dla osób chorych na raka - diagnoza poparcia społecznego, 2014.

<sup>14</sup> <http://pulsmedycyny.pl/4188232,15269,polska-onkologia-potrzebuje-wiecej-serca>

Ponadto, choroby nowotworowe mają istotny wpływ na gospodarkę. Do kosztów generowanych przez zachorowania na nowotwory - oprócz kosztów opieki onkologicznej i programów profilaktycznych - należy zaliczyć także koszty

pośrednie, a więc koszty utraconej produkcji w gospodarce, wynikające z występowania chorób nowotworowych (to z kolei prowadzi do spadku dochodów podatkowych).

**W szczególności wśród kosztów pośrednich należy wymienić:**

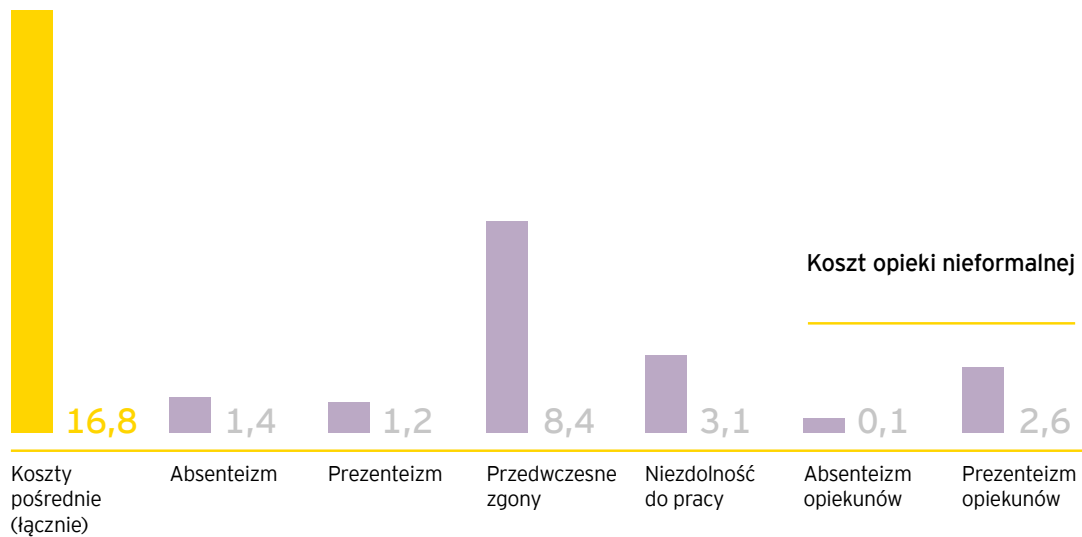
- 1 Strata produkcji w gospodarce** wynikająca z nieobecności w pracy osób chorych, przebywających na zwolnieniach lekarskich (tzw. **absenteizm**)
- 2 Obniżenie produktywności tych osób,** które pomimo choroby kontynuują aktywność zawodową (tzw. **prezenteizm**)
- 3 Strata produkcji** spowodowana **niezdolnością do pracy lub niepełnosprawnością**, poświadczoną rentą z tytułu niezdolności do pracy bądź rentą socjalną<sup>15</sup>
- 4 Strata produkcji** spowodowana **przedwczesnym zgonem**
- 5 Strata produkcji** wynikająca ze sprawowania opieki nieformalnej nad osobami chorymi (**absenteizm opiekunów nieformalnych**)
- 6 Strata produkcji** wynikająca z obniżonej produktywności osób opiekujących się członkiem rodziny, który cierpi z powodu choroby (**prezenteizm opiekunów nieformalnych**)

<sup>15</sup> Świadczenie przyznawane osobom pełnoletnim, niezdolnym do wykonywania jakiejkolwiek pracy, których niepełnosprawność wystąpiła przed 18 r.ż. lub w trakcie trwania nauki (do 25 r.ż.).

Jako miarę produktu utraconego z powodu choroby pracownika przyjęto wartość Produktu Krajowego Brutto (PKB) na jednego pracującego w Polsce. Oszacowano, że łączna strata produkcji w gospodarce, na skutek występowania nowotworów złośliwych w Polsce, w 2013 r.

wyniosła 16 795 mln PLN (1,01% PKB), a połowa tej kwoty jest wynikiem przedwczesnych zgonów. Podsumowanie wszystkich składowych kosztów pośrednich nowotworów złośliwych oszacowanych dla 2013 r. przedstawiono na wykresie 1.

**Wykres 1. Koszty pośrednie nowotworów złośliwych w Polsce w 2013 r.**



Źródło: Obliczenia EY na podstawie danych ZUS, GUS, Eurostat i przeglądu piśmiennictwa

Oszacowano również, że w 2025 r. koszty pośrednie chorób nowotworowych będą wyższe o ok. 29% w porównaniu z 2013 r. i wyniosą ok. 1,3% PKB.

W związku z zagrożeniami dla zdrowia społeczeństwa, jakie niosą za sobą choroby nowotworowe oraz ponoszonymi kosztami, należy zastanowić się, które czynniki wpływają na stan opieki onkologicznej. Jedną z klasyfikacji czynników determinujących skuteczność systemu przeciwdziałania nowotworom jest model

zaproponowany przez OECD (na podstawie badań R. Fujisawy i V. Stefanovica), w którym zidentyfikowano trzy grupy czynników:

- ▶ Zarządzanie strategiczne systemem zapobiegania i leczenia nowotworów (governance),
- ▶ Organizacja procesu leczenia (process quality/practice of care),
- ▶ Dostępność zasobów w systemie opieki zdrowotnej (resources).

W 2025

koszty pośrednie chorób nowotworowych będą wyższe o ok.

29%

w porównaniu z rokiem

2013

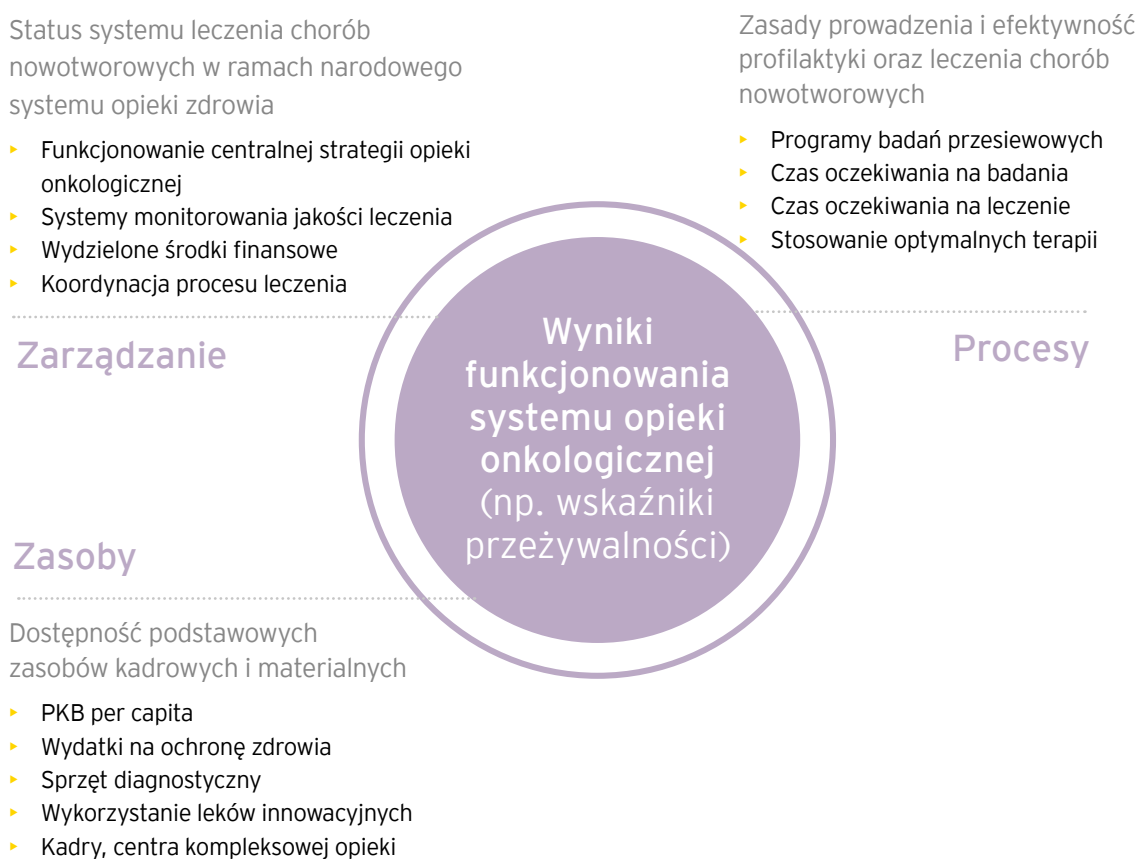
i wyniosą ok.

1,3%

PKB

Poniższy schemat przedstawia szczegóły analizowanego modelu.

### Rysunek 1. Trzy grupy determinant skuteczności systemu opieki onkologicznej



Źródło: EY na podstawie OECD, Cancer Care. Assuring Quality to Improve Survival, OECD Health Policy Studies, 2013

Różnice występujące w poszczególnych krajach w powyżej zdefiniowanych obszarach determinują zróżnicowanie w zakresie wysokości współczynników przeżywalności wśród pacjentów onkologicznych, a w szczególności:

- Zarządzanie systemem opieki onkologicznej odpowiada za około jedną czwartą różnic występujących między wartościami współczynników przeżywalności pacjentów onkologicznych w poszczególnych krajach.
- Organizacja procesu leczenia odpowiada za około jedną trzecią różnic występujących między wartościami współczynników przeżywalności pacjentów onkologicznych w poszczególnych krajach.
- Zasoby odpowiadają za największą część, bo prawie połowę różnic występujących między wartościami współczynników przeżywalności pacjentów onkologicznych w poszczególnych krajach<sup>16</sup>.

<sup>16</sup> OECD, Cancer Care. Assuring Quality to Improve Survival, OECD Health Policy Studies, 2013

Główne wnioski dla polskiej onkologii opierają się na przesłankach:

## I Dotyczących zarządzania systemem opieki onkologicznej

Zarządzanie strategiczne systemem opieki onkologicznej jest częściowo zaadresowane przez Narodowy Program Zwalczania Chorób Nowotworowych oraz Strategię Walki z Rakiem (Polskie Towarzystwo Onkologiczne), która nie stanowi jednak oficjalnej strategii przyjętej przez Ministerstwo Zdrowia. W związku z tym konieczne jest stworzenie narodowej strategii walki z nowotworami, która byłaby zaakceptowana i wdrażana z poziomu centralnego.

## II Dotyczących organizacji procesu leczenia

Działania podjęte w ramach tzw. pakietu onkologicznego zmierzają do poprawy procesu leczenia. Zmiany w rozporządzeniach Ministra Zdrowia, składających się na pakiet onkologiczny, przechodzą konsultacje publiczne<sup>17</sup>, m.in. pod kątem uwzględnienia zastrzeżeń środowiska onkologicznego, które widzi potrzebę dalszego usprawnienia procesu leczenia chorób nowotworowych.

## III Dotyczących dostępności zasobów:

### 1 Zasoby ludzkie

Przy prognozowanym wzroście zapadalności na choroby nowotworowe do ponad 185 tys. rocznie, w najbliższej dekadzie można spodziewać się wzrostu zapotrzebowania na onkologów. Przy niezmięniętej liczbie lekarzy o specjalizacji onkologicznej liczba pacjentów przypadających na lekarza może wzrosnąć z ok. 230 do ok. 260 pacjentów rocznie.

### 2 Dostępność aparatury medycznej

W aparaturę medyczną zainwestowano środki pochodzące z Narodowego Programu Zwalczania Chorób Nowotworowych. Na realizację tego programu przeznaczono dotychczas prawie 2 mld PLN, z czego 75% stanowiły wydatki na środki majątkowe<sup>18</sup>.

<sup>17</sup> Zgodnie z informacjami Rządowego Centrum Legislacji, stan na 15.07.2015 r.

<sup>18</sup> Ministerstwo Zdrowia, Sprawozdania z realizacji Narodowego Programu Zwalczania Chorób Nowotworowych za lata 2006, 2007, 2008, 2009, 2010, 2011, 2012, 2013, NIK, Informacja o wynikach kontroli realizacji wybranych zadań „Narodowego programu zwalczania chorób nowotworowych” w latach 2006-2008 (I półrocze), NIK, Informacja o wynikach kontroli: Realizacja zadań „Narodowego programu zwalczania chorób nowotworowych” w latach 2009-2013

### 3 Dostępność leków

Problem dostępności innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce jest przedmiotem raportu EY „Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii”. W ramach prac nad dokumentem przeanalizowano 30 leków onkologicznych, dopuszczonych do obrotu przez Komisję Europejską (KE) od 2004 r., których wykorzystanie i sprzedaż osiągnęły wysoki poziom w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014. Na podstawie analiz sformułowano następujące wnioski:

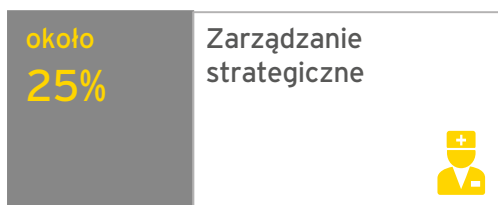
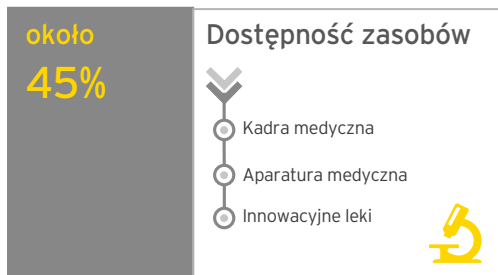
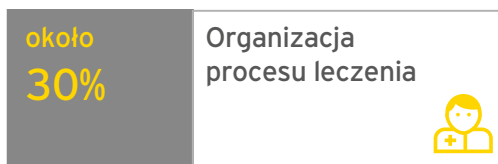
- 12 z 30 innowacyjnych leków onkologicznych jest niedostępnych w ramach refundacji dla pacjentów w Polsce. Polski system refundacyjny obejmuje 18 innowacyjnych leków onkologicznych i jest to jedna z niższych wartości w badanych krajach. Mniejsza liczba leków jest refundowana tylko w Rumunii, na Węgrzech i Słowacji.
- Tylko 2 z 30 innowacyjnych leków onkologicznych jest dostępnych bez ograniczeń wskazań w ramach refundacji - jest to najniższa liczba wśród badanych krajów.
- Rozpoznawalny poziom wykorzystania innowacyjnych leków onkologicznych jest osiągany średnio dopiero po ponad 2 latach (9 kwartałach) od dopuszczenia do obrotu przez Komisję Europejską i jest to drugi najdłuższy okres oczekiwania w 13 badanych krajach.
- Tylko dla 2 innowacyjnych leków onkologicznych wykorzystanie przekroczyło średni poziom w 13 badanych krajach w okresie 12 miesięcy (od IV kw. 2013 do III kw. 2014).
- 10 z 18 innowacyjnych leków onkologicznych objętych refundacją nie uzyskało poziomu 25% średniego wykorzystania w 13 badanych krajach.
- Przyczyną niewielkiego poziomu wykorzystania innowacyjnych leków - mierzonego liczbą sprzedaży - jest szeroki zakres ograniczeń przyjęty w ramach programów lekowych w stosunku do wskazań zaakceptowanych przez Komisję Europejską w decyzji o dopuszczeniu leku do obrotu.

Obszar aparatury medycznej oraz personelu wymaga opracowania map potrzeb zdrowotnych. Obecnie Ministerstwo Zdrowia prowadzi w tym zakresie projekt edukacyjny: „Poprawa jakości zarządzania w ochronie zdrowia poprzez wsparcie procesu tworzenia regionalnych map potrzeb zdrowotnych jako narzędzia usprawniającego procesy zarządcze w systemie ochrony zdrowia

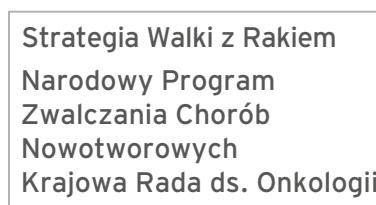
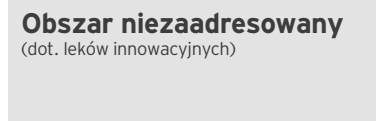
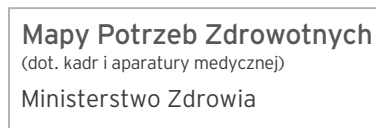
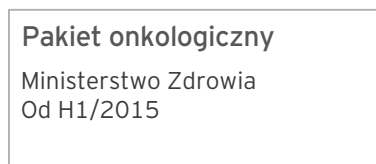
- szkolenia z zakresu szacowania potrzeb zdrowotnych”. Z kolei obszar dostępności innowacyjnych leków przeciwnowotworowych nie został jeszcze odpowiednio zaadresowany. Podsumowanie statusu działań w poszczególnych obszarach determinujących skuteczność systemu zwalczania chorób nowotworowych w Polsce przedstawiono na rysunku 2.

## Rysunek 2. Obszary do zaadresowania w systemie opieki onkologicznej

### Skuteczność systemu przeciwdziałania chorobom nowotworowym



### Status



 Element polityki Ministerstwa Zdrowia  Niezaadresowane obszary

Źródło: [1] “Cancer Care. Assuring quality to improve survival”, OECD Health Policy Studies, 2013.

Zastosowanie innowacyjnych terapii onkologicznych niesie za sobą wymierne korzyści kliniczne dla pacjentów. Przeprowadzono analizę skuteczności innowacyjnych leków onkologicznych w oparciu o wyniki badań klinicznych 30 produktów wybranych zgodnie z poniższymi kryteriami:

- ▶ Największe zużycie - mierzone wolumenem sprzedaży w kg, w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014 w 13 krajach europejskich,
- ▶ Największa wartość sprzedaży w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014 w 13 krajach europejskich,

- ▶ Leki należące do grupy ATC L01 - cytostatyki i leki przeciwnowotworowe,
- ▶ Leki dopuszczone do obrotu przez Komisję Europejską od roku 2004,
- ▶ Leki niebędące lekami generycznymi,
- ▶ Leki niebędące produktami biopodobnymi.

W analizie skuteczności innowacyjnych leków onkologicznych wykorzystano badania kliniczne przedstawione we wnioskach o dopuszczenie produktu do obrotu na terytorium UE przez Komisję Europejską. Ponadto badania te zostały umieszczone w charakterystyce produktu leczniczego.

---

## Rozdział 2

Analiza wyników badań klinicznych wybranych leków onkologicznych wskazała, że możliwe jest uzyskanie istotnych korzyści w zakresie wydłużenia całkowitego przeżycia pacjentów, zwiększenia czasu wolnego od progresji choroby oraz częstszego uzyskiwania całkowitych i częściowych odpowiedzi na leczenie.

Zakres osiągniętych korzyści zależy m.in. od rodzaju nowotworu, stosowanych uprzednio schematów leczenia oraz innych leków stosowanych w terapii.

Poniżej przedstawiono **maksymalny wzrost** wybranych wskaźników oceny klinicznych korzyści leków innowacyjnych w stosunku do tradycyjnych form terapii. Przedstawione wartości dotyczą konkretnej grupy pacjentów w ramach populacji chorych na dany typ nowotworu, co nie oznacza, że zawsze będzie możliwe osiągnięcie przedstawionych wartości.

---

### 1 Całkowity czas przeżycia (OS)

- ▶ Terapie nowotworów głowy i szyi - zwiększenie mediany OS o 19,7 msc.,
- ▶ Nowotwory piersi - zwiększenie mediany OS o 15,7 msc.,
- ▶ Białaczki - zwiększenie mediany OS o 9,4 msc.
- ▶ Nowotwory jelita grubego - zwiększenie mediany OS o 7,5 msc.,
- ▶ Nowotwory trzustki - zwiększenie mediany OS o 6,3 msc.

---

### 2 Czas przeżycia wolny od progresji choroby (PFS)

- ▶ Nowotwory trzustki - zwiększenie mediany PFS o 8 msc.,
- ▶ Nowotwory piersi - zwiększenie mediany PFS o 6,9 msc.,
- ▶ Nowotwory jelita grubego - zwiększenie mediany PFS o 6,2 msc.,
- ▶ Nowotwory płuc - zwiększenie mediany PFS o 5,3 msc.

---

### 3 Odsetek obiektywnych odpowiedzi na leczenie (ORR)

- ▶ Nowotwory płuc - poprawa odpowiedzi na leczenie o 45 pp.,
- ▶ Czerniak - poprawa odpowiedzi na leczenie o 42,9 pp.,
- ▶ Nowotwory jelita grubego - poprawa odpowiedzi na leczenie o 29,3 pp.,
- ▶ Nowotwory piersi - poprawa odpowiedzi na leczenie o 27,9 pp.,
- ▶ Nowotwory jajników - poprawa odpowiedzi na leczenie o 21,1 pp.,
- ▶ Nowotwory nerki - poprawa odpowiedzi na leczenie o 18,9 pp.

---

Wyniki badań klinicznych, a także wnioski wyływające z analizy determinant skuteczności opieki onkologicznej w Polsce, prowadzą do rozważań kwestii poprawy dostępności innowacyjnych leków onkologicznych dla polskich pacjentów. Wśród rozwiązań mogących wpłynąć na poprawę dostępności można wymienić m.in.: optymalizację procesu refundacji leków w ramach programów lekowych oraz wydzielenie dodatkowych środków finansowych na refundację innowacyjnych terapii przeciwnowotworowych. W raporcie przedstawiono ramy rozwiązania dotyczącego wydzielenia dodatkowych środków finansowych w formie dedykowanego funduszu. Źródłem inspiracji dla zaprojektowania rozwiązania dla Polski stanowiły analizy systemów ochrony zdrowia, a szczególnie podejścia do leczenia onkologicznego w wybranych krajach europejskich. Poszukiwano rozwiązania, które najskuteczniej zwiększyłoby dostępność innowacyjnych leków onkologicznych i które można dostosować do polskiego systemu ochrony zdrowia. Ciekawym rozwiązaniem jest fundusz (CDF), funkcjonujący w Anglii, dedykowany finansowaniu innowacyjnych terapii onkologicznych. Na podstawie angielskich doświadczeń zaprojektowano rozwiązanie polegające właśnie na utworzeniu tego rodzaju funduszu w Polsce.

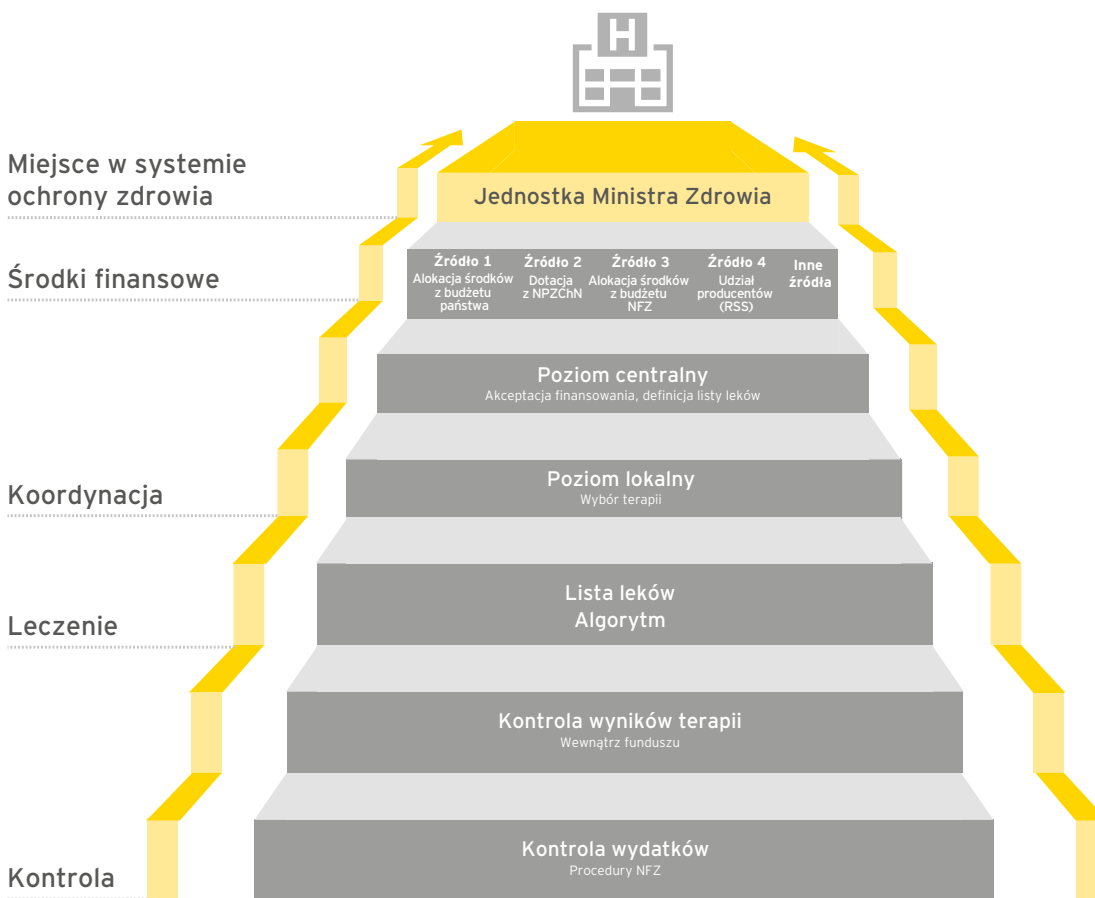
---



Przyjęto m.in. następujące założenia modelu operacyjnego dla zaprojektowanego funduszu:

- ▶ Fundusz powinien funkcjonować w systemie opieki zdrowia jako jednostka Ministra Zdrowia.
- ▶ Środki finansowe na realizację zadań funduszu mogą pochodzić jednocześnie z kilku źródeł, a w szczególności z budżetu państwa, z NPZChN, z budżetu NFZ, z firm farmaceutycznych (RSS), a także z innych źródeł.
- ▶ Fundusz powinien służyć finansowaniu leczenia, które nie jest możliwe w ramach standardowych procedur NFZ, programów lekowych i chemioterapii. Terapie finansowane ze środków funduszu powinny być zdefiniowane na jednej liście leków.
- ▶ Lista leków powinna zostać zdefiniowana na podstawie transparentnego algorytmu.
- ▶ Zadania związane ze definiowaniem listy leków, jej aktualizacją, a także kontrolą budżetu powinny być realizowane na poziomie centralnym. Natomiast o leczenie powinni lokalnie ubiegać się przedstawiciele konsylium lekarskiego - jako osoby odpowiedzialne za dobór terapii i leczenie pacjenta.
- ▶ Przepływ środków finansowych powinien angażować obecnie obowiązujące procesy NFZ. Zaangażowanie NFZ do fizycznego rozliczania świadczeń i kontroli ich realizacji pozwoli uniknąć powielania struktur administracyjnych. NFZ nie powinien być zaangażowany w podejmowanie decyzji dotyczących uzgadniania, na jakie cele będą przeznaczane środki funduszu.
- ▶ Kontrola merytoryczna decyzji związanych z uruchomieniem leczenia powinna zostać realizowana w ramach struktury samego funduszu.

Rysunek 3. Model operacyjny funduszu



Źródło: Opracowanie własne EY

Wśród kluczowych zasad funkcjonowania funduszu można wymienić również:

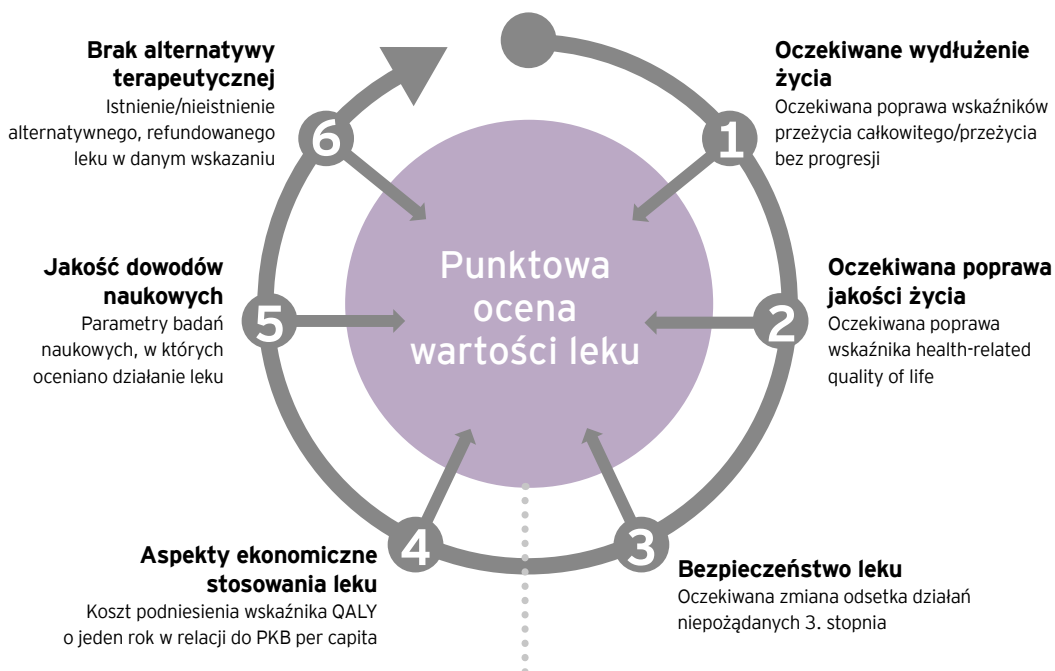
- ▶ Dostępność (po uprzedniej ocenie korzyści klinicznych i złożeniu wniosku o refundację do Ministerstwa Zdrowia) terapii dopuszczonych do obrotu przez Komisję Europejską (KE) lub przez Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL),
- ▶ Ocenę leków autoryzowanych przez KE/URLP. Należy podkreślić, że decyzja o włączeniu leku na listę leków finansowanych ze środków funduszu może zapaść po złożeniu wniosku o refundację do Ministerstwa Zdrowia.

Istotnym elementem funduszu jest kwestia zdefiniowania listy leków, które będą finansowane ze środków funduszu. Zastosowanie zobiektywizowanych algorytmów oceny i selekcji leków onkologicznych przyczyni się do zwiększenia przejrzystości procesu podejmowania decyzji o przyznawaniu

finansowania. Propozycja algorytmu zaprojektowana przez PTOK i PTO (opisana w artykule „Algorytm wyceny wartości nowych leków przeciwnowotworowych – propozycje Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej i Polskiego Towarzystwa Onkologicznego” pod redakcją prof. dr. hab. n. med. Macieja Krzakowskiego i wsp.) wpisuje się w rozwiązania stosowane lub projektowane przez zagraniczne instytucje odpowiedzialne za ocenę wartości leków onkologicznych (m.in.: Europejskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej, Amerykańskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej, *Cancer Drugs Fund*).

Zaproponowany algorytm wyboru leków do refundacji opiera się na ocenie relatywnych korzyści i kosztów stosowania leku przeciwnowotworowego za pomocą punktowej skali odnoszącej się do sześciu wymiarów przedstawionych na poniższym rysunku. Szczegóły dotyczące punktacji znajdują się w Aneksie 2.

**Rysunek 4. Wymiary oceny wartości leku w algorytmie selekcji leków do refundacji**



**Klasyfikacja leku pod względem wartości i decyzja o udzieleniu/nieudzieleniu refundacji bądź udzieleniu refundacji po spełnieniu dodatkowych warunków**

Źródło: EY na podstawie Krzakowski M. i wsp. Algorytm wyceny wartości..., op. cit.

Wprowadzenie tak zaprojektowanego funduszu, dedykowanego finansowaniu innowacyjnych terapii onkologicznych w Polsce, będzie wymagać wprowadzenia pewnych zmian w obecnie obowiązującym prawie. W szczególności należy zwrócić uwagę na ustawę z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. nr 164, poz. 1027, z późn. zm.)

Udostępnienie innowacyjnych terapii onkologicznych szerszej grupie pacjentów będzie wymagać przekazania na działalność funduszu odpowiednich środków finansowych. Szacując poziom tych środków przyjęto trzy założenia:

- ▶ Funkcjonowanie funduszu zapewni dostępność innowacyjnych leków przeciwnowotworowych na poziomie równym określonej w szacunkach części przeciętnej dostępności w grupie krajów europejskich<sup>19</sup>.
- ▶ Zwiększenie wykorzystania innowacyjnych leków terapii przeciwnowotworowych może wpłynąć na zmniejszenie konieczności użycia leków stosowanych dotychczas w chemioterapii.
- ▶ Oszacowanie kosztu realizacji zadań funduszu przeprowadzono na podstawie danych dotyczących wolumenów zużycia i wartości sprzedaży 30 najbardziej powszechnych, innowacyjnych leków przeciwnowotworowych<sup>20</sup>.

**Dodatkowy koszt sfinansowania zużycia poszczególnych leków na poziomie odpowiadającym co najmniej 2/3 (67%) przeciętnej zużycia w analizowanej grupie krajów wyniósłby 894 mln PLN.**

Jest to kwota, która powinna zostać przeznaczona na leki innowacyjne poza środkami przeznaczanymi dotychczas (plasującymi się na poziomie 526 mln PLN w okresie IV kw. 2013 - III kw. 2014). Ponadto można przyjąć, że zwiększenie wydatków na leki innowacyjne pozwoliłoby na pewne zredukowanie wydatków na leki z programów lekowych i chemioterapii<sup>21</sup>. Przy założeniu obniżenia wydatków na leki spoza listy o 20%, koszt realizacji zadań funduszu wymagałby dodatkowych 663 mln PLN. Jednak zakładając dostępność wszystkich 30 leków innowacyjnych na poziomie nie niższym niż 100% średniej w grupie porównawczej i jednoczesnym 20% spadku kosztów finansowania pozostałych leków przeciwnowotworowych, ogólny koszt finansowania leków onkologicznych w Polsce wzrósłby o 1,285 mld PLN w porównaniu z obecnym poziomem.

<sup>19</sup> Grupa krajów uwzględnionych w analizie obejmuje: Czechy, Francję, Niemcy, Holandię, Słowację, Hiszpanię, Wielką Brytanię, Włochy, Austrię, Węgry, Rumunii oraz Szwajcarii.

<sup>20</sup> Należą do nich: Abraxane, Adcertis, Afinitor, Alimta, Avastin, Dacogen, Erbitux, Halaven, Intyla, Iressa, Jakavi, Jevtana, Kadcyła, Nexavar, Parjeta, Sprycel, Stivarga, Sutent, Tafinlar, Tarceva, Tassigna, Tyverb (Tykerb), Vectibix, Vidaza, Votrient, Xalkori, Yervoy, Yondelis, Zaltrap, Zelboraf. Porównaj EY, Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii, 2015.

<sup>21</sup> Oszacowanie skali substytucji między lekami z analizowanej grupy a lekami stosowanymi obecnie w Polsce leży poza zakresem analizy.

Obok aspektu kosztowego wskazano korzyści wynikających z uruchomienia funduszu dedykowanego finansowaniu innowacyjnych terapii onkologicznych. W szczególności wskazano następujące zalety:

---

### **1** Dostęp do leków:

---

- ▶ Stworzenie platformy umożliwiającej sprawne korzystanie z innowacyjnych leków onkologicznych.
- ▶ Zastosowanie transparentnego algorytmu wyboru leków - zablokowanie możliwości kierowania się interesami poszczególnych ekspertów lub firm farmaceutycznych.
- ▶ Bieżące zapewnienie dostępności najnowocześniejszych leków przez cykliczne aktualizowanie listy leków.
- ▶ Przyspieszenie uruchomienia leczenia od momentu postawienia diagnozy.

---

### **2** Korzyści pacjentów:

---

- ▶ Podejmowanie szybkich decyzji na transparentnych i równych zasadach.
- ▶ Indywidualne traktowanie pacjentów - dogłębne zrozumienie każdego przypadku.

---

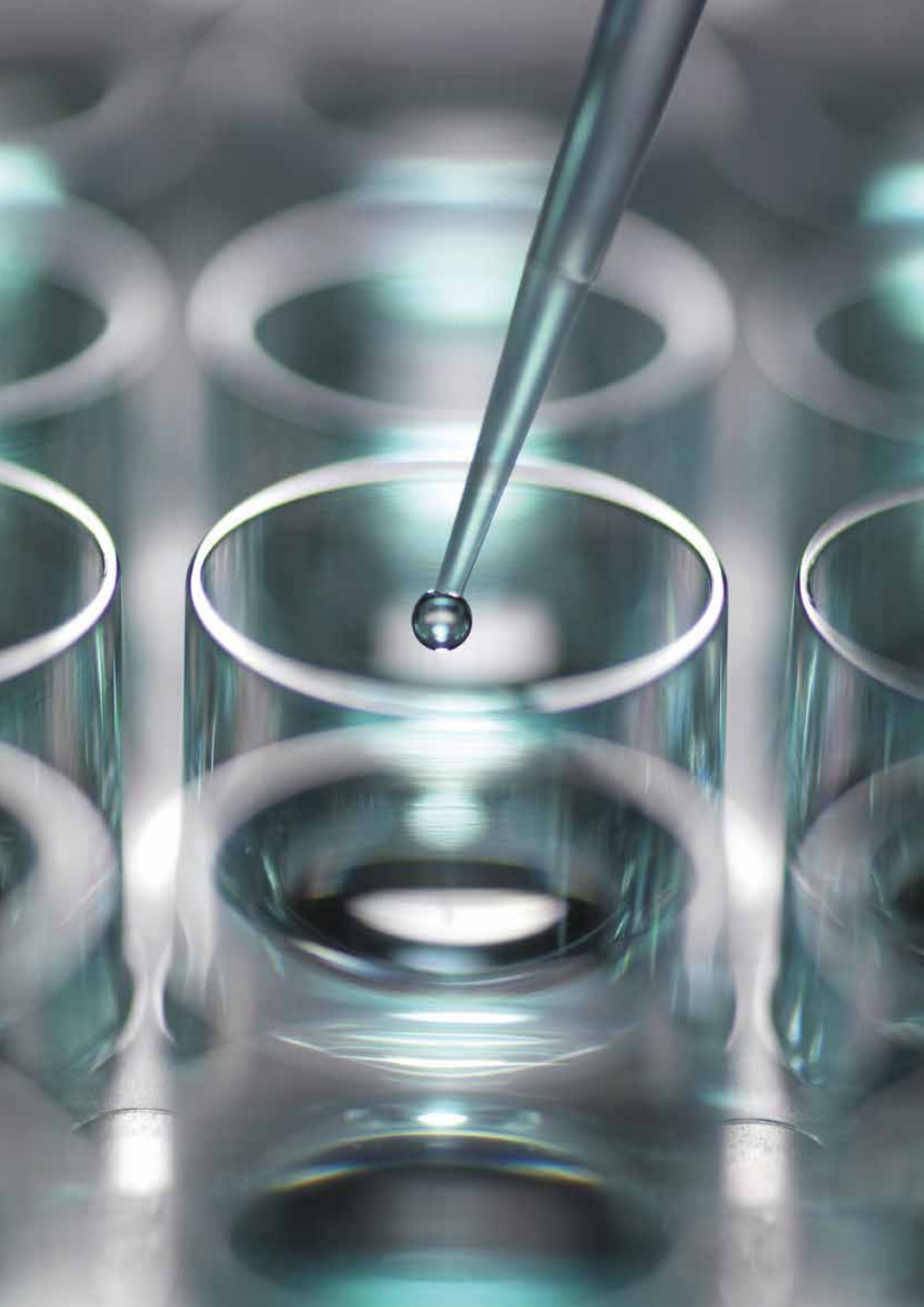
### **3** Poprawy procesu leczenia:

---

- ▶ Przekazanie w ręce lekarzy decyzji związanej z wyborem innowacyjnej terapii.
- ▶ Wprowadzenie jasnych i sprawiedliwych zasad finansowania leczenia.
- ▶ Uwzględnienie algorytmu, który zapewnia transparentny proces wyboru leków finansowanych ze środków funduszu.
- ▶ Połączenie w jednym modelu różnorodnych źródeł finansowania z uwzględnieniem udziału firm farmaceutycznych (RSS).
- ▶ Rejestrowanie danych (realizowanych terapii) będzie stanowić źródło do analiz skuteczności terapii i może przyczynić się do usprawnienia właściwego doboru leczenia przyszłych pacjentów oraz stanowić podstawę do podejmowania i/lub weryfikacji decyzji w zakresie włączenia leku do systemu refundacyjnego.

Efekty działania funduszu będą możliwe do zaobserwowania również w dłuższej perspektywie. W szczególności zaproponowane rozwiązanie może wpłynąć na:

- ▶ Zdrowie polskiego społeczeństwa, a w szczególności poprawę całkowitego czasu przeżycia oraz podwyższenie komfortu życia pacjentów.
- ▶ Obniżenie kosztów pośrednich wynikających z chorób nowotworowych i tym samym większy wzrost PKB.





Rozdział

# trzeci

Obecny  
stan opieki  
onkologicznej  
w Polsce

Choroby nowotworowe stanowią jeden z najpoważniejszych problemów zdrowotnych w Polsce. W 2012 roku były przyczyną śmierci niemal 99 tys. osób, odpowiadając za 25,6% wszystkich zgonów<sup>22</sup>. Statystycznie więcej zgonów w Polsce powodują jedynie choroby układu krążenia.

---

**Prognozuje się, że w ciągu najbliższej dekady roczna liczba zgonów z powodu chorób nowotworowych wzrośnie do 135 tys.**

---

W 2025 r. prawdopodobnie to nowotwory staną się najczęstszą przyczyną śmierci Polaków<sup>23</sup>.

Zapadalność na nowotwory w Polsce jest niższa niż w krajach Unii Europejskiej, jednak umieralność jest stosunkowo wysoka. W 2010 r. liczba przypadków nowych zachorowań na nowotwory złośliwe w Polsce kształtowała się na poziomie 365/100 tys. osób, podczas gdy w UE wyniosła 533/100 tys. osób<sup>24</sup>. Jednocześnie - standaryzowany strukturą wieku populacji - **wskaźnik umieralności na nowotwory złośliwe<sup>25</sup> był w Polsce o 17% wyższy niż przeciętnie w Unii Europejskiej** (na poziomie 193,8 w stosunku do 164,6 w UE). Tym samym wskaźnik zgonów w wyniku nowotworów złośliwych w Polsce był jednym z najwyższych wśród krajów UE (niższym jedynie od odnotowanego na Węgrzech). Polskę cechuje również bardzo wysokie obciążenie chorobami nowotworowymi, mierzone liczbą utraconych lat życia DALY<sup>26</sup>. W 2012 r. w przeliczeniu na 100 mieszkańców w Polsce utracono z powodu

chorób nowotworowych ok. 6,2 r.ż., niemal o rok więcej niż w Hiszpanii i półtora więcej niż w Norwegii<sup>27</sup>. Warto odnotować, że stosunkowo niskie współczynniki zachorowalności na nowotwory w Polsce były wynikiem relatywnie korzystnej struktury demograficznej oraz słabej ich wykrywalności.

W najbliższych latach oczekiwany jest wzrost liczby zachorowań na nowotwory złośliwe w Polsce. Według prognoz **liczba przypadków raka wzrośnie z ok. 150 tys. w 2012 r. do 185 tys. w 2025 r.**<sup>28</sup> Procesowi temu sprzyjać będzie przede wszystkim szybkie starzenie się populacji naszego kraju (odsetek osób w wieku powyżej 65 r.ż. wzrośnie z 15% w 2015 r. do 21% w 2025 r.).

Choroby nowotworowe dotyczą w Polsce coraz większej liczby osób. Zgodnie z badaniami Głównego Urzędu Statystycznego w 2009 r. populacja osób chorych na raka liczyła 287 tys. Można szacować, że obecnie (sześć lat później) wynosi już ok. 310 tys. (0,8% całkowitej populacji Polski). W związku ze stopniowym starzeniem się naszej populacji oraz związanym z tym wzrostem liczby zachorowań w ciągu najbliższych dziesięciu lat, liczba osób cierpiących na nowotwory może wzrosnąć o kolejne 40 tys.<sup>29</sup> Choroby nowotworowe dotyczą również coraz młodszych osób. Na przykład, nowotwór piersi jest obecnie najczęściej diagnozowany u kobiet w wieku 50-69, jednakże rośnie jednocześnie liczba młodszych kobiet, u których również zdiagnozowano ten rodzaj nowotworu. Zachorowalność w wieku 20-49 na przestrzeni ostatnich 30 lat wzrosła o 70%<sup>30</sup>. Oznacza to, że nowotwór piersi coraz częściej dotyka kobiet w pełni aktywnych zawodowo, które są w wieku, kiedy zakłada się rodzinę<sup>31</sup>.

<sup>22</sup> EY na podstawie danych Eurostat.

<sup>23</sup> PTO, *Obecny Stan Zwalczania Nowotworów w Polsce*, opracowanie PWC dla Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, 2014.

<sup>24</sup> Baza danych WHO, Health for All.

<sup>25</sup> Liczba zgonów na 100 tys. mieszkańców po korekcie o różnice w strukturze wiekowej populacji całkowitej między krajami.

<sup>26</sup> *disability-adjusted life years*.

<sup>27</sup> Obliczenia EY na podstawie danych WHO oraz IMF.

<sup>28</sup> PTO, *Obecny Stan Zwalczania Nowotworów...*, op.cit.

<sup>29</sup> Porównaj rozdział 4 dotyczący kosztów pośrednich chorób nowotworowych.

<sup>30</sup> Krajowy Rejestr Nowotworów, dane dotyczą standaryzowanego wskaźnika zachorowalności.

<sup>31</sup> Gryglewicz J i wsp., *Rak piersi w Polsce - Leczenie to inwestycja*, raport przygotowany przez Sequence HC Partners Sp. z o.o., 2014.

### Opieka onkologiczna 2013

W Polsce na opiekę onkologiczną wydatkowano zaledwie

**70 EUR**

na mieszkańca

**124 EUR**

Czechy

**154 EUR**

Wlk. Brytania

**323 EUR**

USA

Co istotne, pacjenci cierpiący na nowotwór nie są jedyną grupą osób dotkniętych przez choroby nowotworowe. Zgodnie z badaniem Millward-Brown z 2014 r. aż 72% ankietowanych odpowiedziało twierdząco na pytanie, czy wśród ich rodziny lub bliskich przyjaciół zdarzyły się przypadki zachorowań na nowotwory. Oznacza to, że niemal trzy czwarte populacji Polski było pośrednio obciążone przez następstwa chorób nowotworowych.

Wydatki na opiekę onkologiczną kształtują się w Polsce na stosunkowo niskim poziomie. Po uwzględnieniu występujących różnic w sile nabywczej<sup>32</sup>, **na opiekę onkologiczną w Polsce w 2013 r. wydatkowano zaledwie 70 EUR na mieszkańca**. Dla porównania, wydatki na opiekę onkologiczną **w Czechach kształtowały się na poziomie 124 EUR na mieszkańca, w Wielkiej Brytanii - 154 EUR, a w USA - 323 EUR**<sup>33</sup>. Wyniki leczenia nowotworów w Polsce mogłyby być lepsze, nawet mimo niskich nakładów finansowych, gdyby tylko zwiększono sprawność operacyjną systemu opieki onkologicznej. Z badania Fundacji Onkologia 2025 wynika, że przed wejściem w życie pakietu onkologicznego tylko 40% pacjentów rozpoczynało leczenie w czasie krótszym niż 63 dni (9 tygodni) od pierwszego kontaktu z lekarzem, podczas którego pojawiło się podejrzenie nowotworu<sup>34</sup>. W Anglii czas oczekiwania na rozpoczęcie leczenia nie przekracza 63 dni w ponad 82% przypadków pacjentów z podejrzeniem choroby nowotworowej<sup>35</sup>.

Niskie wydatki na opiekę onkologiczną (oprócz innych czynników związanych z niewystarczającą dostępnością zasobów w systemie opieki zdrowia) są jedną z przyczyn relatywnie słabej skuteczności systemu opieki onkologicznej w Polsce. Wskaźniki 5-letniej przeżywalności pacjentów onkologicznych są w Polsce niższe niż w innych

krajach UE<sup>36</sup>. Na przykład, **w Polsce po zdiagnozowaniu nowotworu prostaty 5 lat przeżywa 65%**<sup>37</sup> pacjentów, natomiast **w UE odsetek ten wynosi 73%**<sup>38</sup>. W obszarze nowotworów **jelita grubego**, które są jedną z najbardziej licznych grup chorobowych pod kątem liczby zachorowań, przeżycia 5-letnie w Polsce kształtują się **na poziomie 46%**, a w krajach europejskich - **55%**. Niewielka różnica występuje między Polską a krajami UE, w zakresie przeżywalności chorych na **nowotwory płuc: przeżywalność 5-letnia w Polsce wynosi 20%, podczas gdy w krajach europejskich 22%**. Należy jednak podkreślić, że w przypadku tego rodzaju nowotworów wyniki leczenia w najmniejszym stopniu zależą od jego jakości, ponieważ ten typ chorób jest często diagnozowany w nieuleczalnym, zaawansowanym stadium choroby. W obszarze **nowotworów piersi przeżywalność w Polsce wynosi 79%** i jest zbliżona do **przeżywalności w Europie - 80%**. Natomiast w obszarze **nowotworów układu krwiotwórczego** (np. białaczki, chłoniak Hodgkina i chłoniaki nieziarnicze) 5-letnia przeżywalność plasuje się na **poziomie 47%, a w krajach europejskich - 52%**. Mając na uwadze dane GUS dotyczące struktury wieku społeczeństwa, w 2050 r. osoby w wieku od 65 r.ż. będą stanowiły ok. 30 % populacji Polski (wzrost o 5,4 mln w porównaniu do 2013 r.), a także fakt, iż zapadalność na nowotwory układu krwiotwórczego determinuje głównie wiek, to nowotwory tego układu będą w niedalekiej przyszłości stanowić przyczynę zachorowalności coraz większej populacji pacjentów.

Podsumowując, wskaźniki przeżywalności dla chorób nowotworowych w Polsce należą do najniższych w Europie i nie podlegają szybkim zmianom, co widać na wykresie 2.

<sup>32</sup> Wartości w EUR PPP.

<sup>33</sup> EY, Systemy opieki onkologicznej w wybranych krajach, Raport opracowany przez EY na zlecenie Fundacji Onkologia 2025, 2014.

<sup>34</sup> Onkologia 2025, Jak leczymy nowotwory w Polsce? Czas oczekiwania na diagnozę i leczenie onkologiczne przed wejściem w życie pakietu onkologicznego, 2015.

<sup>35</sup> NHS England, <http://www.england.nhs.uk/statistics/statistical-work-areas/cancer-waiting-times/>.

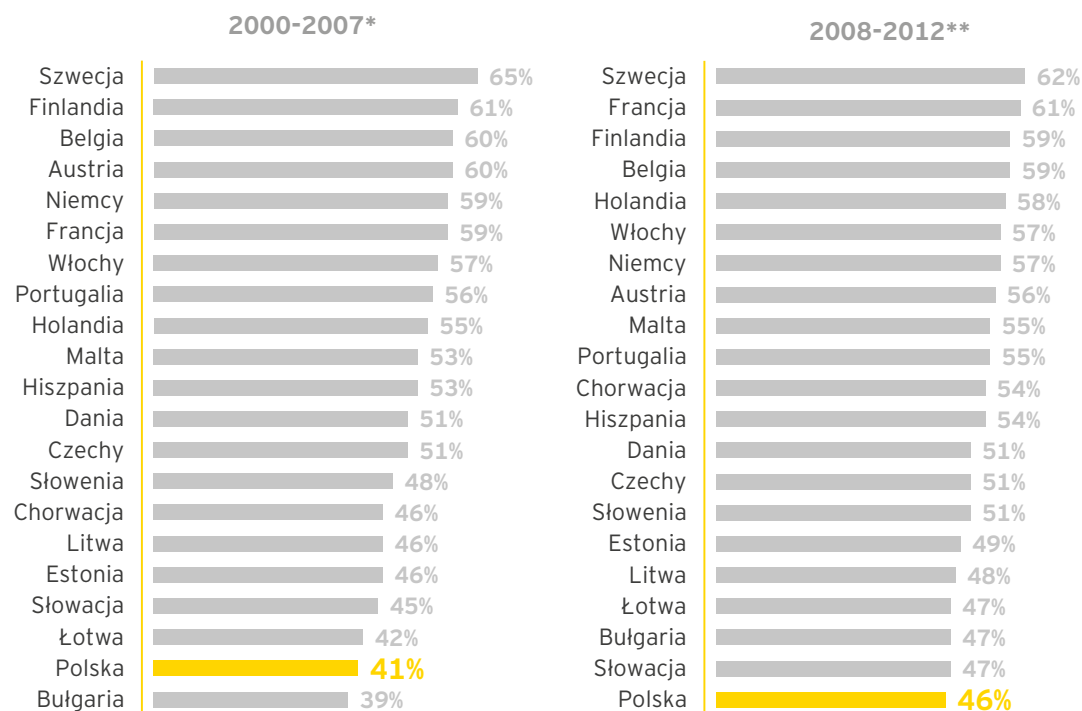
<sup>36</sup> PTO, Obecny Stan Zwalczania Nowotworów w Polsce, maj 2014.

<sup>37</sup> Dane dotyczące przeżyć 5-letnich pochodzą z bazy GLOBOCAN2012.

<sup>38</sup> Średnia ważona populacyjnie dla krajów: Austria, Belgia, Bułgaria, Chorwacja, Cypr, Czechy, Dania, Estonia, Finlandia, Francja, Grecja, Hiszpania, Holandia, Irlandia, Litwa, Luksemburg, Łotwa, Malta, Niemcy, Polska, Portugalia, Rumunia, Słowacja, Słowenia, Szwecja, Węgry, Wielka Brytania, Włochy. Dane dotyczące przeżyć 5-letnich: GLOBOCAN2012. Dane populacyjne: EUROSTAT.



**Wykres 2. Przeżycia 5-letnie dla chorób nowotworowych w wybranych krajach UE w poszczególnych latach**



Źródło: \*Eurocare 5 Survival Analysis 2000-2007, dane dotyczące Polski obejmują 13% populacji; \*\*WHO, GLOBOCAN2012, dane za rok 2012, dane z wyłączeniem nowotworów skóry, które nie są czerniakiem



Rozdział

# Czwarty

Koszty  
pośrednie  
chorób  
nowotworowych

Choroby nowotworowe to ważny problem społeczny również z powodu poważnych konsekwencji ekonomicznych. W wymiarze ekonomicznym ocena obciążenia skutkami choroby zazwyczaj skupiona jest na kosztach bezpośrednich związanych z leczeniem i wykorzystaniem zasobów systemu ochrony zdrowia. Natomiast często pomijane są koszty związane z utratą produkcji w gospodarce na skutek występowania chorób (tzw. koszty pośrednie). Celem niniejszego rozdziału jest przedstawienie skali utraconej produkcji w gospodarce na skutek występowania chorób nowotworowych w Polsce<sup>39</sup>. Świadomość skali tych kosztów jest szczególnie ważna w dyskusji nad potrzebą zmian w opiece onkologicznej, zawartą w kolejnych rozdziałach.

---

<sup>39</sup> Analizą objęto nowotwory złośliwe (kody ICD-10: C00-C97).

# Uwagi metodologiczne

Koszty pośrednie definiujemy jako stratę produkcji spowodowaną zmniejszeniem zasobu pracy w gospodarce w wyniku występowania danej choroby.

Koszty pośrednie chorób nowotworowych w niniejszym raporcie zostały obliczone zgodnie z metodyką szacowania kosztów pośrednich w polskim systemie ochrony zdrowia opracowaną przez EY<sup>40</sup>. W metodycie tej postuluje się, aby koszty pośrednie na poziomie makroekonomicznym szacowane były z wykorzystaniem metody kapitału ludzkiego. Metoda ta zakłada, że koszty pośrednie chorób występują tak długo, jak długo potencjał wykorzystania kapitału ludzkiego jest ograniczony. Innymi słowy, zgodnie z tą koncepcją nawet jeśli dotychczasowe miejsce pracy osoby chorej zostanie objęte przez kogoś innego, to fakt opuszczenia rynku pracy przez tę osobę nadal jest kosztem dla gospodarki (tak długo, jak długo osoba chora jest nadal w wieku produkcyjnym i pozostaje poza rynkiem pracy z powodu choroby)<sup>41</sup>.

Należy podkreślić, że do kosztów pośrednich chorób można zaliczyć tylko i wyłącznie te czynniki, które prowadzą do obniżenia poziomu produkcji w gospodarce (a więc, w uproszczeniu, które prowadzą do spadku PKB kraju). Tym samym, do kosztów pośrednich chorób nie można zaliczyć żadnego typu wydatków, które

mają charakter redystrybucyjny. Przykładowo, wydatek związany z zakupem leków stanowi koszt z perspektywy pacjenta (lub płatnika, jeśli lek jest refundowany), jednakże jednocześnie stanowi przychód firmy farmaceutycznej. Tak więc z punktu widzenia gospodarki jako całości (a więc uwzględniając jednocześnie sytuację pacjenta/płatnika oraz firmy farmaceutycznej), zakup leków nie stanowi kosztu, a jedynie redystrybucję środków pieniężnych od jednego podmiotu do innego (oraz produktu w postaci leku w kierunku przeciwnym). Często jest też tak, że jedno zjawisko generuje zarówno koszty pośrednie jak również efekty o charakterze redystrybucyjnym. Dla przykładu, zgon z powodu choroby osoby w wieku przed lub produkcyjnym oznacza zmniejszenie obecnego i/lub przyszłego zasobu pracy w gospodarce, tym samym obniżając możliwą do wytworzenia wielkość produkcji w gospodarce. W tym kontekście zgon stanowi koszt pośredni choroby. Natomiast fakt, że przedwczesne zgony ograniczają wartość przyszłych świadczeń (np. zdrowotnych lub emerytalnych) wypłacanych na rzecz obywateli, nie stanowi kosztu pośredniego. Wypłata świadczeń jest bowiem transferem z sektora finansów publicznych do świadczeniobiorców. Tym samym z perspektywy gospodarki jako całości, nie stanowi ona kosztu. Analogicznie, uniknięcie konieczności jej wypłaty nie stanowi z perspektywy całej gospodarki korzyści.

---

<sup>40</sup> EY, Metodyka pomiaru kosztów pośrednich w polskim systemie ochrony zdrowia, 2013.

<sup>41</sup> Alternatywnym podejściem do szacowania kosztów pośrednich byłoby zastosowanie metody kosztów frykcyjnych, która przyjmuje, że w przypadku nieobecności pracownika w pracy lub zgonu jego obowiązki - z pewnym opóźnieniem - mogą zostać przejęte przez pozostałych lub nowozatrudnionych pracowników. W tym przypadku koszty pośrednie generowane są tylko w przejściowym (frykcyjnym) okresie. Wykorzystanie tej metody w obliczeniach kosztów pośrednich na poziomie makroekonomicznym wiązałoby się zatem z przyjęciem założenia, że zasób pracy w gospodarce nie jest w pełni wykorzystany (dzięki czemu zawsze znajdzie się pracownik na miejsce osoby chorej) bądź też, że firmy są trwale nieefektywne i utrzymują przerost zatrudnienia (dzięki czemu obowiązki chorego zawsze może przejąć inny pracownik danego przedsiębiorstwa).

W niniejszej analizie kosztów pośrednich wyszczególniono następujące kategorie utraconej produkcji w efekcie występowania chorób nowotworowych:

- ▶ Stratę produkcji w gospodarce wynikającą z nieobecności w pracy osób chorych, przebywających na zwolnieniach lekarskich (tzw. absenteizm).
- ▶ Obniżenie produktywności tych osób, które mimo choroby kontynuują aktywność zawodową (tzw. prezenteizm).
- ▶ Stratę produkcji spowodowaną niezdolnością do pracy lub niepełnosprawnością, poświadczoną rentą z tytułu niezdolności do pracy lub rentą socjalną<sup>42</sup>.
- ▶ Stratę produkcji spowodowaną przedwczesnym zgonem.
- ▶ Stratę produkcji wynikającą ze sprawowania opieki nieformalnej nad osobami chorymi (absenteizm opiekunów nieformalnych).
- ▶ Stratę produkcji wynikającą z obniżonej produktywności osób opiekujących się członkiem rodziny, który cierpi z powodu choroby (prezenteizm opiekunów nieformalnych).



<sup>42</sup> Świadczenie przyznawane osobom pełnoletnim, niezdolnym do wykonywania jakiegokolwiek pracy, których niepełnosprawność wystąpiła przed 18 r.ż. lub w trakcie trwania nauki (do 25 r.ż.).

### Jako miarę produktu utraconego z powodu choroby pracownika przyjęto wartość PKB (Produktu Krajowego Brutto) na jednego pracującego w Polsce.

Warto zwrócić uwagę, że miara ta jest wyższa od przeciętnego, rocznego wynagrodzenia brutto pracownika w gospodarce narodowej. Wynika to z tego, że uwzględnia ona również wynagrodzenie innych czynników produkcji w gospodarce (np. kapitału). Uwzględnienie innych czynników produkcji niż tylko praca można uzasadnić tym, że kosztem pośrednim choroby jest zarówno utracony wysiłek nieobecnego pracownika (z założenia wynagradzany na poziomie spójnym z jego wydajnością), jak i – przykładowo – utracona praca maszyn i urządzeń, których ta osoba w czasie choroby nie obsługuje.

W obliczeniach jednostka utraconej produkcji została dodatkowo skorygowana o malejącą, krańcową produktywność pracy (korekta z wykorzystaniem parametru 0,65<sup>43</sup>) oraz poddana dyskontowaniu w przypadku przyszłych strumieni niezrealizowanej produkcji, na przykład w wyniku przedwczesnego zgonu (dyskonto na poziomie 5%<sup>44</sup>).

Do celów analizy przyjęto, że rok składa się z 250 dni roboczych. Zestawienie najważniejszych parametrów wykorzystanych w analizie przedstawiono w załączniku do niniejszego opracowania (Aneks 1).

<sup>43</sup> EY, Metodyka pomiaru kosztów pośrednich..., op.cit.

<sup>44</sup> Zgodnie z wymaganiami Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, Dz.U. 2012 poz. 388, które określa stopę dyskonta dla kosztów w analizach ekonomicznych we wnioskach o objęcie leku refundacją.

## Koszty pośrednie chorób nowotworowych w Polsce w 2013 r.

---

Oszacowanie obecnego ciężaru chorób nowotworowych dla gospodarki oparto na danych dla 2013 r.<sup>45</sup> W 2013 r. wartość PKB na jednego pracującego wyniosła 106,8 tys. PLN. Wyniki oszacowań dla poszczególnych składowych kosztów pośrednich przedstawiono poniżej.

---

### Strata produkcji z tytułu absenteizmu

W celu oszacowania wielkości utraconej produkcji w wyniku absenteizmu wykorzystano dane z ZUS-owskiego portalu statystycznego o absencji chorobowej pracowników z tytułu choroby własnej. Łączna liczba wystawionych zaświadczeń lekarskich z powodu choroby ubezpieczonych w ZUS (nowotwór złośliwy - C00-C97) w 2013 r. wyniosła 185 816. Uśredniając, jedno zwolnienie lekarskie trwało 24 dni.

W przypadku osób ubezpieczonych w KRUS dane w rozbiciu na poszczególne jednostki chorobowe nie są dostępne. Chcąc doszacować koszty absenteizmu osób ubezpieczonych w KRUS przyjęto, że zarówno długość zwolnienia, jak i udział zwolnień z tytułu nowotworów w łącznej liczbie zwolnień jest taki sam, jak w przypadku ubezpieczonych w ZUS (odpowiednio 24 dni oraz 1,07%)<sup>46</sup>.



---

Na podstawie powyższych danych obliczono, że koszt pośredni wynikający z absencji chorobowej będącej skutkiem zachorowania na nowotwór złośliwy wyniósł w 2013 r. 1 358 mln PLN (0,08% PKB).

---

<sup>45</sup> Ostatni rok, dla którego dostępna była większość danych niezbędnych do analizy. W przypadkach, w których dane dla tego roku nie były dostępne, obliczenia oparto na danych wcześniejszych, odpowiednio skalowanych do roku 2013.

<sup>46</sup> Zakład Ubezpieczeń Społecznych, Absencja chorobowa w 2013 roku, Warszawa 2014.

## Strata produkcji z tytułu prezepteizmu

Nowotwory złośliwe należą do chorób przewlekłych, co jest uzasadnieniem dla przeprowadzenia analizy kosztów obniżonej wydajności osób, które zdecydowały się na kontynuowanie aktywności zawodowej mimo choroby. W celu oszacowania kosztów prezepteizmu konieczna była identyfikacja dwóch czynników:

- ▶ Liczby osób cierpiących z powodu nowotworów złośliwych i jednocześnie pracujących w 2013 r.

oraz

- ▶ Oceny oddziaływania choroby na produktywność (wydajność pracy) osób chorych.

Pierwszym krokiem w oszacowaniu liczby pracujących osób chorych było określenie ogólnej populacji chorych na nowotwory złośliwe w 2013 r. Została wyliczona na podstawie badania Głównego Urzędu Statystycznego, w którym pytano m.in. o to, czy dana osoba w ciągu ostatniego roku chorowała na nowotwór złośliwy<sup>47</sup>. Wyniki badania GUS są dostępne w podziale na osiem kategorii wiekowych. Badanie GUS dotyczyło jednak 2009 r. Na potrzeby oszacowania populacji chorych w 2013 r. założono więc, że odsetek osób chorych na nowotwór złośliwy w każdej kategorii wiekowej w latach 2009-2013 pozostał niezmienny, a czynnikiem wpływającym na zmianę liczby chorych w tym okresie były zmiany w liczebności populacji w poszczególnych grupach wiekowych. Szacunek populacji chorych dla 2013 r. przedstawia tabela 1.

**Tabela 1. Populacja chorych na nowotwór złośliwy (tys.)  
(za rok 2009 oraz szacunek za rok 2013)**

Rok	Źródło	Ogółem	15-19	20-29	30-39	40-49	50-59	60-69	70-79	80+
2009	GUS	287,2	1,4	12,4	21,1	29,1	84,6	70,9	53	14,7
2013	Obliczenia własne	302,6	1,2	11,2	23,2	29,2	80,7	89,3	50,4	17,3

Źródło: Opracowanie EY na podstawie danych GUS

<sup>47</sup> Główny Urząd Statystyczny, Stan zdrowia ludności Polski w 2009 roku, Warszawa 2011.

W kolejnym kroku oszacowano, jaka część populacji z chorobą nowotworową jest aktywna zawodowo. Pomnożono szacunkową liczbę populacji chorych przez wskaźnik zatrudnienia populacji w wieku produkcyjnym wg Eurostatu<sup>48</sup> (wartość tego wskaźnika w 2013 r. to 60%). Otrzymałą w ten sposób liczbę osób pracujących i jednocześnie chorujących na nowotwory złośliwe dodatkowo skorygowano w dół o liczbę nowo przyznanych w 2013 r. rent z tytułu niezdolności do pracy. Następnie na podstawie tak uzyskanej miary obliczono liczbę roboczodni zrealizowanych w 2013 r. przez osoby chore na nowotwór złośliwy. W kolejnym roku pomniejszono tę wielkość o liczbę dni absencji chorobowej ubezpieczonych w ZUS. W ten sposób otrzymano liczbę dni pracy osób, które w 2013 r. były chore na nowotwór złośliwy, pracowały i nie przebywały na zwolnieniu lekarskim lub rencie z tytułu niezdolności do pracy.

**Wpływ choroby na produktywność chorych** został zaczerpnięty z badań empirycznych. Uśredniając trzy dostępne oszacowania prezenteizmu osób cierpiących z powodu chorób nowotworowych<sup>49 50</sup>, przyjęto, że wydajność pracy osoby chorującej na nowotwór złośliwy jest przeciętnie o 18,1% niższa niż w przypadku osoby zdrowej.

---

Na podstawie powyższych danych koszty utraconej produkcji w gospodarce w 2013 r. na skutek prezenteizmu oszacowano na **1 208 mln PLN** (0,07% PKB).

---

### Strata produkcji z tytułu trwałej lub okresowej niezdolności do pracy

W ramach szacunku kosztów niezdolności do pracy z powodu nowotworów przeanalizowano dane udostępnione przez ZUS o liczbie wypłaconych rent z tytułu niezdolności do pracy i rent socjalnych wynikających z chorób nowotworowych. W 2013 r. nowotwory złośliwe, jako przyczyna przyznania świadczeń rentowych ZUS z tytułu niezdolności do pracy, stanowiły 6,2%, natomiast w przypadku rent socjalnych 1,6%. Łączna liczba osób, którym w 2013 r. przyznano renty z powodu choroby nowotworowej wyniosła 81 196.

Podobnie jak dla prezenteizmu, liczbę rencistów pomnożono przez wskaźnik zatrudnienia. Należy bowiem przypuszczać, że pewna część osób otrzymujących renty w scenariuszu braku choroby i tak nie wykonywałaby pracy. Dodatkowo przyjęto, że osoby z orzeczeniem o częściowej niezdolności do pracy są w stanie pracować przez 25% pełnego wymiaru czasu pracy. Założenie to wynika wprost z relacji świadczenia dla takich osób w stosunku do świadczeń uzyskiwanych przez osoby ze stwierdzoną całkowitą niezdolnością do pracy.

---

Ostatecznie łączny koszt utraconej produkcji w gospodarce z tytułu trwałej lub okresowej niezdolności do pracy w 2013 r. wyniósł **3 096 mln PLN** (0,19% PKB).

---

<sup>48</sup> Populacja w wieku 15-64 lata.

<sup>49</sup> Goetzel RZ, Long SR, Ozminkowski RJ, Hawkins K, Wang S, Lynch W, Health, absence, disability, and presenteeism cost estimates of certain physical and mental health conditions affecting US employers. *Journal of Occupational and Environmental Medicine*, 46(4), s. 398-412.

<sup>50</sup> Macioch T, Hermanowski TR, PCN125 Cost of Presenteeism Due to Cancer in Poland. *Value in Health*, November 2012, Volume 15, Issue 7, s. A432.



## Strata produkcji z tytułu zgonów

Z punktu widzenia szacowania kosztów pośrednich metodą kapitału ludzkiego zgon osoby w wieku produkcyjnym lub przedprodukcyjnym generuje stratę dla produkcji w całym okresie, w którym osoba ta pracowałaby, gdy przyjmemy scenariusz bez choroby. Do szacowania tego efektu na poziomie całej gospodarki można podejść na dwa sposoby:

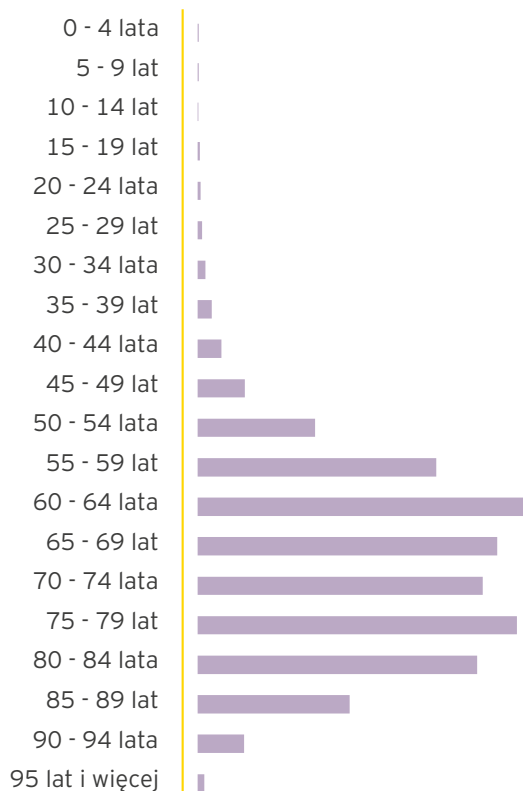
- ▶ Obliczając stratę produkcji w 2013 r. wynikającą ze zgonów z powodu nowotworów złośliwych wszystkich osób, które w przyjętym scenariuszu bez choroby pracowałyby w 2013 r. - niezależnie od tego, w którym roku ten zgon nastąpił

lub

- ▶ Obliczając zdyskontowaną na 2013 r. łączną, obecną i przyszłą stratę produkcji w gospodarce, wynikającą ze zgonów z powodu nowotworów złośliwych osób, które zmarły w 2013 r.

Ze względu na ograniczenia w dostępności danych w niniejszej analizie zastosowano drugie rozwiązanie. W badaniu wykorzystano dane GUS o zgonach w 2013 r. z powodu nowotworów złośliwych w podziale na 5-letnie grupy wiekowe (wykres 3).

**Wykres 3. Zgony z powodu nowotworów złośliwych (C00-C97) wg wieku, 2013 r.**



Źródło: GUS

Dla każdej z 5-letnich grup wiekowych ustalono horyzont czasowy, w którym przeciętnie przedstawiciele tej grupy weszliby na rynek pracy (w przypadku zgonów osób w wieku przedprodukcyjnym) oraz w jakim przeciętnie osiągnęliby wiek emerytalny<sup>51</sup>. Ponadto w obliczeniach uwzględniono dwie korekty:

- ▶ O potencjalne bezrobocie i nieaktywność zawodową - należy bowiem przypuszczać, że część osób, która w 2013 r. zmarła z powodu nowotworu złośliwego, w scenariuszu bez choroby w analizowanym okresie pozostawałaby bez pracy,
- ▶ O potencjalny zgon w przyszłości z przyczyn innych niż choroba nowotworowa. Korekty tej dokonano w oparciu o tablice przeżycia, publikowane przez Eurostat<sup>52</sup>.

Ścieżkę przyszłej wydajności pracy ustalono na podstawie danych zawartych w ocenie skutków regulacji, która została przeprowadzona na potrzeby reformy emerytalnej w 2012 r. Zgodnie z tymi założeniami dynamika wydajności pracy wzrośnie z 1,2% (taki poziom odnotowano w 2013 r.) do poziomu 2,2% w 2020 r., a następnie zmaleje do 1,3% w roku 2070.

W kolejnym kroku wartość jednostkowej produkcji we wszystkich latach poddano dyskontowaniu (5%, zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, Dz.U. 2012 poz. 388). W ten sposób otrzymano ścieżkę zdyskontowanej, przyszłej produkcji - w scenariuszu bez chorób nowotworowych - dla osób reprezentujących poszczególne kategorie wiekowe.

---

Sumując dane dla wszystkich analizowanych grup (zgony w 2013 r. osób w wieku 0-64), łączny koszt utraconej produkcji z tytułu przedwczesnych zgonów w 2013 r. oszacowano na **8 396 mln PLN** (0,5% PKB).

---

<sup>51</sup> W analizie uwzględniono stopniowe wydłużanie się wieku emerytalnego w Polsce.

<sup>52</sup> Wykorzystanie tablic trwania życia może powodować niedoszacowanie kosztów pośrednich z tytułu przedwczesnych zgonów. Ideą korekty o prawdopodobieństwo przeżycia jest uwzględnienie przypadku, w którym osoba nie umiera z powodu danej choroby, lecz zgon spowodowany jest przez inną (niż analizowana) jednostkę chorobową lub inne przyczyny o charakterze niemedyceznym. Jednakże prawdopodobieństwa zgonów publikowane w tablicach trwania życia uwzględniają wszystkie przyczyny zgonów - w tym również z powodu nowotworów, których wpływ powinien zostać pominięty. W ramach niniejszej analizy oznacza to zawyżenie prawdopodobieństwa zgonu z przyczyn innych niż nowotwór, a w konsekwencji zaniżenie oszacowanych kosztów pośrednich z powodu przedwczesnych zgonów.

## Strata produkcji z tytułu absenteizmu opiekunów nieformalnych osób chorych

Obliczenie kosztu absenteizmu opiekunów wymagało oszacowania liczby dni absencji opiekunów osób cierpiących na chorobę nowotworową. W tym celu - podobnie jak w przypadku oceny kosztu absenteizmu osób chorych - wykorzystano ogólnodostępne dane z ZUS. Niemniej dane o absencji z tytułu opieki nad dzieckiem lub innym członkiem rodziny, w przeciwieństwie do danych o absencji z tytułu choroby własnej, nie są dostępne w podziale na jednostki chorobowe<sup>53</sup>. W związku z tym przyjęto założenie, iż w przypadku opieki nad członkiem rodziny zwolnienia z powodu chorób nowotworowych mają taki sam udział w łącznej liczbie zwolnień jak w przypadku zwolnień z tytułu choroby własnej (1,07%).

Przyjęto, że długość zwolnienia w przypadku opieki nad dzieckiem jest równa przeciętnej długości zwolnienia z tytułu choroby własnej spowodowanej nowotworem złośliwym (24 dni). Dla zaświadczeń z tytułu opieki nad innym członkiem rodziny przyjęcie analogicznego założenia było niemożliwe ze względu na maksymalny okres, na jaki może zostać wystawione tego typu zaświadczenie, tj. 14 dni. W związku z powyższym przyjęto, że zwolnienie z tytułu opieki nad innym członkiem rodziny cierpiącym z powodu nowotworu złośliwego trwa 14 dni.

---

Ostatecznie oszacowana strata produkcji w gospodarce z tytułu absenteizmu opiekunów wyniosła w 2013 r. **120 mln PLN** (0,01% PKB).

---

## Strata produkcji z tytułu prezenteizmu opiekunów nieformalnych

Wyniki badania przeprowadzonego przez Maciocha i Hermanowskiego<sup>54</sup>, są potwierdzeniem, że opiekunowie osób chorych na nowotwór, którzy są aktywni zawodowo, również odnotowują spadki w wydajności pracy. Wnioski z przeprowadzonej na reprezentatywnej próbie Polaków ankiety wskazują, że osoba mająca pod swoją opieką pacjenta onkologicznego pracuje z wydajnością obniżoną przeciętnie o 21%. Ponadto wykazano, że odsetek populacji jednocześnie aktywnej zawodowo i opiekującej się pacjentem onkologicznym wynosi 0,48. Na tej podstawie oszacowano, że w 2013 r. liczba osób pracujących i jednocześnie mających pod swoją opieką bądź w swoim gospodarstwie domowym osobę cierpiącą z powodu choroby nowotworowej wynosi 181 266.

W kolejnym kroku, wykorzystując parametr spadku wydajności wynikającego z prezenteizmu opiekunów nieformalnych (21%), oszacowano łączną liczbę utraconych dni pracy. Następnie szacunek ten skorygowano w dół o liczbę dni absencji z tytułu opieki nad członkiem rodziny.

---

Ostatecznie utraconą produkcję w gospodarce na skutek prezenteizmu opiekunów nieformalnych w 2013 r. oszacowano na **2 617 mln PLN** (0,16% PKB).

---

<sup>53</sup> ZUS nie gromadzi danych dotyczących statystyki zwolnień wg jednostki chorobowej osoby, nad którą sprawuje opiekę ubezpieczony.

<sup>54</sup> Macioch T, Hermanowski T, Koszty pośrednie chorób nowotworowych w Polsce w 2009 roku, [w:] Szacowanie kosztów społecznych choroby i wpływu stanu zdrowia na aktywność zawodową i wydajność pracy, pod red. Hermanowski T, Wolters Kulwer Polska, Warszawa 2013, s. 181-211.

Łączna strata produkcji w gospodarce na skutek występowania nowotworów złośliwych w Polsce w 2013 r. wyniosła **16 795 mln PLN** (1,01% PKB).

### Podsumowanie wyników

Uwzględniając wszystkie z omówionych powyżej kategorii kosztów pośrednich (absenteizm, prezenteizm, przedwczesne zgony, niezdolność do pracy, absenteizm oraz prezenteizm opiekunów), można stwierdzić, że **łączna strata produkcji w gospodarce na skutek występowania**

**nowotworów złośliwych w Polsce w 2013 r. wyniosła 16 795 mln PLN (1,01% PKB).**

Największy udział w tej kwocie miała utracona produkcja w efekcie przedwczesnych zgonów.

Podsumowanie wszystkich składowych kosztów pośrednich nowotworów złośliwych oszacowanych dla 2013 r. zawiera poniższa tabela:

**Tabela 2. Koszty pośrednie nowotworów złośliwych (C00-C97) w 2013 r.**

Kategoria kosztu	Wartość	Wartość jako % PKB	
Absenteizm	1 358,1 mln PLN	0,08%	PKB
Prezenteizm	1 207,7 mln PLN	0,07%	PKB
Przedwczesne zgony	8 396,4 mln PLN	0,50%	PKB
Niezdolność do pracy	3 096,2 mln PLN	0,19%	PKB
Absenteizm opiekunów	119,5 mln PLN	0,01%	PKB
Prezenteizm opiekunów	2 617,4 mln PLN	0,16%	PKB
<b>Łącznie</b>	<b>16 795,4 mln PLN</b>	<b>1,01%</b>	<b>PKB</b>

Źródło: Opracowanie własne EY

## Prognoza kosztów pośrednich nowotworów złośliwych w 2025 r.

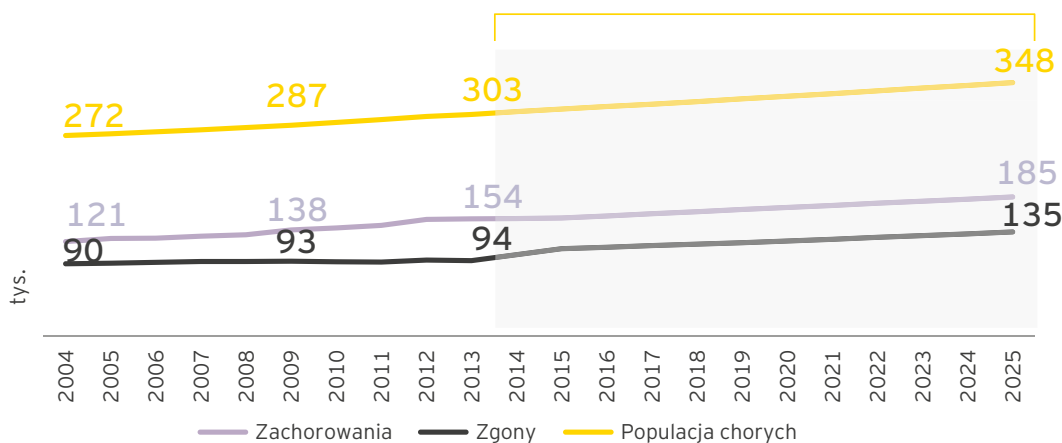
Biorąc pod uwagę niepokojące - z perspektywy zdrowia publicznego - prognozy wskaźników epidemiologicznych (por. rozdz. 3) chorób nowotworowych, zasadne staje się pytanie o przyszły wymiar kosztów pośrednich wynikających z tych chorób.

Celem niniejszego podrozdziału jest oszacowanie, w oparciu o dostępne dane, potencjalnej skali wzrostu kosztów pośrednich chorób nowotworowych w 2025 roku. Do opracowania takiej prognozy niezbędne było uwzględnienie przewidywanej:

- ▶ Liczby zgonów z powodu nowotworów złośliwych w 2025 r.,
- ▶ Liczby chorych na nowotwory złośliwe w 2025 r.

Liczbę przewidywanych zgonów publikuje Polskie Towarzystwo Onkologiczne (PTO). Niedostępna pozostaje natomiast prognoza liczby osób chorych w 2025 r. W związku z tym wielkość populacji chorych w 2025 r. obliczono, wykorzystując prognozy PTO dotyczące liczby zachorowań oraz zgonów z powodu nowotworów złośliwych w horyzoncie do 2025, a także dodatkowego założenia, zgodnie z którym udział wyzdrowień (lub liczba wejść w okres remisji) w różnicy pomiędzy zachorowaniami a zgonami w okresie do 2025 r. jest stały.

**Wykres 4. Zachorowania, zgony i populacja chorych na nowotwór złośliwy w latach 2004-2025**



Źródło: Szacunki EY na podstawie: GUS, Eurostat i PTO, Obecny Stan Zwalczania Nowotworów w Polsce, 2014



Zgodnie z opublikowanymi prognozami<sup>55</sup> w 2025 liczba zachorowań na nowotwory złośliwe w porównaniu z 2013 r. zwiększy się o 20%, z kolei liczba zgonów wzrośnie aż o 43%. Tym samym - przy zachowaniu stałego udziału wyzdrowień (lub liczby wejść w okres remisji) - populacja chorych na nowotwór złośliwy wzrośnie z szacowanych obecnie 310 tys. do niemalże 350 tys. w 2025 r. (wzrost o 15%).

Po ustaleniu przyszłej liczebności populacji chorych możliwe było oszacowanie skali wzrostu kosztów pośrednich. Konstruując szacunek wzrostu kosztów pośrednich, przyjęto upraszczające założenie, że koszty absenteizmu, prezenteizmu, niezdolności do pracy i opieki nieformalnej zmieniają się wprost proporcjonalnie do zmiany liczby chorych w 2025 r. W przypadku produkcji utraconej z powodu przedwczesnych zgonów założono, że jej wartość rośnie wprost proporcjonalnie do zmiany liczby zgonów z tytułu nowotworów złośliwych w 2025 r.

Po przyjęciu powyższych założeń oszacowano, że **w 2025 r. koszty pośrednie chorób nowotworowych będą wyższe o ok. 29%** w porównaniu z 2013 r. **i wyniosą ok. 1,3% PKB.**

<sup>55</sup> Prognozy dotyczące liczby zachorowań oraz zgonów z powodu nowotworów złośliwych dostępne były wyłącznie dla lat 2015, 2020, 2025. W okresach pomiędzy tymi datami założono, że wzrost danej miary zachodzi w sposób liniowy, tj. w każdym roku (w ramach 5-letniego okresu) zwiększa się o taką samą wielkość.

## Wnioski

Nowotwory złośliwe stanowią jedną z głównych przyczyn zgonów na świecie. Biorąc pod uwagę ich rozpowszechnienie, choroby onkologiczne są nie tylko ważnym problemem dla systemu ochrony zdrowia, ale również istotnym obciążeniem całego społeczeństwa, w tym gospodarki.

Analiza kosztów pośrednich nowotworów złośliwych w Polsce wykazała, że łączna wartość ciężaru ponoszonego przez polską gospodarkę na skutek występowania analizowanych jednostek chorobowych wyniosła w 2013 r. 16,8 mld PLN, co odpowiadało ponad 1% PKB. Koszt ten nie jest generowany wyłącznie na skutek utraconej produkcji samych chorych. Także wynika z absenteizmu i obniżonej wydajności pracy

nieformalnych opiekunów osób z chorobami nowotworowymi. Bazując na prognozach Polskiego Towarzystwa Onkologicznego dotyczących zachorowań i zgonów z powodu nowotworów złośliwych, oszacowano, że w 2025 r. koszty pośrednie chorób nowotworowych mogą wzrosnąć o ok. 29% wobec roku 2013.

Chcąc nie dopuścić do urzeczywistnienia się realnie oszacowanej skali zjawiska w roku 2025, konieczne jest jak najszybsze podjęcie działań usprawniających zarówno obszary profilaktyki zachorowań na nowotwory, jak i poprawy efektywności leczenia.

Rozdział

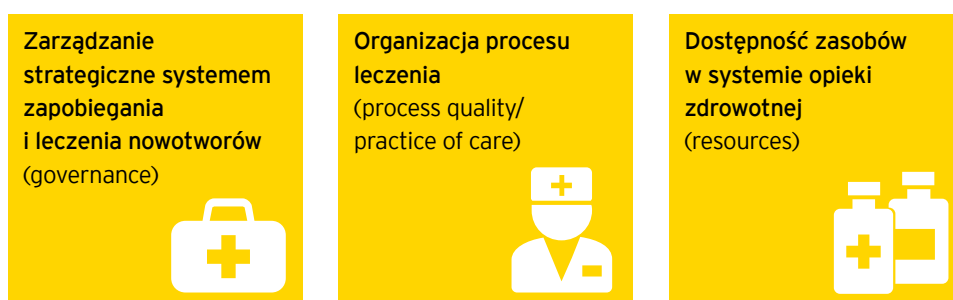
**piąty**

Polska onkologia  
potrzebuje zmian



# Przyczyny występowania różnic w wynikach leczenia onkologicznego

Klasyfikację czynników determinujących skuteczność systemu przeciwdziałania chorobom nowotworowym zaproponowało OECD (na podstawie badań R. Fujisawy i V. Stefanovica)<sup>56</sup>, dzieląc przyczyny występowania różnic we współczynnikach przeżywalności pacjentów onkologicznych na trzy grupy:



**Zarządzanie strategiczne** odnosi się do stanu systemu leczenia chorób nowotworowych w ramach narodowego systemu opieki zdrowotnej (na przykład: stosowania celów strategicznych w ramach krajowych programów opieki onkologicznej, zapewnienia odrębnego finansowania leczenia onkologicznego, funkcjonowania systemów monitorowania i oceny jakości leczenia). **Organizacja procesu leczenia** dotyczy zasad prowadzenia i efektywności profilaktyki oraz leczenia chorób nowotworowych

(m.in. dotyczy prowadzenia programów badań przesiewowych, działań nakierowanych na ograniczenie opóźnień na różnych etapach diagnostyki i terapii). Wreszcie, **dostępność zasobów** systemu opieki onkologicznej obejmuje liczebność i możliwość wykorzystywania odpowiednich zasobów niezbędnych do prowadzenia procesu leczenia onkologicznego (w tym kadr lekarskich, sprzętu diagnostycznego oraz leków przeciwnowotworowych).

<sup>56</sup> OECD, Cancer Care. Assuring Quality to Improve Survival, OECD Health Policy Studies, 2013.

Nieco inną klasyfikację prezentują Foot i Harrison, dzieląc determinanty wysokości wskaźników przeżywalności wśród pacjentów onkologicznych na:

- ▶ Czynniki wpływające na późne (pod względem zaawansowania) zdiagnozowanie choroby i opóźnienia w leczeniu czy organizacji procesu leczenia,
- ▶ Stosowane środki terapeutyczne,
- ▶ Czynniki indywidualne po stronie pacjenta,
- ▶ Charakterystyki nowotworu<sup>57</sup>.

Warto odnotować, że w obu klasyfikacjach eksponowana jest rola zarówno czynników organizacyjnych po stronie systemu ochrony zdrowia, jak i dostępności oraz wykorzystywania odpowiednich środków terapeutycznych (w tym leków przeciwnowotworowych).

### Rysunek 5. Trzy grupy determinant skuteczności systemu opieki onkologicznej

Status systemu leczenia chorób nowotworowych w ramach narodowego systemu opieki zdrowia

- ▶ Funkcjonowanie centralnej strategii opieki onkologicznej
- ▶ Systemy monitorowania jakości leczenia
- ▶ Wydzielone środki finansowe
- ▶ Koordynacja procesu leczenia

#### Zarządzanie

#### Zasoby

Dostępność podstawowych zasobów kadrowych i materialnych

- ▶ PKB per capita
- ▶ Wydatki na ochronę zdrowia
- ▶ Sprzęt diagnostyczny
- ▶ Wykorzystanie innowacyjnych leków
- ▶ Kadry, centra kompleksowej opieki

Zasady prowadzenia i efektywność profilaktyki oraz leczenia chorób nowotworowych

- ▶ Programy badań przesiewowych
- ▶ Czas oczekiwania na badania
- ▶ Czas oczekiwania na leczenie
- ▶ Stosowanie optymalnych terapii

#### Procesy

Wyniki funkcjonowania systemu opieki onkologicznej (np. wskaźniki przeżywalności)

Źródło: EY na podstawie OECD, Cancer Care. Assuring Quality to Improve Survival, op.cit.

<sup>57</sup> Foot C, Harrison T, How to improve cancer survival. Explaining England's relatively poor rates, The King's Fund, 2011.

Czynniki należące do poszczególnych grup mają wobec siebie funkcje komplementarne. Ilościowa ocena relatywnego znaczenia wymienionych czynników, przeprowadzona na danych z wybranych krajów OECD, potwierdziła, że różnice występujące we wszystkich trzech obszarach stanowią istotne determinanty różnic w wysokości współczynników przeżywalności wśród pacjentów onkologicznych. Największą część<sup>58</sup>, bo prawie połowę różnic występujących między wartościami współczynników przeżywalności pacjentów

onkologicznych w poszczególnych krajach, samodzielnie objaśnia dostępność zasobów systemu opieki onkologicznej. Za około jedną trzecią różnic we współczynnikach przeżywalności odpowiadają zmienne należące do obszaru organizacji procesu leczenia. Z kolei różnice w zarządzaniu strategicznym systemu opieki onkologicznej wyjaśniają samodzielnie około jedną czwartą ogólnych różnic we współczynnikach przeżywalności pacjentów onkologicznych pomiędzy krajami.



---

<sup>58</sup> Podane wartości odpowiadają przeciętnym współczynnikom determinacji modeli (dla różnych rodzajów nowotworu), w których zmiennymi objaśniającymi wskaźniki przeżywalności były zmienne należące do wymienionych obszarów (zarządzanie, proces, zasoby).

## Kluczowe czynniki kształtujące wyniki leczenia onkologicznego

W każdym z wymienionych trzech obszarów kształtujących skuteczność systemu opieki onkologicznej można wskazać **szczególnie ważne elementy**. W obszarze **zarządzania**, jako istotne dla efektywności systemu opieki onkologicznej, wskazuje się szereg czynników, w tym:

- ▶ Istnienie systemu monitorowania jakości leczenia,
- ▶ Wykorzystanie jednolitych wytycznych dotyczących poszczególnych procesów opieki onkologicznej (badań przesiewowych, diagnostyki, terapii),
- ▶ Sposobu prowadzenia pacjentów (wykorzystanie zespołów lekarzy o różnych specjalnościach).

Z punktu widzenia **organizacji procesów** w systemie opieki onkologicznej istotne są **zasięg i efektywność programów badań przesiewowych**, które przyczyniają się do wykrywania chorób nowotworowych we wczesnym stadium<sup>59</sup>. Z kolei opóźnienia między kolejnymi etapami leczenia (badaniami wstępnymi, diagnozą i terapią) prawdopodobnie nie są krytyczne z punktu widzenia przeżywalności pacjentów<sup>60</sup>. Jeśli natomiast spojrzeć przez pryzmat **dostępności zasobów** ochrony zdrowia jako zmienne, wykazujące najsilniejszy związek z wyższymi współczynnikami przeżywalności, zostaną wskazane: **ogólny poziom wydatków na ochronę zdrowia, liczba tomografów**

Ogólny poziom wydatków na ochronę zdrowia



Liczba tomografów komputerowych na mieszkańca



Dostępność innowacyjnych terapii onkologicznych



<sup>59</sup> Gatta G i wsp., Understanding variations in survival for colorectal cancer in Europe: a EURO CARE high resolution study, Gut 2000, nr 47/4, str. 533-538; Sant M i wsp., Breast Carcinoma Survival in Europe and the United States. A Population-Based Study, CANCER 2004, 100(4), str. 715-722; Imperatori A i wsp. Lung cancer in Teesside (UK) and Varese (Italy): a comparison of management and survival, Thorax 2006, nr 61/3, str. 232-239; Weller DP, Campbell C, Uptake in cancer screening: a priority in cancer control, British Journal of Cancer 2009, nr 101, str. S55-S59; Van der Aa M i wsp. Mass screening programmes and trends in cervical cancer in Finland and the Netherlands, International Journal of Cancer 2008, nr 122, str. 1854-1858.

<sup>60</sup> Caplan L, Delay in breast cancer: implications for stage at diagnosis and survival, Frontiers in Public Health, 2014, nr 2.

**komputerowych na mieszkańca**<sup>61</sup> oraz **dostępność innowacyjnych terapii onkologicznych**. Niezależnie od powyższego, prowadzone były badania, mające na celu określenie związku między dostępnością leków innowacyjnych w leczeniu nowotworów a wyższymi wskaźnikami przeżywalności pacjentów onkologicznych.

Na przykład badania **opublikowane przez F. Lichtenberga** poruszają problematykę wpływu dostępności nowoczesnych terapii na poprawę wyników leczenia.

W badaniu dotyczącym amerykańskich pacjentów zwiększeniu dostępności nowych leków przeciwnowotworowych w latach 1975-1995 przypisuje się wzrost 5-letniego współczynnika przeżywalności o 5,8 p.p. oraz przyrost 10-letniego wskaźnika przeżywalności o 3,9 p.p. Autor zaznacza, że zwiększenie dostępności nowych leków onkologicznych mogło odpowiadać za 50-60% całkowitego przyrostu wskaźników przeżywalności w ciągu 6 lat od zdiagnozowania choroby nowotworowej<sup>62</sup>.

Badania tego samego autora<sup>63</sup> wskazują, że innowacje lekowe, innowacje dotyczące badań obrazowych oraz spadek współczynnika zachorowalności wyjaśniają spadek śmiertelności z powodu nowotworów w Stanach Zjednoczonych w latach 1996-2006 w około trzech czwartych. Z kolei ok. 27% tego spadku można przypisać innowacjom w zakresie wykorzystywanych leków. Podobne wnioski uzyskano dla innych krajów. Na przykład w analizie danych dotyczących francuskich pacjentów wykazano<sup>64</sup>, że większe obniżenie standaryzowanych współczynników śmiertelności dotyczyło tych rodzajów nowotworów, w przypadku których nastąpił większy wzrost wykorzystania nowych leków onkologicznych. W badaniu przeprowadzonym na danych zebranych z Kanady<sup>65</sup> wykazano natomiast, iż innowacje z lat 1985-96, które dotyczyły leków przeciwnowotworowych, znacząco zmniejszyły przedwczesną śmiertelność (tj. przed 75 r.ż.), która miałaby przypadać na lata 2000-2011<sup>66</sup>. Do podobnych wniosków doszedł Lichtenberg w analizie przeprowadzonej dla Słowenii<sup>67</sup>.

<sup>61</sup> OECD (2013) Cancer Care... cyt. Porównaj również: Evans BT, Pritchard C, Cancer survival rates and GDP expenditure on health: a comparison of England and Wales and the USA, Denmark, Netherlands, Finland, France, Germany, Italy, Spain and Switzerland in the 1990s, *Public Health*, 2000, nr 114, str. 336-339; Gatta G i wsp. Variation in Cancer Survival and Patterns of Care Across Europe: Roles of Wealth and Health-Care Organization, *JNCI Monographs* 2014, nr 46, str. 79-87.

<sup>62</sup> Lichtenberg F, *Pharmaceutical Innovation and Cancer Survival: U.S. and International Evidence*, artykuł zaprezentowany podczas ASSA Annual Meeting, Chicago 2007.

<sup>63</sup> Lichtenberg F, Has Medical Innovation Reduced Cancer Mortality? NBER Working Paper 15880, 2010.

<sup>64</sup> Lichtenberg F, The contribution of pharmaceutical innovation to longevity growth in Germany and France, 2001-2007, *Pharmacoeconomics* 30(3), 2012, str. 197-211.

<sup>65</sup> Lichtenberg F, The impact of pharmaceutical innovation on premature cancer mortality in Canada, 2000-2011, *International Journal of Health Economics and Management* 2015.

<sup>66</sup> Według autora innowacje w zakresie leków onkologicznych mają opóźniony wpływ na wskaźniki śmiertelności, między innymi ze względu na opóźnienie między momentem wprowadzenia nowego leku do użycia a rozpowszechnieniem jego zastosowania w terapii.

<sup>67</sup> Lichtenberg F, The impact of pharmaceutical innovation on premature mortality, cancer mortality, and hospitalization in Slovenia, 1997-2010, *Applied Health Economics and Health Policy*, 2015, nr 13/22 str. 207-222.

## Obecny stan czynników kształtujących polską onkologię

W Polsce podejmowane są działania nakierowane na poprawę efektywności systemu opieki onkologicznej. Odnoszą się one do większości obszarów wskazywanych jako kluczowe dla skuteczności zapobiegania i leczenia raka.

Zarządzanie strategiczne opieki onkologicznej jest częściowo realizowane przez Narodowy Program Zwalczania Chorób Nowotworowych oraz Strategię Walki z Rakiem (Polskie Towarzystwo Onkologiczne), a także powołanie Rady ds. Onkologii, organu doradczego Ministerstwa Zdrowia. Wśród działań mających na celu wspieranie innowacji w ochronie zdrowia można wymienić m.in. Program STRATEGMED realizowany pod auspicjami Narodowego Centrum Badań i Rozwoju, którego celem jest postęp w zwalczaniu chorób cywilizacyjnych – w tym chorób onkologicznych – oraz działania realizowane w ramach środków pozyskiwanych z Programu Innowacyjna Gospodarka.

W dalszym ciągu podnoszona jest jednak kwestia konieczności skonstruowania spójnej i kompletnej, narodowej strategii walki z nowotworami, która będzie zaakceptowana i wdrażana z poziomu centralnego.

Zostały również dostrzeżone wyzwania związane z efektywnością procesów w systemie opieki onkologicznej. Między innymi jest to długi czas oczekiwania na terapię. Działania podjęte w ramach tzw. pakietu onkologicznego zmierzają do usunięcia podstawowych przeszkód, które stoją przed pacjentem na drodze do podjęcia leczenia. Zmiany w rozporządzeniach Ministra Zdrowia, składających się na pakiet onkologiczny, przechodzą obecnie konsultacje publiczne<sup>68</sup>, między innymi pod kątem uwzględnienia zastrzeżeń środowiska onkologicznego, które widzi potrzebę dalszego usprawnienia procesu leczenia chorób nowotworowych.

---

Istotne ograniczenia skuteczności systemu opieki onkologicznej w Polsce leżą również po stronie adekwatności zasobów ochrony zdrowia. O dostępności zasobów opieki zdrowotnej decyduje m.in. wielkość środków znajdujących się w systemie ochrony zdrowia oraz efektywność ich wykorzystania.

---

Procent wydatków na ochronę zdrowia w Polsce należy do relatywnie niskich w porównaniu z pozostałymi krajami europejskimi i wynosi ok. 7% PKB (zarówno dla 2011 r., jak i 2012 r.), podczas gdy średnia z krajów UE kształtuje się na poziomie 10% (lata 2011 i 2012)<sup>69</sup>.

W porównaniu z analizowanymi krajami wydatki w Polsce zarówno na ochronę zdrowia, jak i na opiekę onkologiczną, są najniższe. Po uwzględnieniu różnic w sile nabywczej wydatki na opiekę onkologiczną na mieszkańca wynosiły:

- ▶ w Polsce 70 EUR,
- ▶ w Czechach 124 EUR,
- ▶ w Wielkiej Brytanii 154 EUR,
- ▶ w USA 323 EUR<sup>70</sup>.

---

<sup>68</sup> Zgodnie z informacjami Rządowego Centrum Legislacji, stan na 15.07.2015 r.

<sup>69</sup> Dane EUROSTAT 2011-2012r., Kraje wybrane do analizy porównawczej: Holandia, Francja, Niemcy, Austria, Belgia, Portugalia, Grecja, Szwecja, Hiszpania, Finlandia, Słowenia, Węgry, Słowacja, Bułgaria, Czechy, Luksemburg, Chorwacja, Polska, Litwa, Estonia, Rumunia.

<sup>70</sup> EY, Systemy opieki onkologicznej w wybranych krajach, kwiecień 2014.

Jednym z krytycznych obszarów jest dostępność zasobów ludzkich. Liczba onkologów<sup>71</sup> przypadających na 100 tys. mieszkańców w Polsce jest zbliżona do liczb, jakie kształtują się w pozostałych krajach europejskich. W 2011 r. na 100 tys. mieszkańców Polski przypadało średnio 2,8 onkologów, podczas gdy średnia ta z wybranych krajów europejskich wynosiła 2,9<sup>72</sup>. Dane te nie odzwierciedlają bezpośrednio liczby chorych przypadających na jednego lekarza. Przy prognozowanym wzroście zapadalności na choroby nowotworowe do ponad 185 tys. rocznie w najbliższej dekadzie, można spodziewać się wzrostu zapotrzebowania na onkologów. Przy niezmięniętej liczbie lekarzy o tej specjalizacji, liczba pacjentów przypadających na jednego lekarza o specjalności onkologicznej w ciągu roku może wzrosnąć z ok. 230 do ok. 260 pacjentów.

Kolejnym istotnym aspektem dotyczącym pośrednio zasobów ludzkich jest liczba specjalistycznych ośrodków onkologicznych. W polskim systemie opieki zdrowotnej działa 16 regionalnych ośrodków onkologii<sup>73</sup>, samodzielnych bądź funkcjonujących jako wydzielona część szpitali wielospecjalistycznych oraz 2 ośrodki akademickie w Gdańsku i Katowicach.

We Francji funkcjonuje 21 Centrów Walki z Nowotworami (niekomercyjnych, prywatnych instytutów), prowadzących badania naukowe, świadczących usługi opieki onkologicznej i kształcących kadry oraz sieć ośrodków leczenia nowotworów rzadkich, świadczących usługi niestandardowe, polegających na uznanych specjalistycznych zespołach i metodach badawczych oraz współpracujących w ramach klastrów z regionalnymi centrami doskonałości. Natomiast w Czechach działa 13 Kompleksowych Centrów Onkologicznych (CCC) funkcjonujących w większych miastach, 6 Centrów Hematologicznych oraz 2 Centra Onkologii Dziecięcej (ChCC)<sup>74</sup>. Obecnie w Polsce rozważana jest koordynacja działań ośrodków onkologicznych. Zgodnie z zapowiedzią Ministra Zdrowia planowane jest ustanowienie Narodowego Instytutu Raka, który miałby mocno wspierać aspekt profilaktyki nowotworowej, jako instytucja naukowo-doradcza, wytyczająca kierunki profilaktyki i wprowadzająca nowe technologie leczenia<sup>75</sup>.

<sup>71</sup> Lekarze ze specjalizacją w onkologii (w tym: onkologia kliniczna, chemioterapia, onkologia dziecięca i hematologia) z wyłączeniem chirurgii.

<sup>72</sup> Dane EUROSTAT 2011 r., Kraje wybrane do analizy porównawczej (w nawiasach podano liczbę onkologów w przeliczeniu na 100 tys. mieszkańców): Włochy (7,9), Irlandia (4,3), Belgia (3,9), Wielka Brytania (3,7), Łotwa (3,4), Estonia (2,8), Polska (2,8), Finlandia (2,8), Czechy (2,7), Litwa (2,3), Portugalia (2,1), Rumunia (2,0), Grecja (1,9), Bułgaria (1,3), Malta (1,2), Francja (1,1), Niemcy (0,8), Słowenia (0,8).

<sup>73</sup> Centra onkologiczne rozumiane jako ośrodki zajmujące się wyłącznie opieką nad pacjentami onkologicznymi, lokalizacje: Białystok, Bielsko-Biała, Bydgoszcz, Gdynia, Gliwice, Kielce, Kraków, Lublin, Łódź, Olsztyn, Opole, Poznań, Rzeszów, Szczecin, Warszawa, Wrocław.

<sup>74</sup> EY, Systemy opieki onkologicznej..., *op.cit.*

<sup>75</sup> <http://wyborcza.pl/1,91446,18376354,minister-zdrowia-o-planach-powolania-narodowego-instytutu-raka.html>

W obszarze aparatury medycznej zainwestowano do tej pory środki pochodzące z Narodowego Programu Zwalczenia Chorób Nowotworowych. Na realizację tego programu przeznaczono dotychczas prawie 2 mld PLN, z czego 75% stanowiły wydatki na środki majątkowe<sup>76</sup>. Ze sprawozdania za 2013 r. wynika, że na realizację programu przeznaczono 252,5 mln PLN, z czego niemalże 190 mln PLN na środki trwałe, a na profilaktykę niecałe 50 mln PLN (część tej kwoty zawiera się w środkach trwałych jako aparatura medyczna przeznaczona do profilaktyki chorób nowotworowych)<sup>77</sup>.

Dalsze działania dążące zarówno do optymalizacji dostępności sprzętu diagnostycznego i terapeutycznego, jak i zwiększenia liczebności personelu medycznego, wymagają opracowania wiarygodnych map potrzeb zdrowotnych. Natomiast już dziś można podjąć rzetelną dyskusję na temat dostępności innowacyjnych leków onkologicznych i ich skuteczności w walce z chorobami nowotworowymi. Jest to szczególnie istotne w kontekście wniosków wypływających z raportu EY opracowanego dla Fundacji Alivia. W dalszej części dokumentu zostaną omówione główne zagadnienia podkreślające ograniczoną dostępność innowacyjnych terapii onkologicznych w Polsce.



---

<sup>76</sup> Ministerstwo Zdrowia, Sprawozdania z realizacji Narodowego Programu Zwalczenia Chorób Nowotworowych za lata 2006, 2007, 2008, 2009, 2010, 2011, 2012, 2013; NIK, Informacja o wynikach kontroli realizacji wybranych zadań „Narodowego programu zwalczenia chorób nowotworowych” w latach 2006-2008 (I półrocze); NIK, Informacja o wynikach kontroli: Realizacja zadań „Narodowego programu zwalczenia chorób nowotworowych” w latach 2009-2013.

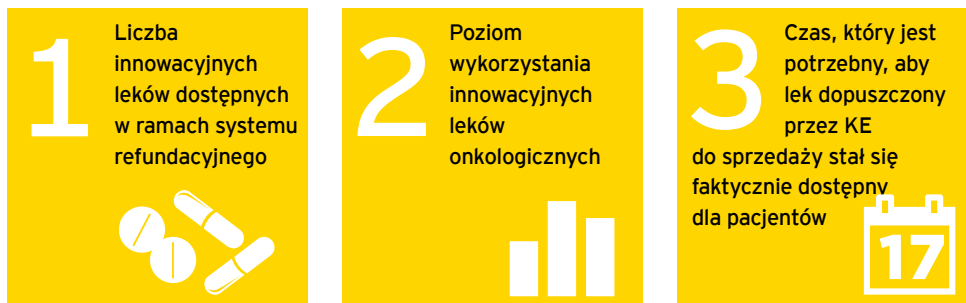
<sup>77</sup> Ministerstwo Zdrowia, Sprawozdanie z realizacji Narodowego Programu Zwalczenia Chorób Nowotworowych w 2013 r.



# Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce i innych krajach europejskich

Raport EY „Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii” poddaje analizie 30<sup>78</sup> innowacyjnych leków onkologicznych w 13 krajach europejskich. Wybrane leki były dopuszczone do obrotu na terytorium UE przez Komisję Europejską (KE) od roku 2004 oraz charakteryzowały się wysokim poziomem wykorzystania i wysoką wartością sprzedaży w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014<sup>79</sup>. Sytuacja w Polsce została przeanalizowana na tle: Austrii, Czech, Francji, Hiszpanii, Holandii, Niemiec, Rumunii, Słowacji, Szwajcarii, Węgier, Włoch oraz Wielkiej Brytanii.

W raporcie wykazano, że pacjenci w Polsce mają bardziej ograniczony dostęp do innowacyjnych terapii lekowych niż pacjenci w pozostałych, badanych krajach europejskich, biorąc pod uwagę dostępność definiowaną przez 3 obszary:



<sup>78</sup> 30 leków analizowanych we wspomnianym raporcie to: Abraxane, Adcetris, Afinitor, Alimta, Avastin, Dacogen, Erbitux, Halaven, Inlyta, Iressa, Jakavi, Jevtana, Kadcyła, Nexavar, Perjeta, Sprycel, Stivarga, Sutent, Tafinlar, Tarceva, Tassigna, Tyverb (Tykerb), Vectibix, Vidaza, Votrient, Xalkori, Yervoy, Yondelis, Zaltrap, Zelboraf.

<sup>79</sup> Wybrano 40 leków o największym wolumenie sprzedaży w kg w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014, a następnie wytypowano z tej listy 30 leków w oparciu o najwyższą wartość sprzedaży w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014.

### Liczba innowacyjnych leków dostępnych w ramach systemu refundacyjnego

Leki onkologiczne w Polsce są refundowane w ramach programów lekowych i chemioterapii definiowanych przez Ministerstwo Zdrowia. Terapia lekowa odbywa się z wykorzystaniem substancji czynnych, które nie są finansowane przez NFZ w ramach innych świadczeń gwarantowanych. Program lekowy określa: kryteria kwalifikacji pacjenta do leczenia, kryteria wyłączenia z programu, schemat dawkowania leków, sposób podawania leków oraz wykaz badań diagnostycznych niezbędnych do kwalifikacji pacjenta do programu oraz do późniejszego monitorowania leczenia. Kryteria włączenia do programu mają zazwyczaj charakter zawężający w stosunku do wskazań medycznych przyjętych przez Komisję Europejską, co w konsekwencji powoduje ograniczenie dostępności innowacyjnych metod terapii w Polsce.

W zobrazowaniu tej sytuacji może pomóc przykład pemetreksedu. Lek zawierający tę substancję czynną, zgodnie ze wskazaniami medycznymi przyjętymi przez KE, jest stosowany w terapii złośliwego międzybłoniaka opłucnej oraz miejscowego lub rozsianego niedrobnokomórkowego raka płuca. Leczenie międzybłoniaka opłucnej pemetreksedem jest w Polsce refundowane w ramach katalogu chemioterapii w zakresie wskazań przyjętych przez KE. Terapia niedrobnokomórkowego raka płuca jest dostępna w ramach programu lekowego. Program lekowy wskazuje jednak

dotatkowe warunki objęcia pacjenta leczeniem, które nie wynikają ze wskazań medycznych zawartych w decyzji KE o dopuszczeniu leku do obrotu:

- ▶ Pemetreksed, zgodnie ze wskazaniami programu lekowego oraz w zgodzie z wytycznymi przyjętymi przez KE, jest podawany w zaawansowanych stadiach choroby, sprecyzowanych w programie lekowym jako stadium IIIB i IV. Ponadto program lekowy wskazuje dodatkowe kryterium, które muszą spełnić pacjenci, aby zakwalifikować się do terapii. Pacjent musi wykazywać się sprawnością ocenioną w pięciostopniowej skali ECOG na poziomie 0 lub 1, co oznacza zdolność do pełnej aktywności, a w najgorszym przypadku możliwość samodzielnego poruszania się i wykonywania lekkiej pracy. W rzeczywistości jedynie niewielka część pacjentów zachowuje niemal całkowitą sprawność w zaawansowanych stadiach choroby. Należy podkreślić, że takie kryterium nie wynika ze wskazań przyjętych przez KE.
- ▶ Leczeniem preferowanym w stadium IIIB choroby nowotworowej jest radioterapia lub radiochemioterapia, co oznacza, że pacjent zostanie zakwalifikowany do leczenia pemetreksedem dopiero wtedy, gdy niemożliwe okaże się zastosowanie innych metod terapii.

Uwzględniając różnice w poziomie dostępności oraz decyzję refundacyjną, leki można podzielić następująco<sup>80</sup>:

## 1 Lek refundowany

Lek refundowany to lek, który został objęty refundacją, a warunki refundacji nie ograniczają grupy pacjentów, dla których dany środek może być stosowany w stosunku do zakresu wskazań przyjętych przez Komisję Europejską. Ponadto pacjent nie ponosi znaczących kosztów związanych z dostępem do leku w ramach systemu refundacyjnego.

## 2 Lek refundowany dostępny z ograniczeniami

Lek refundowany, dostępny z ograniczeniami to znaczy, że lek został objęty refundacją, ale warunki refundacyjne ograniczają grupę pacjentów, dla których dany lek może być stosowany w stosunku do zakresu wskazań przyjętych przez Komisję Europejską. Poza tym pacjent może ponosić znaczne koszty związane z dostępem do leku, ponieważ płatnik finansuje tylko niewielką część zakupu.

## 3 Lek nierefundowany

Lek nierefundowany - oznacza lek, który nie został objęty refundacją.

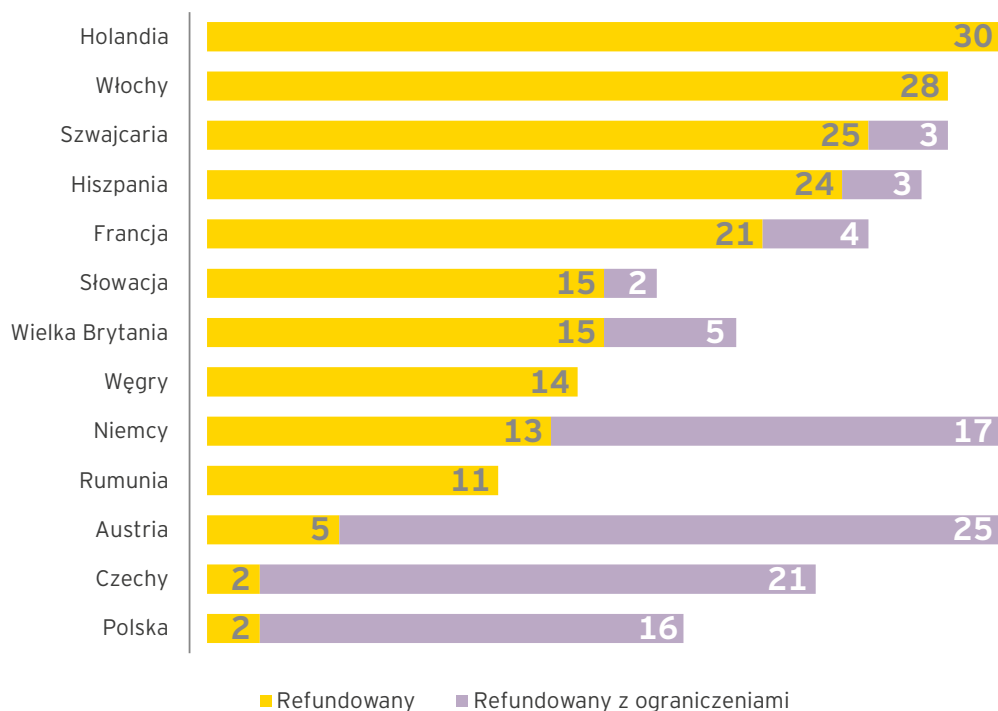
Posługując się tą terminologią można stwierdzić, że w styczniu 2015 r. polski system refundacyjny obejmował 18 z 30 analizowanych leków, z czego jedynie 2 produkty były dostępne bez ograniczeń wskazań medycznych (patrz: wykres 5). Jest to najniższa liczba innowacyjnych leków dostępnych bez ograniczeń w badanych 13 krajach. Kolejnych 16 leków było dostępnych w ramach programów lekowych, ale z zawężonymi zakresami wskazań medycznych w stosunku do wskazań zatwierdzonych przez Komisję Europejską.

Jednocześnie łączna liczba 18 refundowanych leków była jedną z najniższych w badanych krajach.



<sup>80</sup> EY, Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle..., *op.cit.*

**Wykres 5. Dostępność 30 innowacyjnych leków onkologicznych w systemach refundacyjnych. Stan na styczeń 2015 r.**



Źródło: EY, Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle..., op.cit.

W obwieszczeniu Ministra Zdrowia z 24 czerwca 2015 r. w sprawie wykazu refundowanych leków na liście znalazł się dodatkowo tylko jeden innowacyjny produkt onkologiczny (Tafinlar) spośród 30 analizowanych. Lek ten będzie refundowany od 1 lipca 2015 r. z ograniczeniami dotyczącymi wskazań medycznych.

## Wykorzystanie innowacyjnych leków onkologicznych

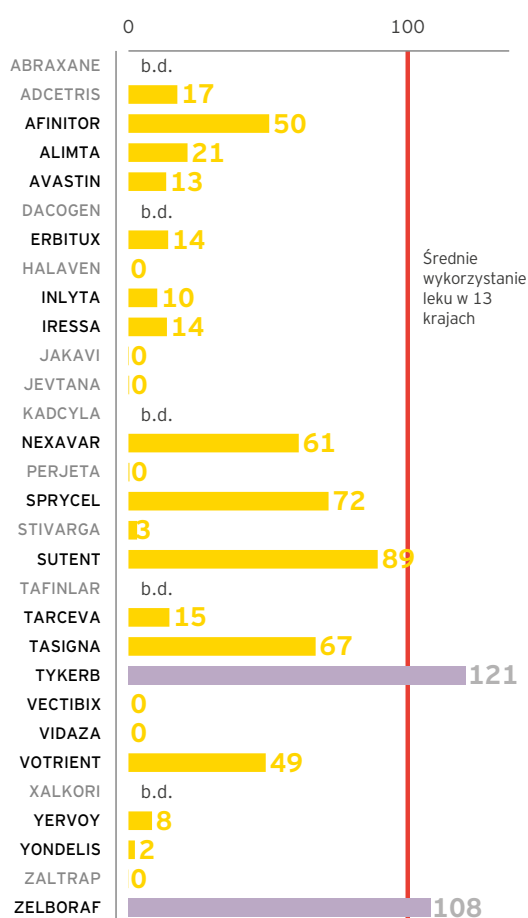
Wykorzystanie<sup>81</sup> innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce jest dużo niższe niż średnie wykorzystanie w analizowanych krajach europejskich. Z 18 leków objętych systemem refundacyjnym tylko w dwóch przypadkach stosowanie przekroczyło średnie wykorzystanie dla 13 analizowanych krajów europejskich. Dotyczyło to Tyverbu (Tykerb) - stosowanego w terapii raka piersi - oraz Zelborafu - stosowanego u chorych z nowotworem skóry. Dla 10 leków refundowanych wykorzystanie nie przekroczyło 25% średniej badanych krajów europejskich.

Przyczyną niewielkiego poziomu wykorzystania innowacyjnych leków w terapii onkologicznych w Polsce jest szeroki zakres ograniczeń wskazań medycznych przyjęty w ramach programów lekowych.

Zmniejsza to wydatki płatnika publicznego, ale również ogranicza liczbę pacjentów, którzy mogliby skorzystać z innowacyjnych metod terapii.

Porównanie średnich cen leków analizowanych w raporcie<sup>82</sup> wskazuje, że wynegocjowane przez Ministerstwo Zdrowia ceny, w przypadku większości produktów, są niższe niż średnie ceny w pozostałych krajach europejskich. Stwarza to możliwość zastosowania mniej restrykcyjnego podejścia przy tworzeniu kryteriów programu lekowego, bardziej koncentrującego się na korzyściach klinicznych innowacyjnych leków onkologicznych.

**Wykres 6. Porównanie poziomu wykorzystania leków w Polsce w stosunku do 13 krajów (100=średni poziom wykorzystania leku w 13 krajach\*), w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014**



\*) 13 krajów obejmuje: Czechy, Francję, Niemcy, Holandię, Słowację, Hiszpanię, Wielką Brytanię, Włochy, Austrię, Węgry, Polskę, Rumunię i Szwajcarię

ABRAXANE - nazwy leków wyróżnione kolorem szarym oznaczają leki nierefundowane w Polsce w styczniu 2015 r.

b.d. - brak danych

Źródło: EY, Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle..., op.cit.

<sup>81</sup> Wykorzystanie jest mierzone wysokością wolumenu sprzedaży. Wolumeny sprzedaży zostały poddane standaryzacji w celu odzwierciedlenia wielkości populacji chorych w badanych krajach.

<sup>82</sup> EY, Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle..., op.cit.

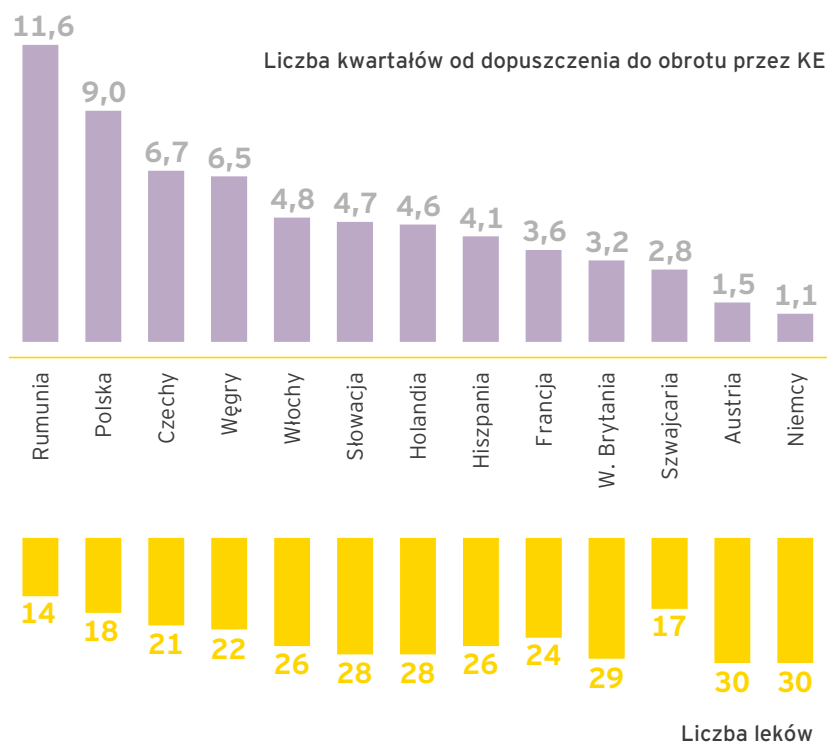
## Czas oczekiwania pacjentów na dostęp do innowacyjnych leków

Istotnym kryterium w ocenie dostępności leków innowacyjnych jest również czas, w którym terapia staje się powszechnie stosowanym schematem leczenia. W raporcie poddano analizie długość okresu od momentu dopuszczenia do obrotu przez Komisję Europejską do osiągnięcia rozpoznawalnego<sup>83</sup> poziomu wykorzystania leku w danym kraju. Można to również interpretować jako moment, w którym dany lek po raz pierwszy trafił na listy refundacyjne. W przypadku Polski czas ten wynosi ponad 2 lata (11,6 kwartału) i jest to drugi najdłuższy okres oczekiwania

w analizowanych krajach (na ostatniej pozycji znalazła się Rumunia z 3-letnim czasem oczekiwania).

Dostęp do innowacyjnych terapii lekowych najszybciej uzyskują pacjenci z krajów wysoko rozwiniętych, w których system opieki onkologicznej działa kompleksowo, obejmując zarówno inwestycje w programy profilaktyczne, aparaturę medyczną, jak i dostęp do innowacyjnych leków w ramach systemów refundacyjnych.

**Wykres 7. Średni czas (w kwartałach) od dopuszczenia do obrotu przez KE do osiągnięcia rozpoznawalnego poziomu wykorzystania dla innowacyjnych leków**



Liczba kwartałów została określona tylko dla leków, których sprzedaż osiągnęła rozpoznawalny poziom.

Źródło: Dane PADDs IMS MIDAS Q3/2014, opracowanie własne EY

<sup>83</sup> Rozpoznawalny poziom sprzedaży definiowany jest jako 3% wolumenu sprzedaży 3 krajów wiodących w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014. Kraje wiodące to kraje, które w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014 uzyskały największy wolumen sprzedaży danego leku.



A hand wearing a blue nitrile glove is holding a large quantity of yellow, oval-shaped tablets. The hand is positioned over a metal tray, which is part of a larger medical or pharmaceutical setting. The background is dark and out of focus, showing some metallic surfaces and a circular object, possibly a scale or a container. The lighting is dramatic, highlighting the texture of the gloves and the individual tablets.

Rozdział

# SZÓSTY

Istotność  
kliniczna korzyści  
terapeutycznych leków  
przeciwnowotworowych



Wyniki badań klinicznych są potwierdzeniem, że innowacyjne, onkologiczne terapie lekowe poprawiają efekty leczenia w porównaniu ze standardowymi metodami leczenia. Analizie poddano wyniki badań klinicznych 30 innowacyjnych leków onkologicznych<sup>84</sup>, o największym wolumenie sprzedaży oraz największej wartości sprzedaży<sup>85</sup> w wybranych 13 krajach europejskich<sup>86</sup>. Wszystkie leki zostały dopuszczone do obrotu na terytorium Unii Europejskiej przez Komisję Europejską po roku 2004. Badania kliniczne, których wyniki przedstawiono, zostały zamieszczone w odpowiednich charakterystykach produktów leczniczych zatwierdzonych przez Komisję Europejską.

Skuteczność innowacyjnych terapii lekowych została opisana w kontekście poszczególnych typów nowotworów. W szczególności zwrócono uwagę na wpływ leków na wydłużenie czasu życia pacjentów lub podniesienie komfortu życia w trakcie terapii. Wśród kluczowych wskaźników opisujących wpływ leku na pacjentów i tym samym efektywność terapii lekowej można wymienić:

<sup>84</sup> Wybrano leki z grupy ATC L01 - Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące: cytostatyki niebędące lekami generycznymi ani biosimilarami. Wybrane leki zostały opisane w raporcie: EY, Dostępność innowacyjnych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii, kwiecień 2015.

<sup>85</sup> Wolumen i wartość sprzedaży w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014 na podstawie danych z bazy PADDs IMS MIDAS III kw. 2014.

<sup>86</sup> Analizy przeprowadzono dla Polski oraz 12 wybranych krajów europejskich: Austrii, Czech, Francji, Hiszpanii, Holandii, Niemiec, Rumunii, Słowacji, Szwajcarii, Węgier, Włoch oraz Wielkiej Brytanii

### 1 Całkowity czas przeżycia (OS - overall survival)

Wpływ produktu leczniczego na długość życia pacjenta w badaniach klinicznych jest najczęściej podawany jako mediana całkowitego czasu przeżycia (mediana OS). Czas całkowitego przeżycia jest mierzony od rozpoczęcia leczenia w ramach badania do zgonu pacjenta.

### 2 Czas przeżycia wolny od progresji choroby (PFS - progression-free survival)

Oznacza czas od rozpoczęcia leczenia do wystąpienia progresji lub zgonu.

### 3 Odpowiedź na leczenie (response rate)

Odpowiedź na leczenie jest oceniana przez dokładny pomiar zmian chorobowych powtarzany w określonych odstępach czasu. Można wyróżnić: odpowiedź całkowitą (CR - complete response), odpowiedź częściową (PR - partial response), stabilizację choroby (SD - stable disease) oraz progresję choroby (PD - progressive disease). Istnieje kilka rodzajów definicji poszczególnych typów odpowiedzi, jednak najczęściej stosowana jest klasyfikacja wg skali RECIST<sup>87</sup>, przedstawiona w tabeli 3.

<sup>87</sup> RECIST - Response Evaluation Criteria In Solid Tumours. Inną popularną skalą służącą do określania odpowiedzi na leczenie jest skala WHO.

Wskaźnikiem związanym z odpowiedzią na leczenie jest m.in. wskaźnik obiektywnej odpowiedzi (ORR - objective response rate), który podaje łączną częstość występowania częściowych i całkowitych odpowiedzi według kryteriów RECIST<sup>88</sup>.

---

**Tabela 3. Klasyfikacja odpowiedzi na leczenie wg skali RECIST**

Rodzaj odpowiedzi	Definicja wg klasyfikacji RECIST
Całkowita odpowiedź (CR - complete response)	Ustąpienie wszystkich zmian chorobowych*
Częściowa odpowiedź (PR - partial response)	Zmniejszenie o $\geq 30\%$ sumy wymiarów wszystkich zmian docelowych
Stabilizacja choroby (SD - stable disease)	Odpowiedź nie spełnia kryteriów CR i PR oraz PD
Progresja choroby (PD - progressive disease)	Zwiększenie o $\geq 20\%$ sumy wymiarów zmian docelowych lub wystąpienie nowych zmian

\*Wybrane zmiany nowotworowe reprezentujące wszystkie zajęte narządy ( $\leq 5$  w 1 narządzie i  $\leq 10$  ogółem) o największej średnicy i nadającej się do dokładnych, powtarzalnych pomiarów

Źródło: Szczeklik A, Leczenie nowotworów, [w:] Choroby wewnętrzne, Medycyna Praktyczna, Kraków 2011

---

<sup>88</sup> Płuzański A, Słownik terminów onkologicznych, [w:] Gastroenterologia Kliniczna 2010, tom 2, nr 4, 117-120. Podana definicja jest zgodna z zaleceniami FDA dotyczącymi punktów końcowych w badaniach klinicznych: FDA, Guidance for Industry Clinical Trial Endpoints for the Approval of Cancer Drugs and Biologics, maj 2007.

Opisane miary służące określeniu efektywności terapii lekowej przeanalizowano pod kątem poszczególnych typów nowotworów, które są wskazaniem do stosowania analizowanych 30 leków. Korzyść kliniczna została pokazana jako minimalny i maksymalny możliwy do uzyskania przyrost OS, PFS i ORR, wynikający ze stosowania schematu leczenia innowacyjnym produktem w porównaniu z terapią innym lekiem przeciwnowotworowym.

Poniżej dokonano analizy wyników badań klinicznych 30 innowacyjnych leków onkologicznych w podziale na poszczególne typy nowotworów<sup>89</sup>:

- ▶ nowotwór płuc,
- ▶ nowotwór jelita grubego,
- ▶ nowotwór piersi,
- ▶ nowotwór trzustki,
- ▶ nowotwór nerek,
- ▶ białaczka,
- ▶ nowotwory jajników i jajowodu,
- ▶ czerniak,
- ▶ pozostałe typy nowotworów.

W tabeli 4 przedstawiono epidemiologię nowotworów w wymienionych grupach terapeutycznych w 2012 roku w Polsce.

**Tabela 4. Zachorowania i zgony spowodowane poszczególnymi typami nowotworów w Polsce w 2012 r.**

Typy nowotworów	Liczba zachorowań (w tys. osób)	Liczba zgonów (w tys. osób)
Nowotwory płuc (C34)	21,8	22,6
Nowotwory jelita grubego (C18-C21)	17,0	11,2
Nowotwory piersi (C50)	17,0	5,6
Nowotwory trzustki (C25)	3,6	4,8
Nowotwory nerek (C64-C65)	5,1	2,7
Białaczka (C91-C95)	3,0	2,6
Nowotwory jajników i jajowodu (C56)	3,5	2,4
Czerniak (C43)	3,1	1,3
Pozostałe typy nowotworów*	28,3	17,7

\*Nowotwory głowy i szyi: C00-C14, C30-C33; nowotwór gruczołu krokowego: C61; nowotwór szyjki macicy: C53; nowotwór tarczycy: C73; nowotwór wątroby: C22. nowotwory podścieliska przewodu pokarmowego: C15-C17, C48; mięsaki tkanek miękkich: C48-C49.

Źródło: Opracowanie własne EY na podstawie: KRN, Nowotwory złośliwe w Polsce w 2012 roku, Warszawa 2014.

<sup>89</sup> Typy nowotworów, dla których dostępne było tylko jedno badanie kliniczne, zostały umieszczone w grupie „Pozostałe”.

Analiza wyników badań klinicznych wybranych leków onkologicznych jest potwierdzeniem, że możliwe jest uzyskanie korzyści płynących z zastosowania tych leków: wydłużenie całkowitego przeżycia pacjentów, zwiększenie czasu wolnego od progresji choroby oraz częstsze uzyskiwanie całkowitych i częściowych odpowiedzi na leczenie. Osiągane korzyści różnicują się m.in. w zależności od rodzaju nowotworu, jego stadium zaawansowania, stosowanych uprzednio schematów leczenia oraz innych leków stosowanych w terapii.

Leki, które oferują zbliżony do standardowych terapii wzrost mediany OS, zazwyczaj wykazują korzyść pod względem znacznego wydłużenia mediany PFS lub osiągnięcia wyższej wartości odsetka obiektywnych odpowiedzi.

W tabeli 5 przedstawiono skuteczność kliniczną innowacyjnych leków w poszczególnych obszarach terapeutycznych. Korzyść została przedstawiona jako maksymalny i minimalny przyrost wskaźników OS, PFS i ORR w stosunku do tradycyjnych metod terapii. Prezentowane wyniki są osiągnięte dla określonych grup pacjentów w ramach populacji chorych na nowotwór danego typu.



**Tabela 5. Skuteczność kliniczna innowacyjnych leków**  
w poszczególnych typach nowotworów pokazana jako różnica między wartością wskaźnika uzyskaną w przypadku terapii lekiem innowacyjnym a wartością uzyskaną w przypadku stosowania innej metody terapii

Typy nowotworów	Wzrost mediany OS w stosunku do terapii standardowej (min-max) miesiące	Wzrost mediany PFS w stosunku do terapii standardowej (min-max) miesiące	Wzrost ORR w stosunku do terapii standardowej (min-max) pp.	Liczba leków*
Nowotwory płuca	0,4-3,7	0,3-5,3	0,3-45,0	6
Nowotwory jelita grubego	1,3-7,5	0,2-6,2	1,5-29,3	5
Nowotwory piersi	1,6-15,7	0,9-6,9	10,9-27,6	6
Nowotwory trzustki	0,4-6,3	1,8-8,0	16,0**	3
Nowotwory nerek	0,9-3,9	2,1-5,6	10,0-18,9	4
Białaczka	2,7-9,4	1,6**	10**	2
Nowotwory jajników i jajowodu	0,7-3,3	2,4-3,7	9,8-21,1	1
Czerniak	2,6-4,0	4,2-5,2	35,0-42,9	3
Pozostałe typy nowotworów***	2,4-19,7	1,4-3,9	8,8-16,1	5

\* Liczba leków ze wskazaniem stosowania w danym typie nowotworów. Część z 30 analizowanych leków obejmuje kilka typów nowotworów.

\*\* Przyrost wskaźnika w stosunku do terapii standardowej podany tylko dla jednego dostępnego badania klinicznego.

\*\*\* Pozostałe typy nowotworów: nowotwory głowy i szyi, nowotwór gruczołu krokowego, nowotwór szyjki macicy, nowotwór tarczycy, nowotwór wątroby. Nie uwzględniono 2 leków mających zastosowanie w leczeniu chłoniaków (chłoniaka Hodgkina i chłoniaków nieziarnicznych) oraz powiększenia śledziona przy włóknieniu szpiku oraz wskazań: nowotwór tarczycy i nowotwór wątroby, ponieważ zostały wskazane jedynie badania jednoramienne lub badania z podaniem wyłącznie placebo w grupie kontrolnej.

Źródło: Opracowanie własne EY na podstawie danych EMA

Udowodniono, że innowacyjne leki przeciwnowotworowe we wszystkich przedstawionych typach nowotworów wykazują się większą skutecznością niż tradycyjne metody

terapii w zakresie całkowitego czasu przeżycia, opóźnienia progresji choroby oraz zwiększenia odpowiedzi na leczenie.

## Wyniki dotyczące całkowitego czasu przeżycia (OS)

Najkorzystniejsze wydłużenie całkowitego czasu przeżycia jest możliwe do osiągnięcia w przypadku terapii nowotworów głowy i szyi, zakwalifikowanych do grupy pozostałych typów nowotworów. Innowacyjne leki pozwalają na zwiększenie mediany OS nawet o 19,7 miesiąca w stosunku do tradycyjnych metod terapii. Wysoką skuteczność w tym zakresie osiągają także produkty stosowane w leczeniu nowotworu piersi, gdzie następuje zwiększenie mediany nawet o 15,7 miesiąca. Wzrost mediany OS o więcej niż 6 miesięcy uzyskano w terapii białaczki (9,4 miesiąca) oraz nowotworu jelita grubego (7,5 miesiąca), nowotworu trzustki (6,3 miesiąca).

## Wyniki dotyczące czasu przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS)

Wśród analizowanych leków największe wydłużenie czasu do progresji choroby odnoszą leki stosowane w terapii nowotworów trzustki, gdzie możliwe jest wydłużenie mediany PFS nawet o 8 miesięcy w porównaniu ze standardowym schematem leczenia. Wzrost mediany o więcej niż 6 miesięcy uzyskano w terapii nowotworu piersi (6,9 miesiąca) i nowotworów jelita grubego (6,2 miesiąca).

## Wyniki dotyczące odsetka obiektywnej odpowiedzi na leczenie (ORR)

O skuteczności terapii innowacyjnych świadczy także wzrost odsetka obiektywnych odpowiedzi (ORR). Na przykład w przypadku nowotworów płuc jest możliwa poprawa odpowiedzi na leczenie nawet o 45pp. w porównaniu z innymi schematami leczenia, zaś w terapii czerniaka - nawet o 42,9pp. Wzrost ORR powyżej 20pp. uzyskano w leczeniu nowotworów jelita grubego (29,3pp.), nowotworu piersi (27,9pp.) oraz nowotworu jajników (21,1pp.).

### Terapia nowotworów głowy i szyi

Innowacyjne leki pozwalają na zwiększenie

mediany OS nawet o

**19,7** miesiąca



w stosunku do tradycyjnych metod terapii

### Terapia nowotworów trzustki

wydłużenie mediany PFS nawet o

**8** miesięcy



w porównaniu ze standardowym schematem leczenia

### Terapia nowotworów płuc

poprawa odpowiedzi na leczenie

**45pp.**



w porównaniu ze standardowym schematem leczenia

## Podsumowanie

---

Analiza wyników badań klinicznych przeprowadzonych dla 30 innowacyjnych leków przeciwnowotworowych wykazała, że schematy leczenia z zastosowaniem tych produktów cechują się wyższą skutecznością niż standardowe schematy leczenia. Wielkość uzyskiwanych korzyści jest jednak zróżnicowana, w zależności od rodzaju nowotworu, jego stadium, stosowanych uprzednio schematów leczenia oraz stosowania innych leków w obecnej terapii.

---

Do analizy wybrano leki, które są powszechnie stosowane w terapii nowotworów w Europie<sup>90</sup>, o czym świadczą dane dotyczące zarówno wolumenów, jak i wartości sprzedaży, przedstawione w raporcie EY „Dostępność innowacyjnych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii”. Ponadto wymienione produkty lecznicze są szerzej refundowane w krajach UE niż w Polsce - zarówno pod kątem liczby leków, jak i samego zakresu wskazań objętych refundacją (patrz rozdz. 5).

Elementem, na który szczególnie należy zwrócić uwagę, są mechanizmy finansowania innowacyjnych terapii stosowane w krajach, gdzie dostęp do leków onkologicznych jest mniej ograniczony niż w Polsce. Interesujące rozwiązania w tym obszarze dotyczą samego procesu refundacyjnego oraz funkcjonowania systemu refundacji czy alokacji budżetu na poszczególne obszary terapeutyczne. Przykłady sposobów finansowania innowacyjnych leków onkologicznych w wybranych krajach europejskich zostały opisane w rozdziale 7.

---

<sup>90</sup> EY, Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii, kwiecień 2015; Analizy przeprowadzono dla Polski oraz 12 wybranych krajów europejskich: Austrii, Czech, Francji, Hiszpanii, Holandii, Niemiec, Rumunii, Słowacji, Szwajcarii, Węgier, Włoch oraz Wielkiej Brytanii.

Rozdział

# siódmy

Przykłady rozwiązań  
dotyczących opieki  
onkologicznej w innych  
krajach



Wyniki badań klinicznych, a także wnioski wpływające z analizy determinant skuteczności opieki onkologicznej w Polsce prowadzą do rozważań dotyczących poprawy dostępności innowacyjnych leków onkologicznych dla polskich pacjentów. Źródłem inspiracji do zaprojektowania rozwiązania dla Polski stanowiły analizy systemów ochrony zdrowia, a szczególnie podejście do leczenia onkologicznego w wybranych krajach europejskich. OECD wyróżnia 6 grup krajów, które charakteryzuje podobny system opieki zdrowotnej. Przykłady krajów reprezentujące poszczególne typy systemów przedstawia rysunek 6.

Sam typ systemu opieki nie implikuje przewag lub słabości wobec innych systemów, tzn. nie można wykazać, że niektóre rozwiązania systemowe są lepsze od innych, jednak porównanie systemów w ramach jednej grupy pozwala już na określenie mocnych i słabych stron rozwiązań stosowanych w danych krajach.

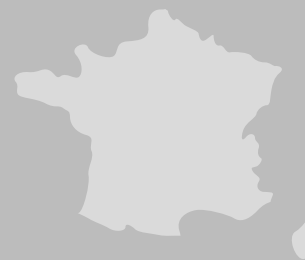
Analizie poddano systemy opieki onkologicznej funkcjonujące w Belgii, Francji, Norwegii i Wielkiej Brytanii. Wybrano kraje, które z punktu widzenia klasyfikacji OECD charakteryzują się podobnym do polskiego systemem opieki zdrowotnej (Wielka Brytania i Norwegia) oraz kraje, których system funkcjonuje na bazie ubezpieczeń prywatnych, jednak uznaje się, że opieka onkologiczna charakteryzuje się wysokim poziomem leczenia (Francja i Belgia).

## Rysunek 6. Przykłady krajów o podobnych uwarunkowaniach instytucjonalnych ochrony zdrowia

System ochrony zdrowia wg OECD



Źródło: OECD 2010



# Francja

System opieki onkologicznej we Francji charakteryzuje rozdział funkcji płatników, regulatora i instytucji koordynującej opiekę onkologiczną. Wśród kluczowych podmiotów zaangażowanych w opiekę onkologiczną należy wymienić:

- ▶ **Ministerstwo Spraw Społecznych i Zdrowia**  
Regulator systemu opieki zdrowotnej we Francji.
- ▶ **Krajowa Kasa Ubezpieczenia Zdrowotnego Pracowników Najemnych (i ich rodzin)**<sup>91</sup>  
Główny płatnik systemu opieki zdrowotnej, który swoim zasięgiem obejmuje 90% populacji. Pozostała część obywateli jest obsługiwana przez innych ubezpieczycieli, zarówno prywatnych, jak i publicznych.
- ▶ **Narodowy Instytut Onkologiczny (INCa)**  
Koordynator systemu opieki onkologicznej. INCa zajmuje się wydawaniem rekomendacji dotyczących dobrych praktyk onkologicznych, badaniami klinicznymi, działaniami z zakresu prewencji i promocji zdrowia.

Francja posiada Narodowy Plan Zwalczenia Chorób Nowotworowych. Pierwszy dokument został opracowany na lata 2003-2007. Obecny Plan obowiązuje na lata 2014-2019 i na jego realizację przeznaczono 1,5 mld EUR.

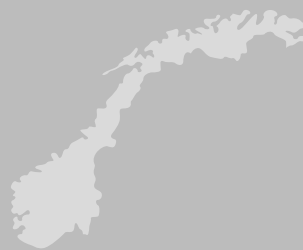
Terapia onkologiczna przebiega zgodnie ze spersonalizowaną, modelową ścieżką leczenia pacjenta - od fazy diagnozy do fazy pochorobowej.

System refundacji leków we Francji opiera się na następujących założeniach:

- ▶ Leki refundowane umieszczone są na dwóch ogólnokrajowych listach, z których jedna obejmuje leki dostępne w aptekach, a druga leki dostępne jedynie w lecznictwie szpitalnym.
- ▶ Pacjenci dokonują współpłacenia za leki ogólnodostępne w aptekach. Kwota odpłatności jest ustalana przy podejmowaniu decyzji refundacyjnej i jest uzależniona od korzyści klinicznej leku. Korzyść kliniczna leku oceniana jest za pomocą pięciostopniowej klasyfikacji ASMR, gdzie ASMR I oznacza znaczną korzyść kliniczną, a ASMR V brak korzyści klinicznej. Lek zaklasyfikowany jako ASMR V może być refundowany tylko jeżeli jego cena jest niższa niż pozostałych produktów refundowanych w danym wskazaniu medycznym,
- ▶ W ramach lecznictwa szpitalnego, leki onkologiczne wpisane na listę refundacyjną są refundowane w 100%.
- ▶ Produkty medyczne stosowane w lecznictwie szpitalnym są refundowane w ramach Jednorodnych Grup Pacjentów.
- ▶ Leki drogie i innowacyjne są umieszczone na specjalnej liście refundacyjnej T2A. Ich użycie było rozliczane poza systemem JGP, więc ponoszony przez szpital koszt nie wliczał się do globalnego kosztu JGP. Obecnie, po zmianach prawnych związanych z wdrożeniem planu oszczędnościowego dla szpitali, koszt leków z listy T2A jest wliczany częściowo do globalnego kosztu JGP.
- ▶ Produkty innowacyjne oczekujące na wpisanie na listę refundacyjną są finansowane z funduszy na badania i rozwój.

<sup>91</sup> Fr. Caisse Nationale d'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés (CNAMTS).

## Norwegia



Norweski system opieki zdrowotnej jest zdecentralizowany i funkcjonuje na kilku poziomach: centralnym, regionalnym, okręgowym i gminnym. Koszty opieki są dzielone między poszczególnymi szczeblami w zależności od rodzaju świadczeń. W systemie ochrony zdrowia dominują publiczni świadczeniodawcy i ubezpieczyciele. Wśród kluczowych podmiotów znajdują się:

- ▶ **Ministerstwo Zdrowia i Usług Opieki**  
Regulator systemu opieki zdrowotnej.
- ▶ **System Ubezpieczenia Społecznego (NIS)**  
Główny płatnik systemu opieki zdrowotnej. NIS jest zarządzany przez Dyrektoriat Zdrowia.
- ▶ **W Norwegii nie ma jednej centralnej instytucji odpowiedzialnej za koordynację opieki onkologicznej.**  
Za poszczególne jej obszary, jak np. prowadzenie Rejestru Chorób Nowotworowych, odpowiadają różne instytucje.

Norwegia należy do krajów, które najwcześniej zdecydowały się stworzyć Narodowy Plan Zwalczania Chorób Nowotworowych (już w 1977 r.). Obecny Plan przewiduje jedynie standardowe źródła finansowania opieki onkologicznej, jednak przez pierwsze 5 lat funkcjonowania alokowano 625 mln EUR na inwestycje w sprzęt dla szpitali, edukację oraz poszerzone zastosowanie radioterapii.

Pacjenci onkologiczni są leczeni w ramach modelowej ścieżki pacjenta – od momentu diagnozy do fazy pochorobowej. W trakcie terapii pacjent jest poddawany konsultacjom z zespołem interdyscyplinarnym, z uwagi na cel włączenia pacjentów i ich krewnych w proces decyzyjny.

System refundacji leków w Norwegii opiera się na następujących założeniach:

- ▶ Leki ogólnodostępne w aptekach są finansowane z budżetu centralnego. Decyzję o refundacji (oprócz leków dostępnych na tzw. H-receptę) podejmuje Norweska Agencja Leków. Produkty ocenione pozytywnie trafiają na ogólną listę refundacyjną i są finansowane z budżetu centralnego. Leki OTC nie są refundowane.
- ▶ Leki o przeznaczeniu szpitalnym są finansowane z budżetów poszczególnych szpitali.
  - ▶ W przypadku produktów tego rodzaju, Norweska Agencja Leków przygotowuje jedynie ocenę korzyści i wpływu na budżet szpitala.
  - ▶ W oparciu o te informacje, cztery centra regionalne decydują, czy umieścić dany produkt na swojej liście leków rekomendowanych do refundacji.
  - ▶ Ostateczną decyzję refundacyjną podejmuje szpital (Komitet do spraw terapii i farmaceutyków), który dysponuje budżetem refundacyjnym. Każdy szpital ma stworzoną własną listę substancji refundowanych. Lekarz może podjąć decyzję o leczeniu pacjenta substancją spoza listy, jednak musi uzasadnić swoją decyzję, aby terapia mogła zostać sfinansowana w konkretnym przypadku.
- ▶ Szpitale refundują także terapie lekami, które są niezbędne do kontynuowania leczenia po hospitalizacji. Recepty wydawane na tego rodzaju leki nazywane są H-receptami. W ten sposób są finansowane również niektóre leki przeciwnowotworowe (tzw. oral cancer drugs).

# Belgia



System ochrony zdrowia w Belgii jest w głównej mierze finansowany ze środków ubezpieczenia społecznego, podatków oraz współpłaty ze strony pacjentów. Wśród kluczowych podmiotów znajdują się:

- ▶ **Ministerstwo Spraw Społecznych i Ochrony Zdrowia**  
Regulator systemu.
- ▶ **Narodowy Instytut Ubezpieczenia Zdrowotnego (INAMI/RIZIV)**  
Płatnik systemu opieki zdrowotnej.
- ▶ **Narodowe Centrum Leczenia Nowotworów (Centre du cancer/Kankercentrum)**  
Koordynator systemu opieki onkologicznej. Centrum zajmuje się działaniami z zakresu realizacji i oceny polityki państwa w zakresie nowotworów oraz formułowaniem założeń i wskaźników wykonania Narodowego Planu Zwalczenia Chorób Nowotworowych.

Ochrona zdrowia w Belgii funkcjonuje na poziomie centralnym i lokalnym. Instytucje szczebla centralnego, jak Ministerstwo Spraw Społecznych i Ochrony Zdrowia oraz INAMI/RIZIV, są odpowiedzialne za kwestie związane z regulacjami prawnymi, akredytacją szpitali, finansowaniem oraz rejestracją usług i wyrobów medycznych. Na szczeblu lokalnym, w poszczególnych regionach Belgii, funkcjonuje 6 funduszy ochrony zdrowia, które odpowiadają głównie za działania związane z promocją zdrowia, implementację standardów opieki oraz finansowanie inwestycji w szpitale.

Pierwszy Narodowy Plan Zwalczenia Chorób Nowotworowych w Belgii uchwalono na lata 2008-2010 i zakładał utworzenie Narodowego Centrum Leczenia Nowotworów.

Terapia pacjenta onkologicznego przebiega zgodnie z modelową ścieżką leczenia. Dużą rolę w rodzaju i przebiegu leczenia odgrywają również interdyscyplinarne zespoły specjalistów (MDT).

System refundacyjny bazuje na następujących założeniach:

- ▶ Pacjenci dokonują współpłaty za leki, zarówno te ogólnodostępne w aptekach, jak i te dostępne jedynie w lecznictwie szpitalnym.
- ▶ Współpłata w zakresie leków o przeznaczeniu szpitalnym, w tym onkologicznym, liczona jest w zależności od długości pobytu w szpitalu i wynosi ok 0,6 EUR za dzień.
- ▶ Innowacyjne leki onkologiczne związane wyłącznie z medycyną precyzyjną stanowią ok 5% obecnych wydatków na leki, jednak planowane jest zwiększenie udziału wydatków w tym obszarze do 8,9% a nawet 9,5% całkowitego budżetu do roku 2020.
- ▶ Jeśli dany produkt leczniczy nie został objęty refundacją, pacjent może wnioskować o sfinansowanie terapii z tzw. Special Solidarity Fund (SSF):
  - ▶ Budżet Funduszu wyniósł ok. 12 mln euro w roku 2013.
  - ▶ SSF służy finansowaniu wydatków na leczenie rzadkich chorób, wskazań lub stosowania w terapii substancji i metod innowacyjnych, których koszt nie jest (lub jeszcze nie jest) pokrywany przez ubezpieczenie społeczne.

## Wielka Brytania (na przykładzie Anglii)



System ochrony zdrowia w Anglii charakteryzuje się dominacją publicznych świadczeniodawców i ubezpieczeń. Wśród kluczowych podmiotów znajdują się:

- ▶ **Monitor** - regulator systemu ochrony zdrowia. Misją Monitora jest zapewnienie pacjentom możliwie najwyższej jakości usług medycznych finansowanych z publicznych źródeł.
- ▶ **National Health Fund (NHS)** - główny płatnik systemu opieki zdrowotnej. Koordynacja opieki onkologicznej przebiega na poziomie lokalnym, za pomocą tzw. Strategicznych Sieci Onkologicznych oraz centralnym, gdzie funkcję tę pełnią: CB, Krajowy Dyrektor Kliniczny oraz Dyrektor Krajowego Programu „Nowotwory i krew”.

Anglia uchwaliła pierwszy Narodowy Plan Zwalczania Chorób Nowotworowych na lata 2000-2010. Obecnie realizowany jest, również 10-letni Plan, zatwierdzony w 2011 r.

W zakresie opieki onkologicznej stworzona została modelowa ścieżka leczenia pacjenta onkologicznego - od momentu diagnozy do fazy pochorobowej. Leczenie przebiega zgodnie ze spersonalizowanym planem przygotowywanym przez interdyscyplinarny zespół specjalistów.

System refundacji leków onkologicznych opiera się na następujących założeniach:

- ▶ Leki onkologiczne są finansowane w Wielkiej Brytanii za pomocą środków NHS oraz z dedykowanego budżetu Cancer Drugs Fund.
- ▶ W przypadku refundacji leków ze środków NHS, dużą rolę odgrywa National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE). NICE jest organizacją odpowiedzialną za wydawanie zaleceń dotyczących stosowania produktów farmaceutycznych, która przy ocenie leku bazuje głównie na metodach wskaźnikowych, zwłaszcza na współczynniku QALY (ang. quality adjusted life year):
  - ▶ NICE szacuje, że efektywne kosztowo leczenie wynosi mniej niż 20 tys. GBP za QALY.
  - ▶ NHS jest zobowiązany do finansowania leków zalecanych przez NICE, ale z drugiej strony negatywna ocena nie uniemożliwia finansowania takiego leku czy zabiegu.
- ▶ Leki onkologiczne są także finansowane ze specjalnego funduszu: Cancer Drugs Fund (CDF).
  - ▶ Celem CDF jest zapewnienie refundacji leków onkologicznych, które nie zostały zatwierdzone przez NICE.
  - ▶ CDF dysponuje listą leków, które za jego pośrednictwem są dostępne, określa warunki i sposób ich stosowania.
  - ▶ Poza terapiami realizowanymi z zastosowaniem leków umieszczonych na liście, istnieje możliwość złożenia wniosku indywidualnego o sfinansowanie leczenia substancją spoza listy leków (dotyczy pacjentów z nowotworami rzadkimi - nie więcej niż określoną grupę w roku (20 osób) lub pacjentów, dla których lekarze udowodnią wyjątkowość kliniczną).
  - ▶ Budżet CDF na rok finansowy 2015-2016 wynosi 340 mln GBP.

Stosowane w wymienionych krajach kompleksowe podejście do opieki onkologicznej obejmujące działania z zakresu zarządzania opieką, organizacji procesów i zapewnieniu niezbędnych zasobów, pozwala na zwiększenie jakości oraz dostępu do usług medycznych. Mechanizmy zapewniające efektywność opieki onkologicznej są kluczowe

nie tylko dla zaspokojenia rosnących potrzeb i oczekiwań pacjentów onkologicznych, ale również płatników i świadczeniodawców. Poniżej przedstawiono zestawienie dotyczące rozwiązań stosowanych w poszczególnych krajach w zakresie zwiększenia dostępności innowacyjnych leków.

Kraj	Rozwiązania przyjęte w finansowaniu innowacyjnych leków przeciwnowotworowych	Zalety rozwiązania (możliwe do wykorzystania w Polsce)
 <b>Francja</b>	<p>W ramach lecznictwa szpitalnego, leki onkologiczne wpisane na listę refundacyjną są refundowane w 100%. Leki drogie i innowacyjne są umieszczone na specjalnej liście refundacyjnej T2A. Koszt leków z listy T2A jest wliczany częściowo do globalnego kosztu JGP.</p> <p>Francja dysponowała 25 z 30 innowacyjnych leków, z czego 21 było refundowanych bez ograniczeń wskazań. Czas do refundacji wybranych 30 leków wynosił średnio mniej niż rok (3,6 kwartału) i był jednym z najkrótszych w analizowanych krajach.</p>	<p>Optimalny proces refundacyjny zapewniający pacjentom szybki dostęp do innowacyjnych leków</p>
 <b>Norwegia</b>	<p>Leki o przeznaczeniu szpitalnym są finansowane z budżetów poszczególnych szpitali. Norweska Agencja Leków przygotowuje jedynie ocenę korzyści i wpływu tych leków na budżet szpitala.</p> <p>Ostateczną decyzję refundacyjną podejmuje szpital, który dysponuje budżetem refundacyjnym. Lekarz może podjąć decyzję o leczeniu pacjenta substancją spoza listy, jednak musi uzasadnić swoją decyzję.</p>	<p>Lekarz ma dużą elastyczność w wyborze innowacyjnych leków</p>
 <b>Belgia</b>	<p>Jeśli dany produkt leczniczy nie został objęty refundacją, pacjent może wnioskować o sfinansowanie terapii z tzw. Special Solidarity Fund (SSF), który służy refundowaniu leczenia rzadkich chorób, wskazań lub stosowania w terapii substancji i metod innowacyjnych.</p> <p>Innowacyjne leki onkologiczne związane wyłącznie z medycyną precyzyjną stanowią ok 5% obecnych wydatków na leki. Obecnie trwają rozważania nad wprowadzeniem dedykowanego funduszu finansującego innowacyjne terapie onkologiczne.</p>	<p>Fundusz finansujący terapie innowacyjne</p>
 <b>Wielka Brytania</b> (na przykładzie Anglii)	<p>Leki onkologiczne są finansowane za pomocą środków NHS oraz z dedykowanego budżetu Cancer Drugs Fund. Celem CDF jest zapewnienie refundacji leków onkologicznych, które nie zostały zatwierdzone przez NICE.</p> <p>CDF dysponuje listą leków, które za jego pośrednictwem są dostępne, określa warunki i sposób ich stosowania. Lista leków tworzona jest na podstawie transparentnego algorytmu oceniającego m.in. korzyści kliniczne.</p>	<p>Fundusz finansujący innowacyjne terapie onkologiczne</p>

Odnosząc podejścia stosowane w wybranych krajach do sytuacji w Polsce można wyodrębnić dwa scenariusze pozwalające na poprawę dostępności innowacyjnych leków onkologicznych:

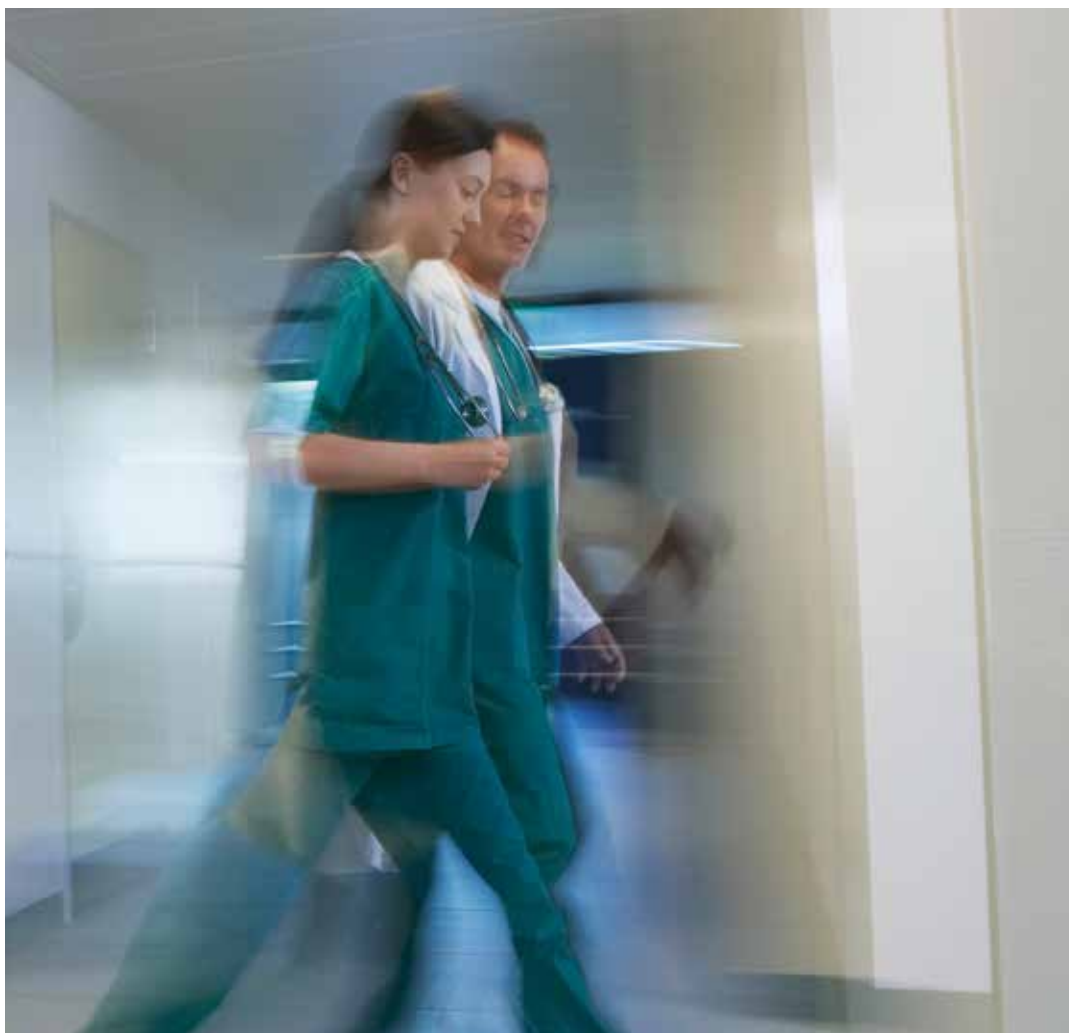
- ▶ Optymalizacja procesu refundacji leków w ramach programów lekowych, w oparciu o podejście stosowane we Francji

oraz

- ▶ Wydzielenie dodatkowych środków na finansowanie innowacyjnych terapii przeciwnowotworowych, jak zostało to przeprowadzone w Belgii i Wielkiej Brytanii.

Rozwiązania te nie muszą być działaniami alternatywnymi. Istnieje możliwość wdrożenia obu opcji.

Szczególnie ciekawym rozwiązaniem jest utworzony w Wielkiej Brytanii CDF, który umożliwia pacjentom powszechny i szybki dostęp do innowacyjnych metod terapii. Stosowany przez Fundusz transparentny algorytm oceny korzyści klinicznej pozwala na wybór najlepszych metod leczenia w różnych typach nowotworów. Mając na uwadze zalety wynikające ze stosowania takiego rozwiązania, CDF może stanowić źródło inspiracji dla polskiej onkologii.



Rozdział

ósmy

Propozycja poprawy polskiego systemu opieki onkologicznej poprzez zwiększenie dostępności innowacyjnych terapii onkologicznych



W niniejszym raporcie wskazano, że choroby nowotworowe stanowią jedną z najpoważniejszych przyczyn zgonów w Polsce (25,6%), a populację chorych szacuje się obecnie na 310 tys. osób.

Choroby nowotworowe stanowią istotny problem społeczny. Dotykają nie tylko samych pacjentów, ale również ich bliskich. Udostępnienie nowoczesnych i coraz skuteczniejszych terapii przeciwnowotworowych ma zatem znaczenie dla istotnej liczebnie populacji. Biorąc pod uwagę prognozy w zakresie rosnącej zachorowalności, kwestia ta będzie nabierać coraz większej wagi. Niezbędne staje się podjęcie działań mających na celu poprawę dostępności nowoczesnych metod leczenia onkologicznego w Polsce. Zgodnie z wynikami badań V. Stevanovica i R. Fujisawy, opisanymi w rozdziale 5, zarządzanie, proces i zasoby są kluczowymi elementami odpowiadającymi za powodzenie leczenia onkologicznego. W zakresie dwóch pierwszych z wymienionych elementów już podjęto pewne działania, natomiast kwestia zasobów, które odpowiadają za ok. 45% powodzenia w leczeniu, wciąż pozostaje nierozwiązana. Mówiąc o zasobach należy zwrócić uwagę zarówno na personel medyczny, jak i dostępność aparatury medycznej oraz innowacyjnych terapii onkologicznych. Dla pierwszych dwóch aspektów niezbędne jest stworzenie wiarygodnych map potrzeb zdrowotnych. Z kolei w kwestii dostępności nowoczesnych terapii już dziś można rozpocząć dyskusję i priorytetowo potraktować wdrożenie rozwiązania usprawniającego dostęp do leków.

Wśród rozwiązań, które mogą wspierać zwiększenie dostępu do innowacyjnych leków onkologicznych można wymienić:

- ▶ **Optymalizację procesu refundacji leków w ramach programów lekowych** oraz
- ▶ **Wydzielenie dodatkowych środków finansowych na refundację innowacyjnych terapii przeciwnowotworowych, np. w formie dedykowanego funduszu.**

Warto podkreślić, że powyższe scenariusze nie wykluczają się i istnieje możliwość wdrożenia obu rozwiązań.

Funkcjonujące obecnie programy lekowe nie ustanawiają satysfakcjonującego poziomu dostępności innowacyjnych leków onkologicznych, co wskazano w raporcie EY dla Fundacji Alivia (podsumowanie wniosków znajduje się w rozdziale 5 niniejszego raportu). Brak pełnego spełnienia oczekiwań wynika m.in. z obowiązujących zasad refundacji, a także z braku szerokiego zastosowania instrumentów podziału ryzyka. Mimo istnienia możliwości korzystania z takiej opcji finansowania, w praktyce pojawia się przede wszystkim prosta forma rabatowania leków przez producentów.

W przypadku optymalizacji programów lekowych kluczowe byłoby uproszczenie procesu złożenia wniosku przez producenta do Ministerstwa Zdrowia, w tym np.: zniesienie wymogu przedstawienia dowodu dostępności leku w obrocie przed jego pozytywnym rozstrzygnięciem. Ponadto należałoby rozważyć wprowadzenie przejrzystego i obiektywnego algorytmu oceny wartości nowych leków przeciwnowotworowych z zachowaniem jednolitości podejmowanych decyzji refundacyjnych, np. poprzez zastosowanie rozwiązania zaproponowanego przez Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (PTOK) i Polskie Towarzystwo Onkologiczne (PTO). Algorytm ten został szerzej opisany w dalszej części tego rozdziału.

Kolejnym rozwiązaniem, które może wspierać leczenie chorób nowotworowych, jest wydzielenie środków pieniężnych w formie dedykowanego funduszu przeznaczonego na finansowanie terapii innowacyjnymi lekami onkologicznymi. Takie rozwiązanie sprawdza się w Anglii, gdzie powołano Cancer Drugs Fund. W dalszej części raportu przedstawione zostaną ramy rozwiązania dotyczącego utworzenia funduszu, który mógłby zostać uruchomiony w Polsce.

## Cele

Misją funduszu powinno być udostępnienie pacjentom onkologicznym innowacyjnego leczenia.

Podstawowymi celami funduszu powinny zatem być:

Maksymalne wsparcie pacjentów przez udostępnienie nowoczesnych terapii onkologicznych



Delegowanie lekarzom prowadzącym proces terapeutyczny decyzji dotyczącej wyboru potencjalnie najskuteczniejszej metody leczenia



Poprawa całkowitego czasu przeżycia oraz jakości życia pacjentów onkologicznych



## Zakres funduszu

Do korzystania ze świadczeń finansowanych z funduszu powinni mieć prawo wszyscy, którzy są uprawnieni do korzystania ze świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, zgodnie z przepisami Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. 2004 r., nr 210

poz. 2135). Fundusz powinien finansować leczenie innowacyjnymi lekami onkologicznymi, w tym radiofarmaceutykami skojarzonymi z lekami. Należy zdefiniować listę leków, które zostaną udostępnione pacjentom. Na liście powinny znaleźć się leki, które spełnią przynajmniej jedno z poniższych kryteriów:



**Leki odrzucone przez AOTMiT jako nieefektywne ekonomicznie w ramach podstawowego procesu refundacyjnego.**



**Leki, które zostały refundowane tylko w niewielkim zakresie wskazań ze względu na nieefektywność ekonomiczną.**



**Leki, które zostały ocenione pozytywnie przez AOTMiT w ramach podstawowego procesu refundacyjnego, ale zostały odrzucone przez Komisję Ekonomiczną/MZ.**



**Leki, które nie zostały jeszcze poddane ocenie AOTMiT\*.**



**W uzasadnionych przypadkach leki poza wskazaniami rejestracyjnymi.**

\* Leki dla których proces oceny przez AOTMiT nie został zakończony i/lub decyzja refundacyjna nie została podjęta.

Warunkiem koniecznym do umieszczenia leku na liście produktów finansowanych w ramach funduszu jest wcześniejsze złożenie wniosku o refundację do Ministerstwa Zdrowia.

Leki finansowane w ramach funduszu powinny być wybierane na podstawie algorytmu uwzględniającego ocenę ilościową<sup>92</sup>:

- ▶ Wskaźników przeżycia,
- ▶ Jakości życia związanej ze zdrowiem chorego,
- ▶ Profilu bezpieczeństwa leku,
- ▶ Ekonomicznych aspektów terapii,
- ▶ Dowodów naukowych dotyczących skutków stosowania danego leku,
- ▶ Istnienia refundowanej alternatywy terapeutycznej.

Szczegółowe zasady funkcjonowania algorytmu zostaną omówione w dalszej części rozdziału.

W uzasadnionych przypadkach fundusz powinien mieć możliwość finansowania również testów diagnostyki molekularnej (koniecznych w procesie kwalifikacji do leczenia dla określonej grupy pacjentów, u których prawdopodobieństwo odniesienia korzyści z leczenia jest najwyższe). Ponadto można rozważyć uwzględnienie terapii lekowych, które są w trakcie badań klinicznych, a ocena skuteczności leku jest głównym przedmiotem badania z udziałem chorych na daną jednostkę chorobową.

Dodatkowo fundusz będzie zajmował się oceną korzyści klinicznych nowych leków, dopuszczonych do obrotu przez Komisję Europejską lub Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych. Dokumentacja oceny będzie stanowiła jedno ze źródeł analiz AOTMiT w przypadku złożenia wniosku o refundację do Ministerstwa Zdrowia oraz podstawę do podjęcia decyzji o umieszczeniu produktu na liście leków finansowanych przez fundusz. Produkt nie może jednak zostać umieszczony na liście funduszu jeśli nie złożono wcześniej wniosku refundacyjnego.

<sup>92</sup> Krzakowski M i wsp., Algorytm wyceny wartości nowych leków przeciwnowotworowych - propozycje Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej i Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, Onkologia w praktyce klinicznej, 2015, tom 11/1 str. 9-15.

## Model operacyjny

Model operacyjny funduszu powinien opierać się na następujących założeniach:

---

### Miejsce w systemie opieki zdrowotnej

Jednostka Ministra Zdrowia

---

### Środki finansowe

- ▶ **Źródło 1**  
Alokacja środków z budżetu państwa
- ▶ **Źródło 2**  
Dotacja z Narodowego Programu Zwalczenia Chorób Nowotworowych
- ▶ **Źródło 3**  
Alokacja środków z budżetu NFZ
- ▶ **Źródło 4**  
Udział firm farmaceutycznych (RSS)
- ▶ **Inne źródła**

---

### Koordinacja

Wybór terapii - poziom lokalny (konsylium lekarskie)

Akceptacja finansowania terapii, definiowanie listy leków - poziom centralny

---

### Lista leków

Jedna zatwierdzona, regularnie aktualizowana lista leków opracowana dla precyzyjnie zdefiniowanych grup (populacji) pacjentów ze wskazaniami do stosowania danego leku

---

### Kontrola wyników terapii

Analiza wyników terapii na poziomie krajowym w ramach zadań funduszu - aspekt rejestrowania danych (realizowanych terapii) będzie stanowić własne źródło do analiz skuteczności leczenia

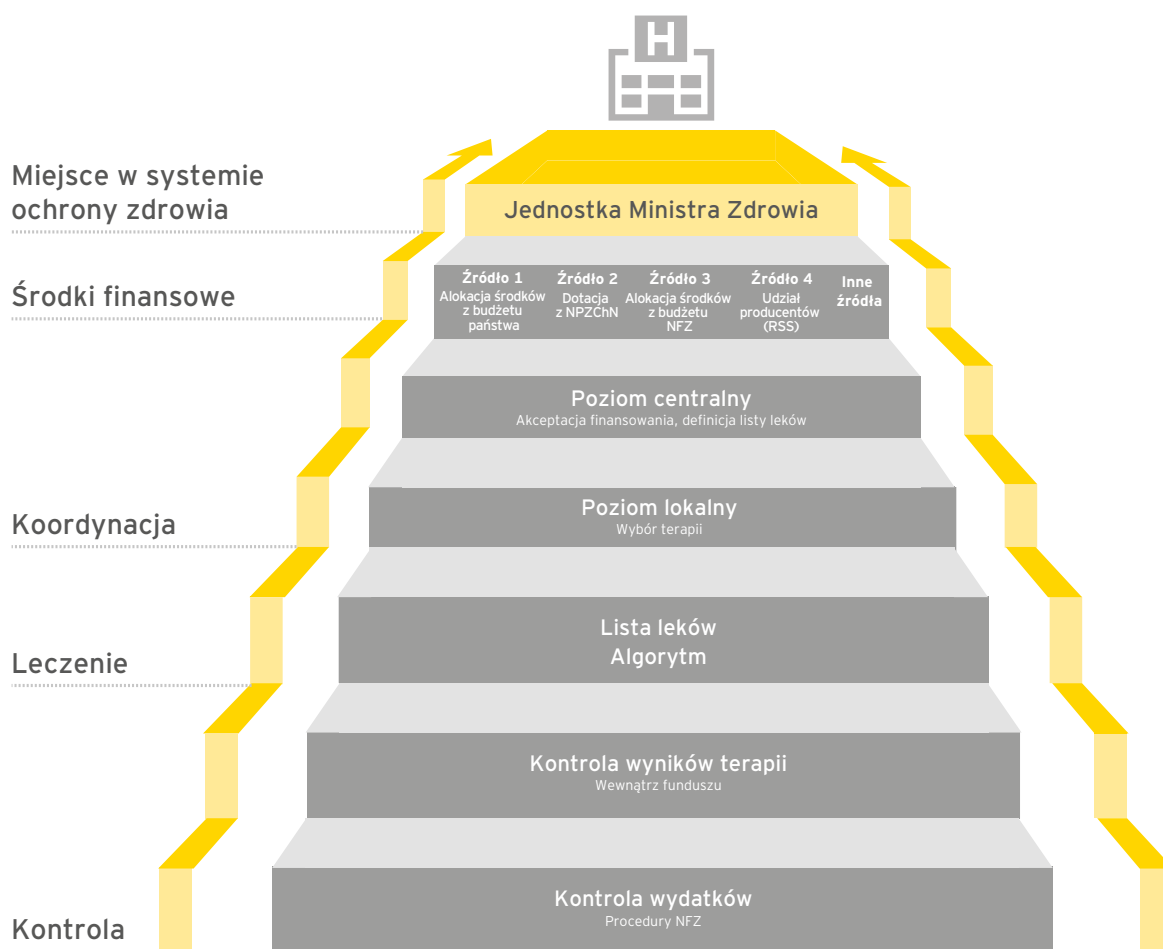
---

### Kontrola realizacji świadczeń

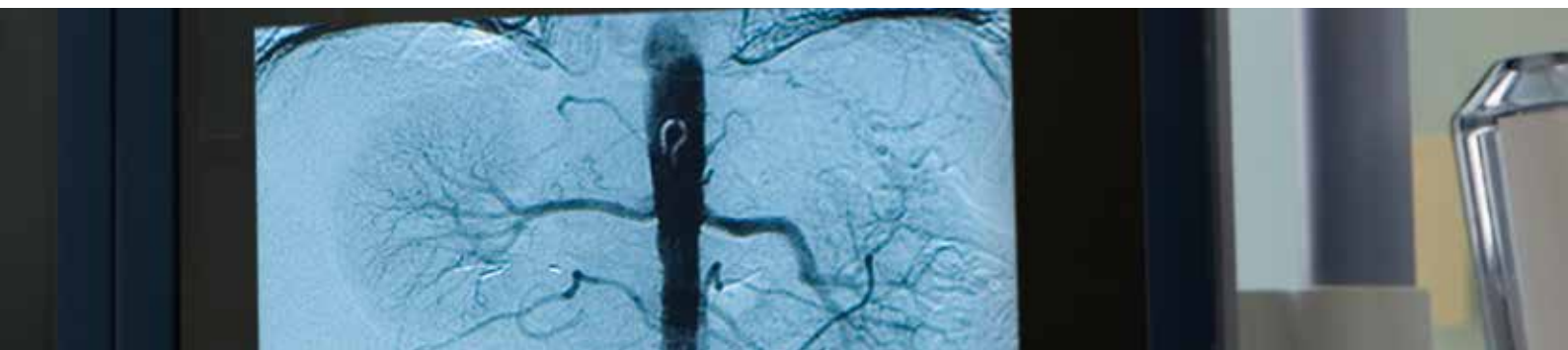
Realizowana w ramach procedur NFZ



Rysunek 7. Model operacyjny funduszu



Źródło: Opracowanie własne EY



Umieszczenie funduszu w systemie ochrony zdrowia jest istotne. Rozwiązanie to należy rozważyć pod kątem umożliwienia sprawnego funkcjonowania funduszu i realizacji założonych celów przy jednoczesnym zapewnieniu maksymalnej synergii z istniejącymi podmiotami systemu ochrony zdrowia w Polsce. Rekomendowane rozwiązanie zakłada powołanie

funduszu w charakterze jednostki Ministra Zdrowia. W takim przypadku fundusz będzie mógł prowadzić niezależną od NFZ politykę finansową, podlegając pod bezpośredni nadzór Ministerstwa Zdrowia. Fundusz, jako jednostka podległa Ministerstwu Zdrowia, będzie realizować w szczególności następujące zadania:

---

### **1** Zarządzanie budżetem

(tzn. podejmowanie decyzji co jest finansowane oraz kontrolowanie budżetu)

---

### **2** Podejmowanie decyzji o umieszczaniu leków na liście leków

(na podstawie zdefiniowanego algorytmu)

---

### **3** Wydawanie decyzji o sfinansowaniu leczenia

---

W modelu operacyjnym funduszu należy zdefiniować sposób przepływu środków finansowych, a także procesy kontrolne.

---

#### Optymalne wydaje się wykorzystanie zasad przepływu środków finansowych obowiązujących w przypadku refundowania leczenia przez NFZ.

---

Oznaczałoby to kierowanie środków (przelewów) do podmiotów realizujących leczenie (np. do wojewódzkich centrów onkologii) z właściwych Oddziałów Wojewódzkich NFZ. Podobnie w przypadku procedur kontrolnych związanych z weryfikacją realizacji wydatków na wnioskowane leczenie - optymalnym będzie wykorzystanie procedur kontrolnych realizowanych przez NFZ. Zaangażowanie NFZ do takich zadań, jak fizyczne rozliczanie świadczeń i kontrola ich realizacji (czy faktycznie wydano środki zgodnie ze zgłoszonym zapotrzebowaniem), będzie najbardziej efektywnym rozwiązaniem. Dzięki temu nie zostaną powielone struktury administracyjne. Należy jednak podkreślić,

że NFZ nie powinien być zaangażowany w podejmowanie decyzji dotyczących celów, na jakie będą przeznaczane środki funduszu. Z kolei kontrola merytoryczna decyzji związanych ze sfinansowaniem leczenia powinna być realizowana w ramach struktur samego funduszu.

Środki finansowe na realizację zadań funduszu mogą pochodzić z kilku źródeł, co zapewni funduszowi szerokie wsparcie. Jako źródła finansowania należy wziąć pod uwagę m.in. alokację środków z budżetu państwa, dotację z Narodowego Programu Zwalczenia Chorób Nowotworowych, alokację środków z budżetu NFZ, udział firm farmaceutycznych (RSS), a także inne źródła.

Kolejną decyzją, którą należy podjąć w związku z uruchomieniem funduszu, jest kwestia struktury organizacyjnej i poziomu jej centralizacji. Przykład angielski pokazuje, że dobrym rozwiązaniem jest decentralizacja, przejawiająca się istotnym zaangażowaniem i decyzyjnością lekarzy prowadzących pacjentów. W gestii lekarzy pozostawiono decyzję o wyborze konkretnej terapii i składanie aplikacji o zgodę na sfinansowanie leczenia. Administrację

funduszu, wydawanie akceptacji na rozpoczęcie terapii, definiowanie list leków umiejscowiono na poziomie centralnym. Przyjmując zbliżone założenia dla funkcjonowania funduszu w Polsce, opracowano ramową strukturę organizacyjną funduszu. Poniższe wytyczne

mają charakter przykładowy i w kolejnym kroku należy przeanalizować konieczność utworzenia poszczególnych zespołów, wraz z przypisaniem im szczegółowych ról, składu merytorycznego i zasad funkcjonowania.

## Rysunek 8. Przykładowa struktura organizacyjna funduszu



Źródło: Opracowanie własne EY

Pierwszy poziom struktury to poziom lokalny, reprezentowany przez lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej i specjalistów bezpośrednio prowadzących pacjentów onkologicznych, a także konsylia lekarskie powołane do podejmowania decyzji o leczeniu choroby nowotworowej w ramach pakietu onkologicznego. Na lekarzach spoczywa odpowiedzialność związana z wyborem terapii i schematem leczenia. Przedstawiciel konsylium powinien złożyć wniosek o finansowanie w ramach funduszu.

Kolejny poziom to poziom centralny, czyli zespół ds. terapii odpowiedzialny za analizę i ocenę wniosków o leczenie finansowane przez fundusz. Funkcję zwierzchnika zespołu ds. terapii pełni zespół merytoryczny. Podstawowym zadaniem zespołu merytorycznego jest opracowanie listy leków finansowanych w ramach funduszu. Jednostką kontrolną zespołu ds. terapii jest zespół kontrolny, który odpowiada za nadzór finansowy. Poniżej przedstawiono główne zadania poszczególnych jednostek oraz ich przykładowy skład.



### Zespół merytoryczny

#### Zadania

opracowanie listy leków, bieżąca analiza leków wchodzących na rynek, analiza zastosowań leków poza wskazaniami, analiza leków, które zostały dopuszczone do obrotu przez KE, analiza decyzji AOTMiT (leki odrzucone do refundacji przez MZ), propozycje aktualizacji listy leków, składanie zapytań ofertowych i negocjacje cen z producentami, monitorowanie statystyk dotyczących realizowanych terapii.

#### Struktura

onkolodzy, przedstawiciele pacjentów, przedstawiciele organizacji branżowych.



### Zespół kontrolny

#### Zadania

kontrola budżetu, akceptacja nowych leków na liście leków na wniosek zespołu merytorycznego, podejmowanie decyzji o usuwaniu leków z listy leków na wniosek zespołu merytorycznego, kontrola funkcjonowania funduszu, opracowanie raportów rocznych, weryfikacja wniosków dotyczących kontroli procesu podjęcia decyzji przez zespół ds. terapii.

#### Struktura

pracownicy merytoryczni ds. finansowych.



### Zespół ds. terapii

#### Zadania

weryfikacja i ocena wniosków o sfinansowanie leczenia w ramach funduszu, wydawanie decyzji o akceptacji lub odrzuceniu wniosków o sfinansowanie leczenia substancją umieszczoną na liście leków, przygotowanie miesięcznych zestawień wydatków funduszu.

#### Struktura

pracownicy merytoryczni funduszu oraz pracownicy administracyjni.





## Zasady funkcjonowania funduszu

Proponowane rozwiązanie będzie wymagało zdefiniowania szeregu zasad i przepisów. Poniżej przedstawiono przykładowe zasady, które mogą zostać zaimplementowane w polskim modelu.

- ▶ **W ramach funduszu mogą być dostępne terapie dopuszczone do obrotu przez Komisję Europejską lub Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL).**
- ▶ Fundusz powinien zakładać ocenę leków dopuszczonych do obrotu przez KE/URPL, jednak po wcześniejszym złożeniu wniosku o refundację do Ministerstwa Zdrowia.
- ▶ Na liście leków dostępnych w ramach funduszu mogą zostać umieszczone wyłącznie produkty, dla których został złożony wniosek o refundację do Ministerstwa Zdrowia. Jeśli fundusz przeprowadził już ocenę kliniczną (patrz punkt wyżej) dokumentacja zostaje zaktualizowana o ofertę cenową przedstawioną AOTMiT lub Komisji Ekonomicznej MZ i ewentualnie o nowe dostępne wyniki badań klinicznych. Do listy powinny być dodawane nowe leki o wysokiej skuteczności terapeutycznej, a usuwane te, których skuteczność w relacji do ceny nie będzie zadowalająca. Ocena leków powinna być realizowana zgodnie z precyzyjnie zdefiniowanym algorytmem przedstawionym w dalszej części rozdziału.
- ▶ **Producent/wnioskujący może przedstawić inną ofertę cenową w trakcie negocjacji z funduszem, jednak nie może być ona mniej korzystna niż warunki handlowe przedstawione w procesie ubiegania się o refundację leku przez NFZ.**
- ▶ **Fundusz powinien służyć finansowaniu leczenia, które nie jest możliwe w ramach standardowych procedur NFZ, programów lekowych i chemioterapii.**
- ▶ Fundusz powinien finansować leczenie tylko w ramach świadczeń realizowanych przez świadczeniodawców posiadających kontrakt z NFZ na realizację procedur onkologicznych.
- ▶ Fundusz powinien pokrywać koszty finansowania leków i podatku VAT.
- ▶ Koszt świadczeń skojarzonych z terapią realizowaną innowacyjnym lekiem finansowanym z funduszu, powinien być finansowany przez NFZ na zasadach identycznych z finansowaniem świadczeń skojarzonych.
- ▶ Fundusz nie powinien akceptować finansowania leczenia, które zostało już zrealizowane.
- ▶ W interesie pacjentów leży jak najefektywniejsze funkcjonowanie funduszu. Dane dotyczące leczenia realizowanego z funduszu powinny być zbierane i analizowane, by dogłębnie zrozumieć wyniki leczenia. W konsekwencji działanie funduszu może przyczynić się do optymalizacji w zakresie doboru terapii. Na ten cel mogą zostać przeznaczone środki w zdefiniowanej wysokości (w modelu angielskim do wysokości 1% budżetu funduszu).

# Proces finansowania innowacyjnych terapii onkologicznych

---

Spełniając swój podstawowy cel - udostępnienie pacjentom innowacyjnych terapii onkologicznych - fundusz powinien przewidywać transparentną i szybką ścieżkę dostępu do leczenia, czyli finansowania terapii.

---

## Założenia procesowe

Poniżej przedstawiono podstawowe założenia procesu finansowania leczenia realizowanego za pomocą leku pochodzącego z listy leków.

- ▶ **Decyzje o umieszczeniu terapii na liście będą podejmowane na podstawie oceny skuteczności leku, przeprowadzonej w oparciu o zdefiniowany algorytm.**
- ▶ Na liście leków mają szansę znaleźć się leki, które zostaną zgłoszone przez następujące grupy:
  - ▶ Zespół merytoryczny.
  - ▶ Producenci i inne podmioty uprawnione do składania wniosku o refundację leku zgodnie ze ścieżką wskazaną w ustawie refundacyjnej (Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych).
  - ▶ Lekarze wskazujący nową wartościową opcję terapeutyczną dla danej grupy pacjentów ze wskazaniem medycznym.
- ▶ Na liście leków finansowanych z funduszu mogą zostać umieszczone terapie, dla których co roku pojawia się większa niż określona limitem grupa pacjentów (w Anglii to 20 osób). Takie podejście zapewnia transparentność, równość oraz szybkość w podejmowaniu decyzji.
- ▶ Zmiany listy leków będą proponowane przez zespół merytoryczny i akceptowane przez zespół kontrolny.
- ▶ Jeżeli decyzja o umieszczeniu nowego leku na liście może wpłynąć na przekroczenie budżetu funduszu, należy rozważyć, czy:
  - ▶ Odsunąć w czasie dodanie leku do listy.
  - ▶ Zweryfikować, czy nowa terapia jest konkurencyjna pod względem wyników klinicznych i kosztów w porównaniu z lekami obecnymi na liście.
  - ▶ Usunąć z listy inną terapię, która jest istotnie mniej korzystna od nowej propozycji.
- ▶ Aktualizacja listy powinna odbywać się w trybie kwartalnym, chyba że zostanie zidentyfikowana częstsza potrzeba przeprowadzania aktualizacji.
- ▶ Jeżeli dana terapia zostanie usunięta z listy w wyniku wprowadzenia nowej, korzystniejszej terapii, pacjentom z niej korzystającym powinno przysługiwać prawo do kontynuacji leczenia do czasu określonego przez konsylium.
- ▶ Terapie zatwierdzone przez MZ do standardowej refundacji powinny zostać usunięte z listy leków funduszu (należy zdefiniować czas, w jakim powinno to nastąpić. W Anglii jest to 90 dni).



## Przebieg procesu

Pierwszym krokiem do zastosowania innowacyjnej terapii u pacjenta onkologicznego jest identyfikacja takiej potrzeby przez konsylium lekarskie.

**Jeśli rekomendowany sposób leczenia nie jest finansowany przez NFZ w ramach programu lekowego i chemioterapii konsylium podejmuje decyzję o złożeniu wniosku o finansowanie terapii onkologicznej z funduszu.**

We wniosku należy opisać dotychczasowy przebieg leczenia oraz uzasadnić, dlaczego konkretna terapia jest wskazana w danym przypadku. Należy rozważyć formę, w jakiej wnioski mogłyby być składane.

**Istotne jest zapewnienie maksymalnej automatyzacji podejmowania decyzji dotyczących finansowania terapii dla poszczególnych pacjentów.**

W tym celu należy rozważyć wsparcie systemów IT, które przyczynią się do usprawnienia procesu. Wygodnym i efektywnym rozwiązaniem jest składanie wniosków on-line w dedykowanym portalu internetowym, zaprojektowanym na potrzeby całego kraju. Taka formuła została zastosowana w Anglii i z powodzeniem spełnia swoją rolę. Wdrożone rozwiązanie powinno zostać zintegrowane z lokalnym systemem informatycznym szpitala (HIS).

Według zaproponowanej struktury organizacyjnej wydanie zgody na sfinansowanie leczenia powinno odbywać się na poziomie centralnym. Decyzję w tym zakresie podejmuje zespół ds. terapii.

**Standardowy czas odpowiedzi na wniosek dotyczący zastosowania w terapii substancji z listy leków nie powinien być długi ze względu na charakter chorób nowotworowych (w Anglii są to 2 dni robocze).**

Należy przewidzieć aspekt kontroli decyzji dotyczących realizacji leczenia. Zespół kontrolny powinien mieć możliwość weryfikowania decyzji, które zostaną poddane pod wątpliwość na wniosek przedstawiciela konsylium. Weryfikacja powinna skutkować podtrzymaniem decyzji lub odesłaniem wniosku do ponownego rozważenia. Wynik takiej kontroli może być podważony na zasadach regulowanych przez Kodeks postępowania administracyjnego.

Jeżeli pacjent otrzymał zgodę na rozpoczęcie leczenia z funduszu, w znakomitej większości przypadków terapia powinna rozpocząć się bezpośrednio po otrzymaniu zgody na finansowanie. Należy określić maksymalny czas ważności decyzji o finansowaniu leczenia (w Anglii są to 3 miesiące od akceptacji wniosku).

Rysunek 9. Proces oceny wniosku o leczenie (z przykładowymi terminami)



Źródło: Opracowanie własne EY

Dodatkową ścieżką finansowania leczenia onkologicznego może być ścieżka wniosków indywidualnych. Rozwiązanie tego typu jest stosowane w angielskim funduszu CDF i można rozważyć wprowadzenie go również w Polsce.

Poniżej przedstawiono główne założenia takiego modułu.

## Ramka 1. Moduł wniosków indywidualnych jako opcja do rozważenia i ewentualnego uwzględnienia w funduszu

**1** Wnioski indywidualne powinny dotyczyć pacjentów, którzy nie mogą być leczeni w ramach NFZ i jednocześnie nie należą do żadnej grupy wskazań ze zdefiniowanej listy leków, a w szczególności są to:

- Pacjenci z **nowotworami rzadkimi**. Jako nowotwory rzadkie określa się nowotwory, których identyfikuje się nie więcej niż określoną liczbą grupę pacjentów w roku (w Anglii to 20 osób) lub
- Pacjenci, dla których lekarze udowodnią **wyjątkowość kliniczną**. Dotyczy to terapii, które były przedmiotem analizy prowadzonych przez zespół merytoryczny, ale ostatecznie nie zostały uwzględnione na liście leków

**2** Moduł wniosków indywidualnych mógłby być procesowany w następujący sposób:

- Jeżeli terapia, która jest rozważana, nie znajduje się na liście leków, przedstawiciel konsylium na podstawie decyzji podjętej przez konsylium może złożyć wniosek indywidualny. We wniosku należy wykazać, że pacjent istotnie różni się od populacji pacjentów z takim samym typem nowotworu, w takim samym stadium oraz opisać prawdopodobieństwo uzyskania korzyści klinicznych w danym przypadku. Należy wyznaczyć roczny limit pacjentów, którzy mogą zostać obsłużeni tym trybem (np. w Anglii zakłada się 20 pacjentów).
- Należy wydzielić zespół, którego zadaniem będzie merytoryczna ocena wniosków indywidualnych. Podmiot ten powinien przybrać formę panelu eksperckiego, w którego skład wejdą onkolodzy, przedstawiciele pacjentów, a także prawnicy i ekonomiści.
- Decyzje o udzieleniu finansowania powinien podejmować panel ekspercki na podstawie analizy wniosku według zdefiniowanych kryteriów. Podstawą do udzielenia zgody na terapię wnioskowaną w trybie indywidualnym powinna być potrzeba kliniczna i potencjał pacjenta do odniesienia klinicznej korzyści z leczenia.

Źródło: Opracowanie własne EY na podstawie NHS England, Standard Operating Procedures: The Cancer Drugs Fund (CDF) Guidance to support operation of the CDF in 2014-15, November 2014

## Algorytm wyboru leków przeciwnowotworowych

Przedstawiona propozycja funduszu finansującego leczenie innowacyjnymi lekami onkologicznymi opiera się m.in. na zdefiniowaniu listy leków. Kluczowa staje się zatem odpowiedź na pytanie, które leki powinny znaleźć się na liście. Decyzje dotyczące finansowania terapii są wyjątkowo trudne, bowiem w niektórych obszarach obserwuje się rosnące koszty uzyskania inkrementalnej korzyści zdrowotnej dzięki zastosowaniu nowej technologii medycznej, zaś wyższe nakłady w opiece medycznej nie zawsze prowadzą do poprawy efektywności systemu leczenia<sup>93</sup>. Dążąc do uporządkowania procesu selekcji środków terapeutycznych w leczeniu chorób nowotworowych, coraz częściej stosuje się wystandardyzowane algorytmy oceny leków. Do ich zaprojektowania wykorzystywana jest sformalizowana ocena leku oraz zestawienie oczekiwanych korzyści z zastosowania środka leczniczego i kosztów leczenia.

Zastosowanie algorytmu przy wyborze leków przeznaczonych do refundacji:

- 1** Zapewnia zachowanie obiektywizmu i przejrzystości decyzji o przyznaniu finansowania (wspierając te decyzje dowodami naukowymi),
- 2** Skraca okres oczekiwania pacjentów na dostęp do leków o potwierdzonym działaniu terapeutycznym,
- 3** Wspiera gospodarkę optymalnym wykorzystaniem zasobów systemu ochrony zdrowia.

<sup>93</sup> Skinner J i wsp., Is Technological Change in Medicine Always Worth It? The Case of Acute Myocardial Infarction, Health Affairs 2006; Schrag D, The price tag on progress-chemotherapy for colorectal cancer, New England Journal of Medicine 351(4), 2004, str. 317-9.

Ponadto zgodnie z wynikami kontroli Najwyższej Izby Kontroli z 2014 r.<sup>94</sup> do najpoważniejszych zastrzeżeń wobec systemu przyznawania refundacji w ramach programów lekowych należały:

- 1** Wydłużony okres oczekiwania na wydanie decyzji o przyznaniu finansowania danego leku,
- 2** Wykorzystanie opinii ekspertów wykazujących konflikty interesów, obniżające obiektywizm podejmowanych decyzji w ocenie leków,
- 3** Brak przejrzystości dostępu do niestandardowych terapii onkologicznych i brak jednolitych zasad postępowania na poziomie kraju.

Uporządkowanie mechanizmu wyboru leków onkologicznych w formie odpowiednio skonstruowanego algorytmu mogłoby poprawić funkcjonowanie dotychczasowego systemu finansowania innowacyjnych terapii onkologicznych.

Sposób wyboru leków przeciwnowotworowych które byłyby finansowane przez płatnika publicznego w polskim systemie ochrony zdrowia może opierać się na propozycji Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej (PTOK) i Polskiego Towarzystwa Onkologicznego (PTO)<sup>95</sup>.

Zastosowanie obiektywnych algorytmów w ocenie i selekcji leków onkologicznych do refundacji przez płatnika w systemie opieki zdrowia może zwiększyć przejrzystość procesu podejmowania decyzji o przyznaniu finansowania. Ujednoczenie standardów oceny może z kolei poprawić

<sup>94</sup> NIK, Programy terapeutyczne i leki finansowane ze środków publicznych. Informacja o wynikach kontroli, 2014.

<sup>95</sup> Krzakowski M i wsp., Algorytm wyceny wartości nowych leków przeciwnowotworowych - propozycje Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej i Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, Onkologia w praktyce klinicznej, 2015, tom 11/1 str. 9-15.

dostępność innowacyjnych leków o potwierdzonej wartości terapeutycznej i udoskonalić zarządzanie środkami systemu opieki onkologicznej. Pod względem tych postulatów propozycja PTOK i PTO wpisuje się (np. w zakresie ocenianych wymiarów efektywności kosztowej czy wykorzystanych wskaźników) w rozwiązania stosowane lub projektowane przez zagraniczne instytucje odpowiedzialne za ocenę wartości leków onkologicznych (m.in. Europejskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej, Amerykańskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej, Cancer Drugs Fund).

Potencjalny algorytm selekcji leków do refundacji opiera się na ocenie relatywnych korzyści klinicznych dla chorego i kosztów stosowania leku przeciwnowotworowego za pomocą punktowej skali odnoszącej się do sześciu wymiarów stosowania leku:

---

**1** Oczekiwane wydłużenie życia pacjenta

---

**4** Aspekty ekonomiczne stosowania leku

---

**2** Oczekiwana poprawa jakości życia pacjenta

---

**5** Jakość dowodów naukowych dotyczących skutków stosowania danego leku

---

**3** Profil bezpieczeństwa leku

---

**6** Istnienie refundowanej alternatywy terapeutycznej

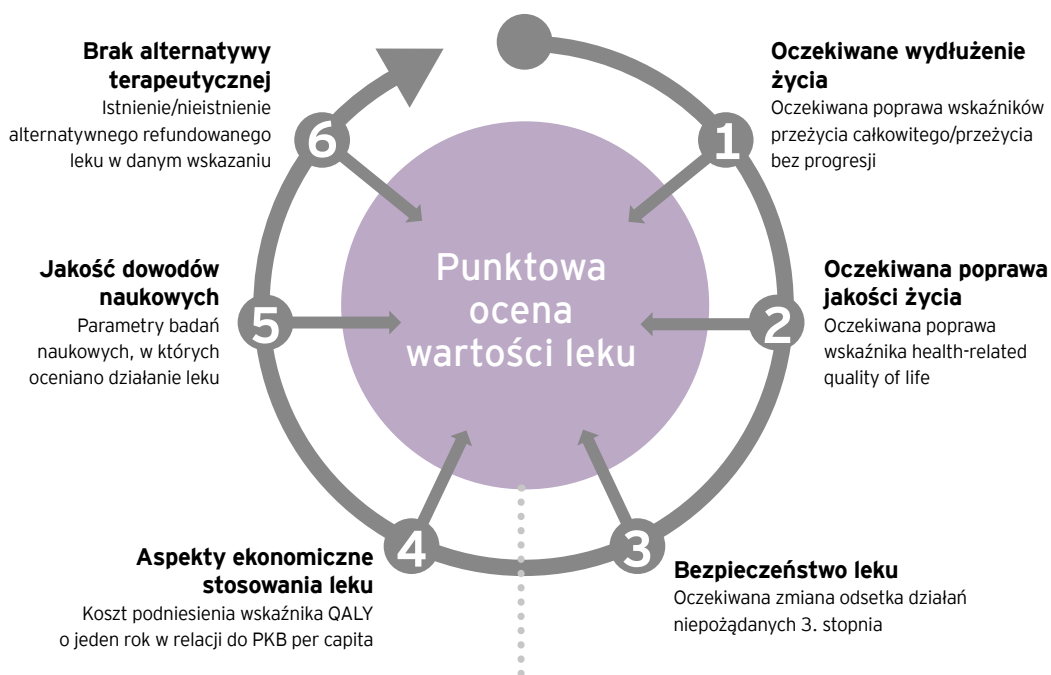
---

Stosowanie danego leku oceniane jest w wymienionych obszarach poprzez przypisanie ustalonej liczby punktów za spełnienie przez lek określonych kryteriów. Szczegółowe zasady przyznawania punktów w poszczególnych kategoriach zostały opisane w artykule „Algorytm wyceny wartości nowych leków przeciwnowotworowych – propozycja Polskiego

Towarzystwa Onkologii Klinicznej i Polskiego Towarzystwa Onkologicznego” pod redakcją prof. dr. hab. n. med. Macieja Krzakowskiego i wsp., a także w Aneksie 2 do niniejszego raportu.

Poniżej przedstawiono schemat zawierający wymiary brane pod uwagę w algorytmie oceny leków.

**Rysunek 10. Wymiary oceny wartości leku w algorytmie selekcji leków do refundacji**



**Klasyfikacja leku pod względem wartości i decyzja o udzieleniu/nieudzieleniu refundacji bądź udzieleniu refundacji po spełnieniu dodatkowych warunków**

Źródło: EY na podstawie Krzakowski M i wsp., Algorytm wyceny wartości..., op. cit.



## 1 Oczekiwane wydłużenie życia pacjenta

Ocenie podlegają odrębnie wartości wydłużenia (1) czasu przeżycia całkowitego oraz (2) czasu przeżycia wolnego od progresji choroby<sup>96</sup>, wykazane na podstawie dostępnych badań klinicznych leku i wyrażone w miesiącach. W przypadku braku oszacowań wymienionych miar w formie wskaźników bezwzględnych (mediana) stosowane mogą być wskaźniki względne, np. tzw. wartość ryzyka względnego (hazard ratio). W obu przypadkach (tj. czasu życia całkowitego i czasu przeżycia bez progresji) punkty przyznaje się za wykazane w badaniach naukowych zwiększenie mediany przeżycia pacjentów o co najmniej 2 miesiące. Największą liczbę punktów lek otrzymuje natomiast za zwiększenie wartości mediany przeżycia o 12 miesięcy lub więcej. Przyznawana punktacja jest modyfikowana w zależności od fazy i jakości badań klinicznych, w których wykazano poprawę wskaźników przeżycia wskutek stosowania ocenianego leku<sup>97</sup>.

## 2 Oczekiwana poprawa jakości życia pacjenta

Ocenie podlega zmiana jakości życia związana ze zdrowiem (*health-related quality of life*). Punkty przyznaje się za poprawę jakości życia pacjentów w wyniku zastosowania ocenianej substancji aktywnej. O wysokości punktacji decyduje jakość dowodów i metodologia stosowanych badań naukowych wykorzystanych do wykazania zmiany jakości życia pacjentów (wyższa wartość punktowa za stosowanie zwalidowanych narzędzi badawczych). W przypadku wykazania w badaniach pogorszenia jakości życia pacjentów w wyniku zastosowania leku przyznaje się punkty ujemne.

<sup>96</sup> Alternatywnymi miarami mogą być: tzw. czas przeżycia do progresji (time to progression) oraz tzw. czas przeżycia od choroby (disease-free survival).

<sup>97</sup> Na przykład, w przypadku wartości wskaźnika przeżycia bez progresji przyznaje się połowę punktów, jeśli informacje o wydłużeniu przeżycia pacjentów pochodzą z badań porównawczych II fazy.

## 3 Profil bezpieczeństwa leku

Ocenie podlega zmiana odsetka działań niepożądanych 3 stopnia<sup>98</sup>. Za zmniejszenie częstotliwości występowania działań niepożądanych wobec stosowanego (refundowanego) standardu postępowania przyznaje się punkty dodatnie. Jeśli częstotliwość występowania działań niepożądanych w wyniku stosowania leku się zwiększy, przyznawane są punkty ujemne. Liczba przyznanych punktów (dodatnich bądź ujemnych) uzależniona jest od skali zmiany częstotliwości efektów niepożądanych.

## 4 Aspekty ekonomiczne stosowania leku

Ocenie podlega inkrementalny koszt niezbędny do podniesienia o rok długości życia skorygowanej o jakość (quality adjusted life year) wobec stosowanego (refundowanego) standardu postępowania<sup>99</sup>. Liczba przyznanych punktów jest uzależniona od wartości wskaźnika QALY do wartości PKB per capita. Najwyższa ocena przyznawana jest lekom, w przypadku których koszt zwiększenia QALY względem standardowego postępowania nie przekracza 3-krotności PKB per capita<sup>100</sup>. Jeśli wskaźnik QALY oszacowany przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji jest niedostępny, ocenie może podlegać koszt ocenianej substancji wobec przeciętnego kosztu stosowanych obecnie terapii z uwzględnieniem różnic w skuteczności i toksyczności dla pacjenta. Warto zwrócić uwagę na możliwość wykorzystania mechanizmów RSS jako elementu wspierającego finansowanie kosztownych terapii onkologicznych.

<sup>98</sup> Wg klasyfikacji Common Terminology Criteria for Adverse Events.

<sup>99</sup> Wskaźnik stosowany tylko, gdy oszacowanie QALY działania danej substancji zostało zaakceptowane przez AOTMiT.

<sup>100</sup> Zwykle uznaje się, że wskaźnik QALY powyżej 3-krotności PKB per capita sugeruje brak efektywności kosztowej, jednak ze względu na ograniczenia metodologiczne - związane z szacowaniem QALY w przypadku leków nowotworowych - 1 punkt przyznaje się również, jeśli QALY dla danego leku kształtuje się w przedziale 3-4-krotności PKB per capita. O punktów i punkty ujemne przyznaje się dopiero, gdy koszt zwiększenia QALY o jeden rok osiąga kolejne wielokrotności PKB per capita.

### 5 Jakość dowodów naukowych

Ocenie podlega jakość dowodów naukowych dotyczących działania leku. Uwzględniane są między innymi: faza badań klinicznych, w której oceniano skutki działania leku, sposób doboru chorych do próby (losowa/nie losowa), istnienie publikacji pełnotekstowych dotyczących skuteczności leku w pismach recenzowanych.

### 6 Istnienie refundowanej alternatywy terapeutycznej

Ocenianemu lekowi przypisuje się punkty, jeśli nie występuje dla niego (w danym wskazaniu) refundowana ze środków publicznych alternatywa terapeutyczna i o ile korzyści w zakresie zwiększenia przeżywalności bez progresji i przeżywalności całkowitej związanej ze stosowaniem leku przekraczają 2 miesiące.

Suma punktów przyznanych w każdym z wymiarów stanowi podstawę zaklasyfikowania leku do jednej z kategorii (A-E) uzasadniających podjęcie określonej decyzji o udzieleniu bądź nieudzieleniu refundacji leku ze środków funduszu, ewentualnie udzieleniu refundacji

po spełnieniu dodatkowych warunków (tabela 7). Szczegóły dotyczące ilości przyznawanych punktów w poszczególnych kategoriach znajdują się w Aneksie nr 2.

**Tabela 7. Kategorie leków wyróżnione na podstawie oceny z wykorzystaniem algorytmu PTOK i PTO**

Kat.	Sumaryczna wartość punktowa	Ocena leku	Rekomendowana decyzja o refundacji
A	≥9	Bardzo wysoka jakość terapeutyczna	Uzasadnione przyznanie finansowania leku
B	7-8	Wysoka jakość terapeutyczna	Uzasadnione przyznanie finansowania leku
C	5-6	Umiarkowana jakość terapeutyczna	Możliwe finansowanie leku przy rozważeniu wykorzystania instrumentu dzielenia ryzyka
D	3-4	Niska wartość dodana leku	Możliwość rozważenia finansowania, jeśli producent zaproponuje instrument dzielenia ryzyka zapewniający efektywność kosztową wobec obowiązującego progu
E	0-2	Znikoma wartość leku	Brak uzasadnienia finansowania leku w żadnym przypadku

Źródło: EY na podstawie Krzakowski M i wsp., Algorytm wyceny wartości..., op. cit.

W przypadku każdego z wymiarów oceniany jest stan wiedzy o działaniu leku w momencie dokonywania oceny. Oznacza to, że pojawienie się nowych dowodów dotyczących skuteczności leku może zmienić jego ocenę i decyzję o finansowaniu.

# Kontrola funkcjonowania funduszu

Kontrola funduszu powinna zawierać dwa podstawowe elementy:

- ▶ Kontrolę realizacji budżetu,
- ▶ Zbieranie informacji o zrealizowanych terapiach.

Budżet funduszu powinien zostać określony odgórnie. Zmiany dotyczące dostępnych terapii lekowych i terapii finansowanych przez NFZ oraz ewentualne zmiany w liczbie pacjentów ze wskazaniami do konkretnego leczenia wymagają precyzyjnego monitorowania w kontekście wydatków bieżących w zestawieniu z budżetem całkowitym. W związku z powyższym zespół ds. terapii powinien zostać zobowiązany do przygotowywania comiesięcznych zestawień wydatków.

Natomiast procedury kontrolne związane z weryfikacją realizacji wydatków na wnioskowane leczenie powinny być realizowane przez NFZ, zgodnie z obowiązującymi procedurami kontrolnymi NFZ.

Ponadto, chcąc oceniać wpływ finansowanych terapii onkologicznych na wyniki leczenia, konieczne jest zbieranie danych. Terapie lekowe finansowane z funduszu powinny być rejestrowane przez przedstawiciela konsylium w centralnym spisie leczenia innowacyjnymi terapiami onkologicznymi. Poniżej przedstawiono przykładowe kategorie danych, które powinny być gromadzone przez fundusz w celach analitycznych:

- ▶ Profil pacjenta,
- ▶ Pierwotna diagnoza,
- ▶ Klasyfikacja choroby wg ICD10,
- ▶ Nazwa leku,
- ▶ Schemat terapii,
- ▶ Czas trwania terapii,
- ▶ Dane jednostki prowadzącej leczenie.

Skrupulatne zbieranie danych ma bardzo duże znaczenie w kontekście rozwoju leczenia onkologicznego, a tym samym może przyczynić się do powstawania coraz lepszych metod terapeutycznych. Należy podkreślić, że zgromadzone statystyki powinny mieć charakter dobra publicznego, co pozwoli m.in. onkologicznym towarzystwom naukowym pozyskać dodatkowe źródło danych.

Wiedza pozyskana w wyniku przeprowadzonych terapii pozwoli w dłuższej perspektywie oceniać skuteczność terapii i precyzyjnie dobierać leczenie dla konkretnych typów wskazań. Dzięki temu środki przeznaczone na realizację celów funduszu będą wykorzystywane coraz bardziej efektywnie.

Ponadto gromadzenie wyników dotyczących terapii mogłoby stanowić narzędzie do skutecznego zastosowania mechanizmów dzielenia ryzyka opartych na wynikach leczenia (np. pay for performance).

## Kategorie danych

gromadzonych przez fundusz w celach analitycznych



Profil pacjenta



Pierwotna diagnoza



Klasyfikacja choroby wg ICD10



Nazwa leku



Schemat terapii



Czas trwania terapii



Dane jednostki prowadzącej leczenie

## Założenia prawno-regulacyjne

Uruchomienie funduszu dedykowanego finansowaniu innowacyjnych terapii onkologicznych wiąże się z uregulowaniem jego istnienia w odpowiednich aktach prawnych. Proponowane rozwiązanie dotyka przede wszystkim dwóch podstawowych aktów prawnych rangi ustawowej:

- ▶ Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2015 r. poz. 345), zwanej dalej „ustawą refundacyjną”,
- ▶ Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.), zwanej dalej „ustawą o świadczeniach”.

Zakres ustawy refundacyjnej obejmuje kwestie finansowania ze środków publicznych określonych kategorii leków, a to jest istotą proponowanego rozwiązania. Należy mieć jednak świadomość, że zasady funkcjonowania funduszu istotnie różnią się od zasad refundacji leków określonych w tej ustawie.

---

### Ponadto biorąc pod uwagę, że druga z analizowanych ustaw, ustawa o świadczeniach:

- ▶ **Określa zadania ministra właściwego do spraw zdrowia** - któremu proponuje się przypisanie nowych kompetencji,
- ▶ **Określa zadania Narodowego Funduszu Zdrowia** - któremu proponuje się przypisanie nowych kompetencji,
- ▶ **Obejmuje swoim zakresem** ogólne zasady finansowania świadczeń opieki zdrowotnej ze środków publicznych,
- ▶ **Obejmuje swoim zakresem tzw. pakiet onkologiczny** (przepisy dotyczące pakietu onkologicznego mogą być w części wykorzystane w odniesieniu do propozycji w zakresie „włączenia” pacjenta do leczenia przy pomocy innowacyjnych terapii onkologicznych),

to właśnie jej zakres przedmiotowy pozwala na uwzględnienie odpowiednich regulacji związanych z uruchomieniem funduszu przeznaczonego finansowaniu innowacyjnych terapii onkologicznych.

## Ustanowienie funduszu celowego

Istotą zaprojektowanego funduszu jest ustanowienie odrębnego („celowanego”) źródła finansowania innowacyjnych terapii onkologicznych. Kluczowe jest w związku z tym ustalenie, w jaki sposób precyzyjnie skierować strumień środków publicznych.

Właściwym narzędziem w tym zakresie wydaje się być państwowy fundusz celowy, o którym mowa w art. 29 ustawy z dnia 27 sierpnia 2009 r. o finansach publicznych (Dz. U. z 2013 r. poz. 885, z późn. zm.). Stanowi on wyodrębniony rachunek bankowy, a jego dysponentem jest minister wskazany w ustawie tworzącej fundusz albo inny organ wskazany w tej ustawie.

W związku z treścią art. 29 ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2009 r. o finansach publicznych niezbędne będzie zatem wprowadzenie przepisu, który ustanowi ten fundusz w ustawie o świadczeniach.

Kolejnym istotnym przepisem będzie wskazanie źródeł przychodów tego funduszu będących środkami publicznymi. Źródłami będą w szczególności:

- ▶ Środki pochodzące z budżetu państwa,
- ▶ Część wpływów Narodowego Funduszu Zdrowia pochodzących ze składek na ubezpieczenie zdrowotne,
- ▶ Środki pochodzące od producentów leków innowacyjnych przekazywane przez podmiot odpowiedzialny, przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego, podmiot uprawniony do importu równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. - Prawo farmaceutyczne.

## Ustanowienie dysponenta funduszu

Kolejną kwestią jest wskazanie organu, który będzie dysponentem funduszu. Zgodnie z art. 29 ust. 4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2009 r. o finansach publicznych dysponentem może być minister wskazany w ustawie tworzącej fundusz albo inny organ wskazany w tej ustawie. Zgodnie z zaproponowanym rozwiązaniem dysponentem środków funduszu powinien być minister właściwy do spraw zdrowia.

Do rozważenia pozostaje kwestia, czy na poziomie ustawowym rozstrzygać o organizacyjnym umocowaniu jednostki, która miałaby wykonywać zadania ministra związane z obsługą funduszu. Wydaje się to niecelowe z legislacyjnego punktu widzenia.

Należy określić strukturę gremium oceniającego dany lek poprzez wskazanie, że w jego skład wchodzi w szczególności: onkolodzy, przedstawiciele pacjentów, przedstawiciele organizacji branżowych, a także tryb jego działania (szczegółowe kwestie związane z trybem i organizacją mogą zostać dookreślone na poziomie aktu wykonawczego). Gremium to działałoby jako umocowany ustawą organ opiniotwórczo-doradczy przy ministrze właściwym do spraw zdrowia.

W celu transparentności procesu warto rozważyć nałożenie na członków tego zespołu obowiązku składania deklaracji o braku konfliktu interesów (na zasadach analogicznych do Rady Przejrzystości przy Prezesie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji - por. art. 31s ust. 8 i nast. ustawy o świadczeniach).

### Przepisy dotyczące mechanizmu oceny wniosków o finansowanie

Mechanizm oceny wniosków o sfinansowanie innowacyjnych terapii onkologicznych powinien zostać opisany w ustawie o świadczeniach.

W szczególności należy opisać zasady:

- ▶ Podejmowania decyzji co jest finansowane,
- ▶ Podejmowania decyzji o umieszczeniu leków na liście leków finansowanych ze środków funduszu (na podstawie zdefiniowanego algorytmu),
- ▶ Wydawania decyzji o uruchomieniu leczenia.

Warto podkreślić, że użyte powyżej słowo „decyzja” jest jak najbardziej uzasadnione, bowiem proponowane przepisy powinny jednoznacznie wskazywać na decyzję administracyjną jako sposób dokonywania powyższych rozstrzygnięć.

### Przepisy dotyczące listy leków

W zakresie przepisów dotyczących zasad ustalania listy leków mogących podlegać finansowaniu z funduszu istotne będzie określenie obiektywnych kryteriów ich opisu, a więc wskazanie, że na liście potencjalnie mogą znaleźć się leki, dla których złożony został wniosek o refundację do Ministerstwa Zdrowia, w tym:

- ▶ Odrzucone przez AOTMiT jako nieefektywne ekonomicznie w ramach podstawowego procesu refundacyjnego,
- ▶ Refundowane tylko w niewielkim zakresie wskazań ze względu na nieefektywność ekonomiczną,
- ▶ Ocenione pozytywnie przez AOTMiT w ramach podstawowego procesu refundacyjnego, ale odrzucone przez Komisję Ekonomiczną/MZ,
- ▶ Leki, które nie zostały jeszcze poddane ocenie AOTMiT,

- ▶ Leki poza wskazaniami rejestracyjnymi - w uzasadnionych, możliwie precyzyjnie opisanych przypadkach,
- ▶ Testy diagnostyki molekularnej (konieczne w procesie kwalifikacji do leczenia dla określonej grupy pacjentów, u których prawdopodobieństwo odniesienia korzyści z leczenia jest najwyższe),
- ▶ Terapie lekowe, które są w trakcie badań klinicznych, a ocena skuteczności leku jest głównym przedmiotem badania z udziałem chorych na daną jednostkę chorobową.

### Przepisy dotyczące oceny leków na podstawie algorytmu

Kolejną grupą przepisów, które powinny znaleźć się w ustawie o świadczeniach są przepisy regulujące zasady oceny leków w sposób możliwie jak najbardziej obiektywny i przejrzysty. Przepisy powinny zawierać opis kryteriów branych pod uwagę przy ustalaniu algorytmu, to znaczy:

- ▶ Wskaźników przeżycia,
- ▶ Jakości życia związanej ze zdrowiem chorego,
- ▶ Profilu bezpieczeństwa leku,
- ▶ Ekonomicznych aspektów terapii,
- ▶ Dowodów naukowych dotyczących skutków stosowania danego leku,
- ▶ Istnienia refundowanej alternatywy terapeutycznej.

Przy formułowaniu konkretnych rozwiązań można oprzeć się na terminologii ustalonej w przepisach ustawy refundacyjnej dotyczących opisu wniosków o objęcie refundacją i sposobu rozpatrywania wniosków przez Komisję Ekonomiczną. Uszczegółowienie powyższego algorytmu może nastąpić na poziomie rozporządzenia ministra właściwego do spraw zdrowia.

## Przepisy dotyczące zasad składania wniosków

Kolejną grupą przepisów, które powinny zostać uwzględnione w ustawie o świadczeniach, są przepisy określające zasady składania wniosków o objęcie leczeniem innowacyjnym lekiem onkologicznym, a także zasady ich rozpatrywania.

Po pierwsze należy opisać wniosek o leczenie na poziomie lokalnym. W tym zakresie zasadne wydaje się wykorzystanie rozwiązań zawartych w art. 32a ustawy o świadczeniach w zakresie, w jakim przepisy tego artykułu definiują krąg lekarzy zaangażowanych w wydawanie karty diagnostyki i leczenia onkologicznego oraz prowadzenie pacjenta już po wydaniu karty.

Istotne jest sformułowanie warunków „progowych” będących podstawą do ubiegania się o innowacyjne leczenie onkologiczne. Tu w pierwszej kolejności należy wskazać swoistą subsydiarność omawianych rozwiązań, rozumianą jako wyczerpanie czy też brak możliwości leczenia w ramach ogólnych zasad, w tym programów lekowych.

## Przepisy dotyczące analizy wyników terapii

Należy uregulować zasady analizy wyników terapii celem weryfikacji skuteczności leczenia. Tu istotnym narzędziem będzie nowy, dedykowany rejestr medyczny w rozumieniu art. 19 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia (Dz. U. z 2015 r. poz. 636 i 788). Sam rejestr powinien zostać ustanowiony rozporządzeniem ministra właściwego do spraw zdrowia, zgodnie z art. 20 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia.

## Uwzględnienie roli Narodowego Funduszu Zdrowia

Kolejnym blokiem przepisów są przepisy określające nowe zadanie Narodowego Funduszu Zdrowia, nałożone jako powierzenie ustawowe, polegające na monitorowaniu realizacji leczenia i rozliczania w zakresie leczenia innowacyjnymi lekami onkologicznymi finansowanymi z funduszu celowego.

## Szacunek kosztów związanych z realizacją zadań funduszu

Oszacowanie kosztów realizacji zadań proponowanego funduszu wykonano w oparciu o następujące założenia:

- ▶ Funkcjonowanie funduszu zapewni dostępność innowacyjnych leków przeciwnowotworowych (mierzoną wolumenem sprzedaży leku w mg na jednego pacjenta) na poziomie równym określonej w poniższych szacunkach części przeciętnej dostępności w grupie krajów europejskich<sup>101</sup>.
- ▶ Zwiększenie wykorzystania innowacyjnych lekowych terapii przeciwnowotworowych może wpłynąć na zmniejszenie konieczności użycia leków stosowanych dotychczas w chemioterapii (np. ze względu na potencjalne zwiększenie skuteczności terapii w tożsamyh wskazaniach i rzutach leczenia, zmniejszenie toksyczności i ograniczenie konieczności stosowania leków, co z kolei ogranicza występowanie liczby działań niepożądanych).
- ▶ Oszacowanie kosztu funkcjonowania funduszu przeprowadzono na podstawie danych dotyczących wolumenów zużycia i wartości sprzedaży 30 najbardziej powszechnych innowacyjnych leków przeciwnowotworowych<sup>102</sup>. Innymi słowy, przyjęto perspektywę statyczną, zakładając, że koszty realizacji zadań funduszu będą – przynajmniej w początkowym okresie jego działalności – w pełni wynikały z konieczności zwiększenia skali wykorzystania leków innowacyjnych dostępnych obecnie na polskim rynku (i w niektórych przypadkach podlegających refundacji NFZ).

Analizie poddano poziom zużycia wyselekcjonowanych 30 leków przeciwnowotworowych w przeliczeniu na zgon spowodowany nowotworem, który był wskazaniem

do stosowania danego leku. Założono, że relacje wolumenu sprzedaży poszczególnych leków onkologicznych na jeden zgon (spowodowany nowotworem, w przypadku którego stosowany jest określony lek) pomiędzy krajami odpowiadają relacjom zużycia leków w przeliczeniu na pacjenta między tymi krajami<sup>103</sup>. Przyjęcie takiego założenia było konieczne ze względu na ograniczoną dostępność danych dotyczących liczby pacjentów onkologicznych. Dane na temat wolumenu sprzedaży poszczególnych leków pochodzą z raportu EY dla Fundacji Alivia „Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii” i dotyczą okresu od IV kw. 2013 do III kw. 2014, natomiast dane o liczbie zgonów z powodu chorób onkologicznych, w leczeniu których stosuje się wymienione leki, zaczerpnięto z bazy danych Eurostat z roku 2011.

Chcąc oszacować koszty realizacji zadań proponowanego funduszu, porównano poziom zużycia poszczególnych leków innowacyjnych w przeliczeniu na pacjenta w Polsce do przeciętnego zużycia na pacjenta w grupie krajów europejskich. W przypadku, gdy zużycie danego leku w Polsce było niższe od poziomu 67% przeciętnego zużycia w grupie porównawczej, przyjęto, że kosztem dla funduszu będzie iloczyn trzech wartości: (i) różnicy w zużyciu leku na zgon pomiędzy Polską a grupą porównawczą, (ii) ceny jednostkowej stosowanej w Polsce (w przypadku braku cen dla rynku polskiego przyjęto przeciętną cenę jednostkową w grupie porównawczej) oraz (iii) liczby zgonów z powodu danego nowotworu w Polsce.

Spośród 30 analizowanych onkologicznych leków innowacyjnych, w Polsce jedynie 18 z nich jest refundowanych, z czego tylko 2 bez dodatkowych ograniczeń<sup>104</sup>. Skala relatywnej dostępności tych

---

<sup>101</sup> Grupa krajów uwzględnionych w analizie obejmuje: Czechy, Francję, Niemcy, Holandię, Słowację, Hiszpanię, Wielką Brytanię, Włochy, Austrię, Węgry, Rumunię oraz Szwajcarię.

<sup>102</sup> Należą do nich: Abraxane, Adcertis, Afinitor, Alimta, Avastin, Dacogen, Erbitux, Halaven, Intyla, Iressa, Jakavi, Jevtana, Kadcyla, Nexavar, Parjeta, Sprycel, Stivarga, Sutent, Tafinlar, Tarceva, Tasigna, Tyverb (Tykerb), Vectibix, Vidaza, Votrient, Xalkori, Yervoy, Yondelis, Zaltrap, Zelboraf. Porównaj: EY, Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii, 2015.

---

<sup>103</sup> Innymi słowy, przyjęto, że relacja rocznej liczby zgonów do przeciętnej liczby leczonych pacjentów w przypadku poszczególnych nowotworów jest równa w każdym z analizowanych krajów. Liczba zgonów nie przybliżyła w analizie liczby pacjentów cierpiących na dane schorzenie.

<sup>104</sup> EY, Dostępność innowacyjnych leków..., op. cit.



leków (w stosunku do przeciętnej w krajach europejskich) jest zróżnicowana. Większość innowacyjnych leków refundowanych w Polsce nie osiągała w okresie od IV kw. 2013 do III kw. 2014 połowy średniego zużycia w przeliczeniu na pacjenta w porównaniu z analizowaną grupą krajów. W Polsce jedynie w przypadku dwóch leków odnotowano wyższe niż średnie zużycie na pacjenta (w porównaniu z analizowaną grupą krajów). Założono, że proponowany fundusz nie musi finansować dostępności wszystkich analizowanych leków na poziomie 100% średniej, ale powinien zapewnić ich zużycie na poziomie co najmniej 2/3 przeciętnego zużycia w analizowanej grupie krajów<sup>105</sup>.

**Koszt sfinansowania zużycia poszczególnych leków na poziomie co najmniej 67% średniej w analizowanej grupie krajów wyniósłby 1,420 mld PLN. Wartość sprzedaży analizowanych leków innowacyjnych ukształtowała się w Polsce na poziomie ok. 526 mln PLN<sup>106</sup>. Oznacza to, że uruchomienie funduszu wymagałoby wzrostu wydatków na finansowanie leków onkologicznych w Polsce o 894 mln PLN.**

Powyższa kalkulacja zakłada, że zwiększenie wykorzystania analizowanych leków nie wpłynęłoby na zużycie innych, stosowanych obecnie w Polsce leków przeciwnowotworowych. W 2014 r. Narodowy Fundusz Zdrowia przeznaczył na finansowanie leków stosowanych

w chemioterapii ok. 1,7 mld PLN<sup>107</sup>. Z tej kwoty ok. 540 mln PLN zostało wykorzystanych na finansowanie leków należących do grupy 30 analizowanych leków. Oznacza to, że poza lekami znajdującymi się na liście analizowanych leków innowacyjnych NFZ przeznaczył ok. 1,160 mld PLN na inne leki przeciwnowotworowe. Wzrost zużycia leków innowacyjnych mógłby obniżyć wydatki w tym zakresie (np. z tytułu potencjalnie wyższej skuteczności leków nowych generacji od leków standardowo stosowanych w tożsamych wskazaniach bądź niższej toksyczności leków innowacyjnych).

**Zmniejszenie wydatków na leki spoza listy analizowanych w wyniku zwiększenia wykorzystania leków innowacyjnych o 20%<sup>108</sup> mogłoby zredukować dodatkowe obciążenie finansowe krajowego systemu ochrony zdrowia z tytułu uruchomienia funduszu do 663 mln PLN.**

Wyższe koszty realizacji zadań proponowanego funduszu wystąpiłyby w przypadku konieczności zapewnienia dostępności do wszystkich 30 leków innowacyjnych na poziomie nie niższym niż 100% średniej w grupie porównawczej. W takim przypadku - zakładając 20% spadek kosztów finansowania pozostałych leków przeciwnowotworowych - ogólny koszt finansowania leków onkologicznych w Polsce wzrósłby o 1,285 mld PLN wobec obecnego poziomu.

<sup>107</sup> Suma wartości finansowania: (i) leków stosowanych w chemioterapii w ramach rodzaju usług leczenie szpitalne, (ii) wartości refundacji 30 leków wybranych do analizy (w ramach programów lekowych) oraz (iii) innych leków stosowanych we wskazaniach onkologicznych finansowanych w ramach programów lekowych (Glivec, Herceptin, Revlimid, Lucrin Depot, Dipherline, Zytiga). W przypadku leków znajdujących się zarówno na liście refundacyjnej w ramach programów lekowych, jak i chemioterapii (Docetaxel, IntronA, MabThera, Levact) przyjęto, że ich wykorzystanie jest finansowane w połowie ze środków przeznaczonych na programy lekowe.

<sup>108</sup> Oszacowanie skali substytucji między lekami z analizowanej grupy a lekami stosowanymi obecnie w Polsce leży poza zakresem analizy.

<sup>105</sup> Przyjęto, że fundusz będzie finansował zwiększenie dostępności leków innowacyjnych do poziomu 67% ich przeciętnego zużycia w krajach europejskich, co odpowiada stosunkowi PKB per capita w parytecie siły nabywczej w Polsce wobec Unii Europejskiej. To założenie oznacza również, że uruchomienie funduszu nie powinno zmniejszyć dostępności leków innowacyjnych, których wykorzystanie w Polsce kształtuje się obecnie powyżej 67% przeciętnego wykorzystania w analizowanych krajach.

<sup>106</sup> W obliczeniach przyjęto średnią wartość kursu EUR/PLN z okresu IV kw. 2013 - III kw. 2014.

Koszt sfinansowania leków na poziomie co najmniej

**67%**

średniego zużycia w analizowanej grupie krajów

oznacza, że realizacja zadań funduszu



spowoduje wzrost wydatków na finansowanie leków onkologicznych o

**894  
mln PLN**

## Korzyści wynikające z wprowadzenia funduszu

Diagnoza przedstawiona w raporcie EY „Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów Unii Europejskiej oraz Szwajcarii” wskazuje na ograniczony dostęp do innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce. Podobna diagnoza została postawiona w 2010 roku w Wielkiej Brytanii. Były to wnioski z raportu „Extent and causes of international variations in drug usage” opracowanego dla Ministra Zdrowia Wielkiej Brytanii. Wykazano, że wykorzystanie leków onkologicznych w Wielkiej Brytanii jest jednym z niższych w porównaniu z 14 analizowanymi krajami europejskimi<sup>109</sup>. Rozpoczęto prace nad rozwiązaniem, które przyczyniłoby się do stworzenia chorym możliwości otrzymywania innowacyjnych terapii onkologicznych, a jednocześnie zapewniłoby kwalifikację leków opartą na obiektywnych kryteriach przy zachowaniu efektywności kosztowej. W tym celu zaprojektowano Cancer Drugs Fund (CDF) przeznaczony do finansowania innowacyjnych terapii przeciwnowotworowych.

### Główne cechy rozwiązania wdrożonego w Anglii to:

---

- ▶ Schemat leczenia z wykorzystaniem innowacyjnych leków określany jest przez lekarza w ramach prowadzonej opieki onkologicznej
- ▶ Środki finansowe podążają za pacjentem, który leczony jest w sposób kompleksowy, na podstawie transparentnych i równych zasad

---

<sup>109</sup> Richards M, Extent and causes of international variations in drug usage, a report for the Secretary of State for Health, July 2010.

W modelu angielskim kluczowym jest pozostawienie wyboru rodzaju terapii w rękach lekarzy prowadzących. Uznano, że to oni najlepiej znają swoich pacjentów i przebieg choroby. Ponadto udostępnienie pacjentom innowacyjnych terapii lekowych na transparentnych zasadach może, w dłuższej perspektywie, przyczynić się do poprawy wskaźników przeżywalności oraz poprawy jakości życia chorych na nowotwory.

Niezależny fundusz powołany w celu finansowania innowacyjnych terapii onkologicznych niesie ze sobą wiele korzyści. Można je rozdzielić na trzy kategorie<sup>110</sup>:

## 1 Dostęp do leków

- ▶ Stworzenie platformy umożliwiającej sprawne korzystanie z innowacyjnych leków onkologicznych,
- ▶ Zastosowanie transparentnego algorytmu wyboru leków – zablokowanie możliwości kierowania się interesami poszczególnych ekspertów czy firm farmaceutycznych,
- ▶ Bieżące zapewnienie dostępności najnowocześniejszych leków dzięki cyklicznemu aktualizowaniu listy leków,
- ▶ Przyspieszenie uruchomienia leczenia od momentu postawienia diagnozy.

## 2 Korzyści pacjentów

- ▶ Podejmowanie szybkich decyzji na transparentnych i równych zasadach,
- ▶ Indywidualne traktowanie pacjentów – dogłębne zrozumienie każdego przypadku.

## 3 Poprawa procesu leczenia

- ▶ Przekazanie w ręce lekarzy decyzji związanej z wyborem innowacyjnej terapii,
- ▶ Wprowadzenie jasnych i sprawiedliwych zasad finansowania leczenia,
- ▶ Uwzględnienie algorytmu, który zapewni transparentny proces wyboru leków finansowanych ze środków funduszu,
- ▶ Połączenie w jednym modelu różnorodnych źródeł finansowania z uwzględnieniem udziału firm farmaceutycznych (RSS),
- ▶ Rejestrowanie danych (realizowanych terapii) będzie stanowić źródło do analiz skuteczności terapii i może przyczynić się do usprawnienia właściwego doboru leczenia przyszłych pacjentów oraz stanowić podstawę do podejmowania i/lub weryfikacji decyzji w zakresie włączenia leku do systemu refundacyjnego.

<sup>110</sup> Department of Health, Improving Outcomes: A Strategy for Cancer, January 2011; Department of Health, The Cancer Drugs Fund, A consultation, October 2010; Department of Health, Equity and excellence: Liberating the NHS, July 2010; Richards M, Extent and causes of international variations in drug usage, a report for the Secretary of State for Health, July 2010; NHS England, Standard Operating Procedures: The Cancer Drugs Fund (CDF) Guidance to support operation of the CDF in 2014-15, November 2014; NHS England, Standard Operating Procedures: The Cancer Drugs Fund (CDF) Guidance to support operation of the CDF in 2015-16, May 2015; Macmillan Cancer Support, Improving access? Report on the implementation of the Cancer Drugs Fund and the development of a value-based pricing system, December 2011.

Zaprojektowane rozwiązanie może stanowić przedmiot porównań ze stosowaną do 31 grudnia 2014 chemioterapią niestandardową. Należy jednak zaznaczyć, że proponowany fundusz różni się od stosowanego wcześniej rozwiązania. Wśród kluczowych różnic, a zarazem korzyści funduszu w stosunku do chemioterapii niestandardowej można wymienić:

- ▶ Transparentność procesu oceny (w przypadku chemioterapii niestandardowej kryteria oceny nie były przejrzyste, zasady refundacji różniły się pomiędzy oddziałami NFZ - wniosek z raportu NIK)<sup>111</sup>.
- ▶ Możliwość ubiegania się o finansowanie leczenia pomimo odrzucenia leku przez AOTMiT (w przypadku chemioterapii niestandardowej nie było to możliwe).


Ponadto należy zwrócić uwagę, iż możliwość finansowania leków poza ich wskazaniami rejestracyjnymi, stanowiąca jeden z elementów funduszu, jest również zawarta w Ustawie refundacji leków, środków spożywczych

specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z dnia 12 maja 2011 r. w artykule 40. Ustawa umożliwia Ministrowi Zdrowia wydanie decyzji o objęciu refundacją leku w zakresie wskazań odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Fakt ten nie wyklucza jednak włączenia do zakresu funduszu finansowania leczenia onkologicznego lekami poza ich wskazaniami rejestracyjnymi. Szersze zdefiniowanie zakresu potencjalnie finansowanego leczenia jest istotne z punktu widzenia pacjenta. Fundusz może stać się instancją, która całościowo obejmie leczenie innowacyjnymi lekami onkologicznymi.


Polska onkologia, a przede wszystkim polscy pacjenci, potrzebują zmian. Poprawa jakości i wyników systemu opieki onkologicznej mogłaby być bezpośrednim efektem uruchomienia funduszu. Należy jednak spojrzeć na jego zalety w szerszym kontekście. Efekty działania funduszu udostępniającego finansowanie innowacyjnych terapii będą możliwe do zaobserwowania w dłuższej perspektywie.

### **Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych może pozytywnie wpłynąć na:**

**1** Zdrowie polskiego społeczeństwa, tj. możliwe jest, że poprawią się wskaźniki przeżywalności oraz podwyższy się komfort życia pacjentów.



**2** Obniżenie kosztów pośrednich wynikających z chorób nowotworowych, co umożliwiłoby większy wzrost PKB.



Pacjenci nie wybierają rodzaju nowotworu. Zaprojektowane rozwiązanie uwzględni potrzeby pacjentów w wyjątkowych sytuacjach i sprawia, że fundusz w takim kształcie jest sprawiedliwy i zgodny z konstytucyjnym prawem ochrony zdrowia. Umożliwienie korzystania z innowacyjnych terapii onkologicznych może być dla każdego pacjenta szansą na dłuższe oraz bardziej komfortowe życie.

<sup>111</sup> Raport NIK, Programy terapeutyczne i lekowe finansowane ze środków publicznych. Informacja o wynikach kontroli, 2014



# Aneks 1

---

Zestawienie  
najważniejszych  
danych  
liczbowych

## Aneks 1

Rok	Zmienna/Parametr	Wartość	Źródło
<b>Dane makroekonomiczne</b>			
2013	PKB	1 662,7 mld PLN	Eurostat
2013	Liczba pracujących	15,6 mln	Eurostat - Labour Force Survey
2013	Wskaźnik zatrudnienia (odsetek pracujących do populacji w wieku produkcyjnym)	60%	Eurostat
Uniwersalne	Stopa dyskonta	5%	Rozporządzenie Ministra Zdrowia
Uniwersalne	Korekta ze względu na malejącą krańcową produktywność pracy	0,65	Komisja Europejska
2013	Rok roboczy	250 dni	Założenie
<b>Absencja osób chorych</b>			
2013	Liczba dni absencji chorobowej (nowotwory złośliwe)	4 462 385	ZUS
2013	Liczba zaświadczeń - zwolnień (szt.), nowotwory złośliwe	185 816	ZUS
2013	Średni czas trwania absencji (dni)	24	ZUS
2013	Udział nowotworów złośliwych w liczbie zwolnień ogółem	1,07%	ZUS
2013	Liczba zaświadczeń - zwolnień (szt.) - ubezpieczeni w KRUS	17 833	Szacunek EY
2013	Liczba dni absencji chorobowej (nowotwory złośliwe) - ubezpieczeni w KRUS	428 271	Szacunek EY
<b>Zgony</b>			
2013	Liczba zgonów z powodu nowotworów złośliwych	94 080	GUS
<b>Niezdolność do pracy</b>			
2013	Liczba rent z tytułu niezdolności do pracy (całkowita i częściowa), spowodowanych przez nowotwór złośliwy	77 080	ZUS
2013	Liczba rent socjalnych (niezdolność do pracy powstała przed 18 r.ż.), spowodowanych przez nowotwór złośliwy	4 116	ZUS

## Aneks 1

Rok	Zmienna/Parametr	Wartość	Źródło
2013	Odsetek liczby rent z tytułu niezdolności do pracy spowodowanych przez nowotwór złośliwy	6,2%	ZUS
<b>Prezenteizm osób chorych</b>			
2004	Populacja chorych na nowotwór złośliwy	272 300	GUS (badanie ankietowe)
2009	Populacja chorych na nowotwór złośliwy	287 200	GUS (badanie ankietowe)
2013	Populacja chorych na nowotwór złośliwy	304 405	Szacunek EY
	Stopień ograniczenia produktywności chorych:	18,1%	Szacunek EY na podstawie:
1999	Goetzel 1.	1,9%	Goetzel i wsp. (2004)
2004	Goetzel 2.	15,0%	Goetzel i wsp. (2004)
2011	Macioch i Hermanowski	37,3%	Macioch i Hermanowski (2012), badanie ankietowe
<b>Absenteizm i prezenteizm opiekunów</b>			
2011	Stopień ograniczenia produktywności członków rodziny	21%	Macioch i Hermanowski (2012), badanie ankietowe, WPAI-SHP
2011	Odsetek całej populacji, która jest aktywna zawodowo i opiekuje się członkiem rodziny chorym na nowotwór	0,476%	Macioch i Hermanowski (2012), badanie ankietowe, WPAI-SHP
2013	Liczba osób pracujących i opiekujących się członkiem rodziny chorym na nowotwór	181 266	Szacunek EY
2013	Opieka nad dzieckiem (z powodu nowotworu) - liczba dni	1 293 300	Szacunek EY
2013	Opieka nad innym członkiem rodziny (z powodu nowotworu) - liczba dni	7 934 100	Szacunek EY





# Aneks 2

---

Punktacja  
w algorytmie  
oceny leków

## Punktacja w poszczególnych obszarach definiujących algorytm oceny wartości nowych leków przeciwnowotworowych - propozycja Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej i Polskiego Towarzystwa Onkologicznego<sup>112</sup>

Ilościowa ocena korzyści terapeutycznej związanej z poprawą czasu przeżycia			
Zwiększenie mediany PFS, DFS lub TTP		Zwiększenie mediany OS	
Zakres wyniku	Punktacja	Zakres wyniku	Punktacja
< 2 miesiące	0	< 2 miesiące	0
2-3 miesiące	1	2-3 miesiące	2
4-5 miesiące	1,5	4-5 miesiące	3
6-7 miesiące	2	6-7 miesiące	4
8-9 miesiące	2,5	8-9 miesiące	5
10-11 miesięcy	3	10-11 miesięcy	6
≥ 12 miesięcy	3,5	≥ 12 miesięcy	7

PFS (progression-free survival) – czas przeżycia wolnego od progresji choroby; DFS (disease-free survival) – czas przeżycia wolnego od choroby; TTP (time to progression) – czas do progresji; OS (overall survival) – czas przeżycia całkowitego

Ilościowa ocena zmniejszenia ryzyka względnego progresji, nawrotu lub zgonu*			
Zmniejszenie ryzyka względnego progresji lub nawrotu (PFS, DFS lub TTP)		Zmniejszenie ryzyka względnego zgonu (OS)	
HR	Punktacja	HR	Punktacja
< 0,1	0	< 0,1	0
0,1-0,19	1	0,1-0,19	2
0,2-0,29	2	0,2-0,29	4
0,3-0,39	3	0,3-0,39	6
≥ 0,4	4	≥ 0,4	8

\* Punkty za zmniejszenie ryzyka względnego (HR) przyznawane są wyłącznie w przypadku braku danych dotyczących wartości bezwzględnych dla OS i PFS; PFS (progression-free survival) – czas przeżycia wolnego od progresji choroby; DFS (disease-free survival) – czas przeżycia wolnego od choroby; TTP (time to progression) – czas do progresji; OS (overall survival) – czas przeżycia całkowitego

<sup>112</sup> Krzakowski M i wsp., Algorytm wyceny wartości nowych leków przeciwnowotworowych - propozycje Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej i Polskiego Towarzystwa Onkologicznego, Onkologia w praktyce klinicznej, 2015, tom 11/1 str. 9-15.

### Ilościowa ocena zmniejszenia ryzyka względnego progresji, nawrotu lub zgonu\*

Kryterium	Punktacja
Opublikowano dowody naukowe wskazujące na całkowitą, istotną poprawę HR-QoL mierzonej zwalidowanym narzędziem	3
Opublikowano wiarygodne dowody na znaczącą poprawę HR-QoL, której nie zmierzono zwalidowanym narzędziem (np. klinicznie istotna redukcja liczby przetoczeń krwi)	2
Opublikowano wiarygodne dowody naukowe wskazujące na istotną poprawę niektórych aspektów HR-QoL mierzonej zwalidowanym narzędziem lub dowody na brak pogorszenia HR-QoL	1
Niskiej jakości dowody naukowe lub brak w badaniach danych dotyczących wpływu leku na HR-QoL lub wykazano poprawę HR-QoL względem komparatora, który nie stanowi aktualnego standardu postępowania	0
Opublikowano dowody naukowe wskazujące na umiarkowane pogorszenie HR-QoL, jednak pomiaru nie przeprowadzono z użyciem zwalidowanego narzędzia	-1
Opublikowano dowody naukowe wskazujące na istotne pogorszenie HR-QoL, jednak pomiaru nie przeprowadzono z użyciem zwalidowanego narzędzia (np. klinicznie istotny wzrost liczby incydentów gorączki neutropenicznej)	-2
Opublikowano dowody naukowe wskazujące na istotne pogorszenie HR-QoL, której pomiaru dokonywano z użyciem zwalidowanego narzędzia	-3

HR-QoL (health-related quality of life) – jakość życia związana ze zdrowiem

### Ilościowa ocena profilu bezpieczeństwa względem aktualnie refundowanego standardu postępowania

Kryterium	Punktacja
Znacząca poprawa	2
Poprawa	1
Równorzędna toksyczność	0
Pogorszenie	-1
Znaczące pogorszenie	-2

### Ocena ilościowa efektywności kosztowej

Efektywność kosztowa (koszt inkrementalny uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość)	Punktacja
≤ 120 000 PLN	2
> 120 000-170 000 PLN	1
> 170 000-220 000 PLN	0
> 220 000-270 000 PLN	-1
> 270 000 PLN	-2

### Ilościowa ocena średniego kosztu leczenia ocenianym lekiem

Średni koszt leczenia ocenianym lekiem	Punktacja
Wyższa skuteczność i niższy koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania	+3
Wyższa skuteczność i porównywalny koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania lub „nie gorsza” skuteczność (non-inferior) i niższy koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania	+2
„Nie gorsza” skuteczność (non-inferior) i porównywalny koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania, jednak wykazano pewne dodatkowe korzyści dla chorych (np. niższa toksyczność) lub wyższa skuteczność i wyższy koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania	+1
„Nie gorsza” skuteczność (non-inferior) i porównywalny koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania	0
„Nie gorsza” skuteczność (non-inferior) i wyższy koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania, ale wykazano dodatkowe korzyści dla chorych (np. niższa toksyczność)	-1
„Nie gorsza” skuteczność (non-inferior) i wyższy koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania	-2
Gorsza skuteczność i wyższy koszt względem aktualnie refundowanego standardu postępowania	-3

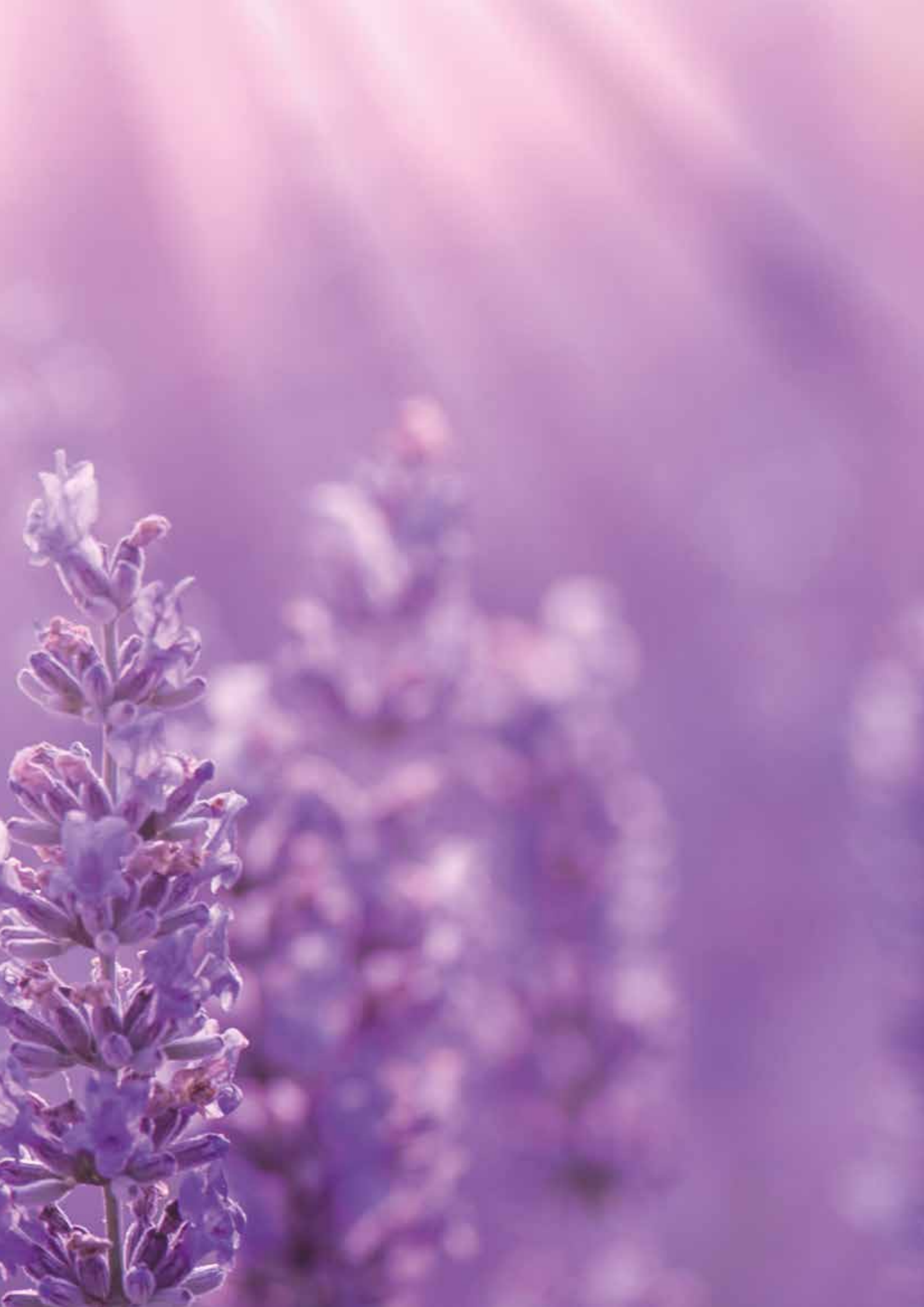
### Punktacja siły dowodów naukowych

Siła dowodów naukowych	Punktacja
Opublikowano wyniki dwóch lub większej liczby wysokiej jakości badań III fazy	3
Opublikowano wyniki jednego wysokiej jakości badania III fazy	2
Opublikowano wyniki badania II fazy z losowym doбором chorych	1
Opublikowano wyniki badania II fazy bez losowego doboru chorych lub wyniki badania obserwacyjnego	0
Brak publikacji pełnotekstowej – dostępne jedynie doniesienie z renomowanej konferencji poddającej recenzji zgłaszane prace	-1
Brak publikacji pełnotekstowej – dostępne jedynie doniesienie z konferencji niepoddającej recenzji zgłaszanych prac	-2
Opublikowano serię przypadków (case series)	-3

### Punktacja stopnia niezaspokojonej potrzeby medycznej

Alternatywa terapeutyczna	Punktacja
Brak alternatywy terapeutycznej*	2

\* Jeśli pomimo braku alternatywy terapeutycznej oferowana korzyść w zakresie zwiększenia mediany PFS lub mediany OS jest mniejsza niż 2 miesiące, punktacja wynosi 0





**O firmie EY**

EY jest światowym liderem rynku usług profesjonalnych obejmujących usługi audytorskie, doradztwo podatkowe, doradztwo biznesowe i doradztwo transakcyjne. Nasza wiedza oraz świadczone przez nas najwyższej jakości usługi przyczyniają się do budowy zaufania na rynkach kapitałowych i w gospodarkach całego świata. W szeregach EY rozwijają się utalentowani liderzy zarządzający zgranymi zespołami, których celem jest spełnianie obietnic składanych przez markę EY. W ten sposób przyczyniamy się do budowy sprawniej funkcjonującego świata. Robimy to dla naszych klientów, społeczności, w których żyjemy i dla nas samych.

Nazwa EY odnosi się do firm członkowskich Ernst & Young Global Limited, z których każda stanowi osobny podmiot prawny. Ernst & Young Global Limited, brytyjska spółka z odpowiedzialnością ograniczoną do wysokości gwarancji (company limited by guarantee) nie świadczy usług na rzecz klientów. Aby uzyskać więcej informacji, wejdź na [www.ey.com/pl](http://www.ey.com/pl)

EY, Rondo ONZ 1, 00-124 Warszawa

© 2015 EYGM Limited.  
Wszelkie prawa zastrzeżone.  
SCORE: 001.09.15

[ey.com/pl](http://ey.com/pl)