

Rozwój współpracy w zakresie oceny technologii medycznych w krajach Unii Europejskiej

prof. dr hab. Marcin Czech^{1,2},

mgr Malwina Hołownia-Voloskova^{3,4},

mgr Aleksandra Baran-Kooiker⁵✉

¹Zakład Farmakoeconomiki, Instytut Matki i Dziecka, Warszawa

²Szkoła Biznesu Politechniki Warszawskiej, Warszawa

³State Budgetary Institution "Research Institute for Healthcare Organization and Medical Management of Moscow Healthcare Department", Moskwa, Federacja Rosyjska

⁴Zakład Farmakologii Klinicznej i Doświadczalnej, Warszawski Uniwersytet Medyczny, Warszawa

⁵Zakład Farmakoeconomiki, Wydział Farmaceutyczny, Warszawski Uniwersytet Medyczny, Warszawa

https://doi.org/10.18388/pb.2019_285

✉ autor korespondujący: aleksandra.baran@gmail.com

Słowa kluczowe: Ocena Technologii Medycznych, Sieć ds. Oceny Technologii Medycznych, Rozporządzenie, Europejska współpraca

STRESZCZENIE

Celem poniższej notki jest przybliżenie czytelnikom tematu współpracy w zakresie oceny technologii medycznych w krajach Unii Europejskiej (UE), obecnej sytuacji oraz przyszłych planowanych prac w tej dziedzinie. Komisja Europejska próbuje stworzyć ramy sprawnie działającej współpracy pomiędzy krajami członkowskimi Unii Europejskiej w zakresie oceny technologii medycznych i sukcesywnie pracuje nad jej wzmocnieniem. W jej ramach zrealizowano następujące inicjatywy, projekty oraz programy:

- Projekt dotyczący koordynacji i rozwoju oceny technologii opieki zdrowotnej w Europie,
- Europejska współpraca na rzecz oceny interwencji zdrowotnych,
- Sieć ds. oceny technologii medycznych,
- Mechanizm skoordynowanego dostępu do sierocych produktów leczniczych,
- Inicjatywa Beneluxa, deklaracja z Valletty, Nordycka Współpraca, Inicjatywa sprawiedliwych i przystępnych cen produktów medycznych (zasięg regionalny).

Obecnie trwa praca nad Rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie oceny technologii medycznych, które jest mierzalnym rezultatem tej współpracy. Kluczowym założeniem tego rozporządzenia jest scentralizowana wspólna ocena kliniczna efektywności produktu leczniczego oraz wyrobów medycznych na poziomie europejskim.

Celem poniższej notki jest przybliżenie czytelnikom tematu współpracy w zakresie oceny technologii medycznych (ang. *health technology assessment*, HTA) w krajach Unii Europejskiej (UE), obecnej sytuacji oraz przyszłych planowanych prac w tej dziedzinie.

Od lat 90-tych Komisja Europejska próbuje stworzyć sprawnie działającą współpracę pomiędzy krajami członkowskimi Unii Europejskiej w zakresie oceny technologii medycznych i sukcesywnie pracuje nad jej wzmocnieniem [1]. W ramach tej kooperacji zrealizowano następujące inicjatywy, projekty oraz programy:

Projekt dotyczący koordynacji i rozwoju oceny technologii opieki zdrowotnej w Europie (ang. *Project on Coordination and Development of Health Care Technology Assessment in Europe EUR-ASSESS*) (1994-1997), mający na celu promowanie współpracy i koordynacji procesów HTA, poprawę metod oceny technologii medycznych oraz efektywnego ustalania priorytetów [2].

Europejska współpraca na rzecz oceny interwencji zdrowotnych (ang. *The European Collaboration for Assessment of Health Interventions and Technology*, ECHTA / ECHAHI (1999-2001), której celem było polepszenie współpracy pomiędzy agencjami/institucjami HTA w Europie [3]. Projekty te były podwaliną do utworzenia Europejskiej Sieci Oceny Technologii Medycznych (EUnetHTA).

Sieć ds. oceny technologii medycznych (ang. *European Network for Health Technology Assessment*, EUnetHTA) została zainicjowana w 2006 r. składa się z 78 narodowych Agencji oceny technologii medycznych (AOTM), ministerstw zdrowia (MZ) oraz organizacji non-profit z 29 krajów. W ostatnich latach w ramach EUnetHTA przeprowadzono 3 główne inicjatywy (pakiety robocze):

Wspólne działanie 1 (ang. *Joint Action*, JA1, 2010-2012), skupiające się na zwiększeniu współpracy europejskich agencji HTA, wymianie informacji, szu-

kaniu oraz ulepszaniu metod ocen technologii medycznych oraz harmonizacji

Wspólne działanie 2 (ang. *Joint Action*, JA2, 2012-2015) koncentrowała się na rozwoju narzędzi do współpracy transgranicznej oraz dalszej harmonizacji wymagań oraz metod HTA. W ramach tego projektu w 2017 roku powstała inicjatywa Równoległych Konsultacji (ang. *Parallel Consultation*, *Joint HTA-Scientific Advice*) w ramach współpracy EMA i Europejską Siecią ds. Oceny Technologii Medycznych. Równoległe Konsultacje zostały stworzone by zapewnić firmom farmaceutycznym tzw. podwójne wsparcie (w ramach określenia wymagań rejestracyjnych oraz HTA) podczas starania się o wprowadzenie produktu leczniczego do obrotu. Prace nad tą inicjatywą ciągle trwają.

Wspólne działanie 3 (ang. *Joint Action*, JA3, 2016-2020) koncentruje się na współpracy naukowej i technicznej między organami HTA oraz na przygotowaniu w pełni funkcjonalnej autonomicznej sieci do wymiany informacji do 2020 r.

Innym przykładem jest współpraca regionalna rozwinięta w ciągu ostatnich lat przez państwa -członkowskie np. **Inicjatywa Beneluxa** (ang. *Beneluxa Initiative*, BeNeLux-AI), **Deklaracja z Valletty** (ang. *The Valletta Declaration*), **Nordycka Współpraca** (ang. *HTA collaboration network between Fimea (Finland), NoMA (Norway) and TLV (Sweden), FINOSE*), **Inicjatywa sprawiedliwych i przystępnych cen produktów medycznych** (ang. *Fair and Affordable Pricing*, FAAP), które są projektami dotyczącymi HTA, negocjacji cenowych w lekach sierocych oraz wymiany informacji [1].

Podobną inicjatywą, skoncentrowaną na chorobach rzadkich jest europejski projekt: **Mechanizmu skoordynowanego dostępu do sierocych produktów leczniczych** (ang. *Mechanism of Coordinated Access to orphan medicinal products*, MoCA), który jest krokiem w kierunku międzynarodowej harmonizacji i poprawy dostępu pacjentów do leków sierocych w UE. Platforma ta, została utworzona w 2010 r. i ma na celu ułatwienie wczesnego dialogu na temat ustalania cen i refundacji już na etapie opracowywania leku sierocego między firmami farmaceutycznymi a właściwymi organami państwowymi takimi jak MZ czy AOTM.

Do tej pory większość aktów prawnych w zakresie HTA było dyrektywami, np. Dyrektywa 89/105/EEC Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie przejrzystości środków regulujących ustalanie cen produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz włączanie tych produktów w zakres systemów powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego (ang. *Directive of the European Parliament and of the Council on the transparency of measures regulating the prices of medicinal products for human use and their inclusion in the scope of public health insurance systems*), które kraje członkowskie musiały zaimplementować w odpowiednio wyznaczonym czasie. Obecnie jednak trwa praca nad Rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie oceny technologii medycznych i zmiany dyrektywy Parlamentu Europejskiego i Rady 2011/24/UE w sprawie stosowania praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej, oznacza to, że jeśli zostanie zatwierdzone przez kraje członkowskie będzie

ono automatycznie zaimplementowane do prawa z obowiązującym okresem przejściowym.

Wyżej wspomniane Rozporządzenie powstało, z uwagi na to, iż obecnie:

- pacjenci mają utrudniony i nierówny dostęp do rynku w krajach UE,
- krajowe instytucje ds. oceny technologii medycznych powielają swoją pracę,
- brak jest trwałych podstaw współpracy w dziedzinie oceny technologii medycznych [9].

Stworzenie podgrup do pracy nad: wspólną oceną kliniczną, wspólnymi konsultacjami naukowymi, identyfikacją nowo pojawiających się technologii medycznych, dobrowolną współpracą, przygotowaniem rocznych programów prac i sprawozdań rocznych oraz aktualizacją wspólnych zasad i dokumentów roboczych; może sugerować przyszły kierunek międzynarodowej współpracy w dziedzinie HTA w ramach opracowywania nowego rozporządzenia i jego implementacji.

Jednakże kluczowym założeniem tego rozporządzenia jest scentralizowana wspólna ocena kliniczna efektywności produktu leczniczego oraz wyrobów medycznych (ang. *Joint Clinical Assessment*, JCA) na poziomie europejskim. Taka centralna ocena zmniejszyłaby nakład pracy Agencji Oceny Technologii Medycznych oraz MZ związanej z oceną technologii medycznych w poszczególnych państwach członkowskich, wykorzystywała wiedzę najlepszych ekspertów z danej dziedziny oraz promowała dzielenie się nią, jak również sprzyjała rozwijaniu współpracy (zasięgania opinii) z przedstawicielami organizacji pacjentów z całej UE. JCA z założenia powinno poprawić jakość i szybkość oceny technologii medycznych produktów leczniczych oraz wyrobów medycznych a w szczególności produktów wysoce specjalistycznych takich jak leki sierocze czy terapie zaawansowane dla których ilość ekspertów jest ograniczona. Założeniem jest by grupa koordynująca wspólną ocenę kliniczną przeprowadzała analizę produktów leczniczych, w których następuje zmiana wskazania/wskazań dla których zostało wydane pierwotne pozwolenie (których pozwolenia zostały wydane zgodnie z rozporządzeniem (WE) nr 726/2004, z wyjątkiem produktów leczniczych dopuszczonych na podstawie art.10 i 10a dyrektywy 2001/83/WE), wyrobów medycznych zaklasyfikowanych do klasy IIb i III (na podstawie art. 51 rozporządzenia (UE) 2017/745) oraz wyrobów medycznych do diagnostyki in vitro zaklasyfikowanych do klasy D (na podstawie art. 47 rozporządzenia (UE) 2017/74617). Tak więc JCA będzie dotyczył jedynie najbardziej innowacyjnych technologii o największym znaczeniu dla zdrowia publicznego w UE.

Mogłoby się wydawać, iż wprowadzenie nowego rozporządzenia ma same plusy, jednak temat jego implementacji budzi wiele kontrowersji na poziomie politycznym, w szczególności w największych krajach europejskich takich jak Francja czy Niemcy oraz w krajach Europy Wschodniej [10]. Jak pokazuje badanie przeprowadzone przez Komisję

Europejską, tematem dyskusji jest sposób w jaki wspólna ocena kliniczna będzie prawnie wiążąca w krajach członkowskich oraz czy ocena ekonomiczna i finalnie decyzja o refundacji wraz z ceną produktu leczniczego lub wyrobu medycznego pozostanie dalej w gestii rządu kraju członkowskiego.

Większość pracowników organizacji rządowych wspólnie uważa, iż dalsza współpraca w zakresie HTA w UE jest konieczna jednak nie ma konsensusu czy powinna być prawnie wiążąca czy jedynie dobrowolna lub z pewnymi obowiązkowymi elementami. Dlatego też, w ramach pracy nad nową regulacją były rozważane cztery scenariusze oraz ich stopniowe wdrażanie:

- 1) brak wspólnych działań po 2020 r.,
- 2) współpraca w dziedzinie HTA w formie poszczególnych projektów,
- 3) stała współpraca w zakresie wspólnych narzędzi, procedur i dialogów na wczesnym etapie,
- 4) stała współpraca w zakresie wspólnych narzędzi, procedur, dialogów na wczesnym etapie i wspólnych ocen klinicznych.

Duża część pracowników podkreśliła jednak, że o ile ocena kliniczna i kwestie techniczne mogą być wspólną oceną sporządzaną na poziomie UE to ekonomiczna prawna i etyczna ewaluacja powinna pozostać indywidualną decyzją krajów członkowskich. Eksperti HTA i farmakoekonomiki są praktycznie zgodni co do zasadności zacieśnienia współpracy międzynarodowej w zakresie wymiany informacji, oceny klinicznej, metodologii i wielu innych aspektów (Konferencja HTAi, 2019). Członkowie organizacji pacjenckich mają duże nadzieje związane z implementacją nowego rozporządzenia gdyż to rozwiązanie jest pierwszym krokiem do otrzymania przez pacjentów tego samego standardu leczenia w całej UE, niezależnie od miejsca zamieszkania. Stąd też optują oni, w dużej mierze, za współpracą obejmującą zarówno kliniczny jak i ekonomiczny aspekt ocen oraz angażowania pacjentów w proces oceny technologii medycznych. Natomiast przedstawiciele przemysłu farmaceutycznego (firmy, stowarzyszenia, organizacje) skłaniają się do wspólnej oceny klinicznej lecz końcowej decyzji refundacyjnej i rozwiązania kwestii finansowania na poziomie narodowym. Producenci również uważają, iż nowa metoda oceny HTA powinna mieć jedynie zastosowanie dla innowacyjnych produktów leczniczych, wyrobów medycznych i diagnostycznych, z dużą korzyścią dla pacjentów gdzie ciągle jest niezaspokojona medyczna potrzeba pacjentów.

Podsumowując, zasadniczo wspólna ocena kliniczna przypomina ocenę produktu leczniczego w procedurze scentralizowanej kończącej się wydaniem pozwolenia na dopuszczenie produktu leczniczego na całym terenie Unii Europejskiej (przez Europejską Agencję Leków, ang. *European Medicines Agency*, EMA). Jest to rozwiązanie, które sprawnie funkcjonuje od wielu lat pozwala na uniknięcie rozbieżności, powielania działań, opiera się na przewidywalnej metodycie i procedurach a dodatkowo pozwala na oszczędności (gdyby wziąć pod uwagę koszty ponoszone przez każdy rząd osobno). Wydaje się, że wspólna ocena kliniczna powinna być relatywnie łatwa istnieje wiele barier we wdrażaniu wspólnej ekonomicznej analizy np. różnice w: systemach refundacji, zasadach ustalania cen produktów leczniczych/wyrobów medycznych w państwach członkowskich, wysokości dedykowanego budżetu na opiekę zdrowotną (co jest związane bezpośrednio z PKB danego kraju), systemie ubezpieczeń i opiece zdrowotnej, czy współpłacenia przez pacjentów za leki. Mimo tych różnic dyskutowane są warianty rozwiązań prowadzące do równego dostępu do rynku dla wszystkich chorych UE np. segmentacji rynków i poziomów cen adekwatnych do siły nabywczej lub stworzenia wspólnego funduszu finansowania leków sierocych. Zacieśniana jest również współpraca w zakresie wspólnych negocjacji cen i warunków refundacji z instrumentami dzielenia ryzyka oraz przetargów obejmujących większe grupy państw.

PIŚMIENNICTWO

1. Vella Bonanno P, Bucsics A, Simoens S, Martin AO, Oortwijn W et al. (2019) Proposal for a Regulation on Health Technology Assessment in Europe - opinions of policy makers, payers and academics from the field of HTA. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res* 19(3): 251-261. DOI: 10.1080/14737167.2019.1575730
2. EUR-ASSESS (2008), W: Kirch W (red) *Encyclopedia of Public Health*. Springer, Dordrecht DOI: https://doi.org/10.1007/978-1-4020-5614-7_1068
3. Banta, D, Kristensen, FB, Jonsson E (2009) A history of health technology assessment at the European level. *Int J Technol Assess Health Care* 25(S1), 68-73. doi:10.1017/s0266462309090448
4. https://ec.europa.eu/health/technology_assessment/policy/network_pl (06.11.2019)
5. <https://eunethta.eu/> (06.11.2019)
6. Baran-Kooiker A, Kooiker C, Czech M (2019) Overview of regulatory initiatives in the European Union to stimulate research and accelerate access to orphan drugs and other high medical need products. *Acta Pol Pharm* 76(1): 3-17. DOI: 10.32383/appdr/93138
7. <https://www.eurordis.org/content/moca> (06.11.2019)
9. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A52013PC0168> (06.11.2019)
10. Kaló Z, Gheorghe A, Huic M, Csanádi M, Kristensen FB (2016) HTA Implementation Roadmap in Central and Eastern European Countries. *Health Econ* 25 Suppl 1:179-9225. doi:10.1002/hec.3298
11. https://ec.europa.eu/health/technology_assessment/events_en#anchor3
12. https://ec.europa.eu/smart-regulation/roadmaps/docs/2016_san-te_144_health_technology_assessments_en.pdf

Policy developments of health technology assessment in the European Union

Marcin Czech^{1,2}, Malwina Hołownia-Voloskova^{3,4}, Aleksandra Baran-Kooiker⁵✉

¹Department of Pharmacoeconomics, Institute of Mother and Child, Warsaw

²Business School, Warsaw University of Technology, Warsaw

³State Budgetary Institution "Research Institute for Healthcare Organization and Medical Management of Moscow Healthcare Department", Moscow

⁴Department of Clinical and Experimental Pharmacology, Faculty of Pharmacy, Medical University of Warsaw

⁵Department of Pharmacoeconomics, Faculty of Pharmacy, Medical University of Warsaw

✉Corresponding author: aleksandra.baran@gmail.com

Key words: Health Technology Assessment, European Network for Health Technology Assessment, Regulation, European Collaboration

SUMMARY

The purpose of the note below is to familiarize readers with the current status and future initiatives of cooperation in the field of health technology assessment (HTA) in the European Union (EU). The European Commission is trying to create a framework for efficient collaboration between member states of EU in the field of HTA and is gradually working on strengthening it. The following initiatives, projects and programs have already been implemented:

- Project on Coordination and Development of Health Care Technology Assessment in Europe ,
- The European Collaboration for Assessment of Health Interventions and Technology,
- European Network for Health Technology Assessment,
- Beneluxa Initiative, The Valletta Declaration, FINOSE and Fair and Affordable Pricing,
- European Network for Health Technology Assessment.

Currently there is an ongoing proposal for an HTA Regulation of the European Parliament and the Council, which is the measurable result of this cooperation. A key element of the proposed regulation is a centralized joint clinical assessment (for HTA purposes) of the efficacy of the medicinal product/medical device.