



Analizujemy roboczą wersję dokumentu

Ministerstwo Zdrowia zaprezentowało roboczą wersję *Polityki lekowej państwa na lata 2018–2022*. Dokument liczy łącznie 110 stron i jest pierwszym tak szczegółowym planem strategicznym dotyczącym leków. Zawiera informacje o zakresie wydatków na leki, planowanych zmianach dotyczących leków stosowanych w hemofilii oraz HIV. Jak oceniają go eksperci? Przedstawiamy szczegółowe analizy.

Dokument nakreśla działania rządu na cztery lata. – *Celem polityki lekowej państwa jest zapewnienie pacjentom szerokiego dostępu do skutecznych i bezpiecznych leków oraz przejrzystego i racjonalnie działającego systemu refundacji* – powiedział wiceminister zdrowia Marcin Czech. Przyznał też, że pierwszym efektem polityki lekowej państwa ma być zmniejszenie zapadalności na choroby zakaźne. Wiceminister wyjaśnił, że choć dzięki szczepieniom prowadzonym w ostatnich dekadach choroby te zostały niemal całkowicie wyeliminowane, to jednak ostatnio znów stają się niebezpieczne. – *W obliczu migracji ludności i rosnącej liczby dzieci, których się nie szczepi, istnieje konieczność wprowadzenia nowych rozwiązań w tej dziedzinie* – stwierdził.

Kolejnym celem, który wyznacza dokument, jest zapewnienie bezpieczeństwa lekowego obywateli, czyli m.in. zapewnienie pacjentom dostępu do leków w odpowiednim czasie i miejscu. Zagrożeniem, na które wskazuje *Polityka lekowa*, jest wywóz leków za granicę, któremu ma przeciwdziałać wzmocniony nadzór farmaceutyczny.

Czech przyznał, że wciąż niezadowolający jest dostęp do niektórych terapii. Chodzi szczególnie o innowacyjne technologie lekowe. Ministerstwo Zdrowia stawia również na wzmocnienie krajowego przemysłu farmaceutycznego i budowę systemów informatycznych w opiece zdrowotnej.

Krystian Lurka

Materiał przygotowano na podstawie dokumentu bazowego przesłanego do konsultacji społecznych.



dr n. farm. Leszek Borkowski

były prezes Urzędu Rejestracji, współautor sukcesu harmonizacji leków

Po co polityka lekowa

W perspektywie roku 2050 zajdą znaczące zmiany w strukturze demograficznej naszego kraju, w rezultacie których Polacy staną się jednym z najstarszych społeczeństw w Europie. Trzy czwarte Polaków umiera z przyczyn krążeniowych i nowotworowych, dlatego trzeba położyć większy nacisk na profilaktykę i leczenie tych chorób. Wzrasta liczba pacjentów cierpiących na choroby ośrodkowego układu nerwowego, zarówno choroby neurodegeneracyjne, jak i psychiatryczne. Nastąpi także wzrost rejestrowanej zapadalności na cukrzycę, na którą już choruje ok. 3 mln osób w Polsce. Zachodzące procesy demograficzne prowadzą również do istotnych zmian epidemiologicznych w obszarze przewlekłych chorób układu oddechowego. Z wiekiem wzrasta częstość występowania chorób przewlekłych i nasila się zjawisko wielochorobowości. Jak wskazują badania, prawie 83% osób powyżej 50. roku życia cierpi na przynajmniej jedno schorzenie o charakterze przewlekłym, a średnia liczba deklarowanych chorób wynosi 3 na jednego pacjenta.

W konsekwencji zmian oczekiwany jest wzrost konsumpcji leków. Wyzwaniem na kolejne lata będzie zatem zapewnienie większej podaży skutecznych i bezpiecznych leków, odpowiadających na potrzeby zdrowotne społeczeństwa, z uwzględnieniem możliwości finansowych płatnika.

To doskonale, że strategicznym celem polityki lekowej w odniesieniu do dostępności rynkowej jest zapewnienie bezpiecznych i skutecznych produktów leczniczych, dostępnych w odpowiednim miejscu i czasie dla każdego potrzebującego pacjenta. A teraz przejdźmy do szczegółów.

Profilaktyka pierwotna

Idea profilaktyki pierwotnej realizowana jest przez szczepienia ochronne. Strategicznym celem polityki lekowej w kontekście szczepień jest zmniejszenie zapadalności na choroby zakaźne poprzez bezpieczną i skuteczną profilaktykę zakażeń. Ruchy antyszczepionkowe są silne po części z powodu braku wiedzy ich uczestników, ale także z powodu kunktatorskiej polityki w czasach przedwyborczych.

Resort zdrowia proponuje wprowadzenie systemowego wsparcia pacjentów, którzy doświadczają działań niepożądanych w związku ze szczepieniami w przypadku wystąpienia ciężkich odczynów poszczepien-

nych. Konieczne jest włączenie do porządku prawnego opiekuńczego świadczenia kompensacyjnego służącego bezpośredniemu wsparciu finansowemu rodzin oraz opiekunów osób małoletnich, u których wystąpiły działania niepożądane związane z przeprowadzeniem szczepień. Należy utworzyć Fundusz Kompensacyjny Narodowego Programu Szczepień Ochronnych.

W tym miejscu pytam, dlaczego niepożądane odczyny poszczepienne mają być lepiej zaopatrzone od działań niepożądanych pozostałych produktów leczniczych.

Badania kliniczne

Polska ma potencjał do dalszego rozwoju rynku badań klinicznych związany z dużą populacją pacjentów, dobrze wykształconą kadrą medyczną, stosunkowo niskimi kosztami oraz rozwiniętym rynkiem CRO. Nasze możliwości w zakresie badań klinicznych nie są w pełni wykorzystane. Przyjmując jako wskaźnik liczbę badań klinicznych na milion mieszkańców, takie kraje jak Węgry czy Czechy realizują dwa razy więcej badań. Jako barierę dla zwiększenia liczby badań w Polsce firmy prowadzące badania kliniczne wskazują m.in. wydłużony czas rozpatrywania wniosku, niejednoznaczne zasady finansowania przez NFZ świadczeń dla pacjentów biorących udział w badaniu oraz rozbudowane wymagania dotyczące dokumentacji składanej wraz z wnioskiem o rozpoczęcie badania klinicznego.

Nie jestem zwolennikiem wzrostu liczby badań klinicznych I fazy w Polsce, ponieważ są to badania nieterapeutyczne. W badaniu I fazy liczba zdrowych ochotników lub chorych z określoną niewydolnością narządową wynosi do ok. 100 osób. Trwa ono kilkanaście miesięcy, na jego podstawie określa się bezpieczeństwo leku i ustala optymalne sposoby dawkowania. Każde badanie kliniczne produktu leczniczego jest eksperymentem biomedycznym na człowieku – uczestniku, z nieznanym finałem. Jego celem nie jest służyć pacjentowi. Badanie kliniczne nie jest sprawowaniem opieki medycznej służącej profilaktyce, zachowaniu, ratowaniu i poprawie zdrowia.

Z badań klinicznych II, III oraz IV fazy uczestnicy mogą odnosić – i czasami odnoszą – korzyści w postaci poprawy stanu zdrowia. Dlatego osobiście rozważałbym większą otwartość na badania kliniczne III i IV fazy z uchyleniem drzwi dla II fazy.

Badania niekomercyjne są ważne i potrzebne. Cichym problemem są wydatki na ubezpieczenia i inne koszty



Fot. © iStockphoto.com

trudne do udźwignięcia przez uczelnie i samodzielne jednostki lecznicze.

Potrzebny jest konsensus w interesie uczestników badań klinicznych. Ciekawym rozwiązaniem może być powołanie Agencji Badań Medycznych, która będzie realizowała zadania z zakresu nauk medycznych i nauk o zdrowiu poprzez finansowanie i prowadzenie badań naukowych, w szczególności niekomercyjnych badań klinicznych, niekomercyjnych badań technologii medycznych oraz badań obserwacyjnych.

Wytwarzanie produktów leczniczych

Proces wytwarzania produktów leczniczych i substancji czynnych jest objęty nadzorem, ale czy wystarczającym? Popatrzmy historycznie: afera z talidomidem, czynnikami krzepnięcia krwi, heparynami drobnocząsteczkowymi, walsartanem itd. Musimy uczyć się na błędach.

Państwowa Inspekcja Farmaceutyczna zapewnia właściwy poziom nadzoru w zakresie wytwarzania produktów leczniczych. Jeżeli było tak dobrze, to dlaczego kontrola NIK stwierdziła nieprawidłowości dotyczące wytwarzania i podawania pacjentom radiofarmaceutyków przeznaczonych do diagnostyki PET niemających pozwolenia na dopuszczenie do obrotu oraz prowadzenie działalności polegającej na wytwarzaniu produktów leczniczych niezgodnie z wymaganiami ustawy Prawo farmaceutyczne?

To dobrze, Panie Ministrze, że utrzymanie standardów kontroli jakości i ich aktualizacja zgodnie z obowiązującym prawem nastąpi poprzez wprowadzenie zmiany w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie wymagań Dobrej Praktyki Wytwarzania.

W lutym 2017 r. ukazał się raport NIK, który m.in. opisuje skalę wyzwań w obszarze obrotu suplementami diety. Raport wskazuje na problemy związane z wprowadzaniem po raz pierwszy do obrotu suplementów diety, nadzorem nad ich jakością zdrowotną, a także niedostateczną edukacją, co skutkuje niewystarczającym poziomem wiedzy wśród konsumentów. 13 lutego 2017 r. po raz pierwszy od 10 lat zobaczyłem

upublicznią listę zakwestionowanych suplementów diety. Zadałem sobie trud i sprawdziłem, że wymienione pozycje hulały na rynku od dawna. Oznacza to, że nie były wcześniej należycie kontrolowane lub kontrole utajniono do czasu zgody Marsjan na ich ujawnienie. Aż trudno uwierzyć w ostatni argument, że Główna Inspekcja Sanitarna, której szef odpowiada gardłem za te sprawy, nic nie robiła.

W mojej opinii złe suplementy diety są takim samym zagrożeniem dla organizmu człowieka jak złe produkty lecznicze. To, że są wprowadzane na rynek inaczej niż leki, nie oznacza, że nie powinny być kontrolowane pod kątem zgodności składu z deklaracją oraz czystości wyrobu i jakości użytych składników, a także interakcji lekowych. Konieczny jest rejestr wprowadzonych na rynek suplementów diety zawierający: nazwę handlową, deklarowany skład, dawkę, datę wprowadzenia do obrotu, rodzaj opakowania, firmę wprowadzającą, miejsce wytwarzania. Dostęp do takiego rejestru winien być wolny od różnych ograniczeń.

W każdym kolejnym styczniu oczekuję na stronie GIS jawnej informacji o przeprowadzonych kontrolach w roku poprzedzającym, z utajnieniem jedynie danych wrażliwych stanowiących tajemnicę producenta.

Dostępność rynkowa

Jednym z głównych celów i podstawowych zadań polityki lekowej państwa jest zapewnienie dostępności leków skutecznych i bezpiecznych.

W kontekście dostępności produktów leczniczych istotne jest, aby jak największa ilość produktów wytwarzana była na terytorium Polski. Silny krajowy przemysł farmaceutyczny ma również wpływ na parametry makroekonomiczne gospodarki, w tym PKB, a także wielkość eksportu.

Przemysł farmaceutyczny pełni zasadniczą funkcję w systemie ochrony zdrowia. Branża farmaceutyczna była jedną ze specjalizacji polskiej gospodarki w okresie funkcjonowania Rady Wzajemnej Pomocy Gospodarczej. W okresie transformacji przeszła proces głębokiej restrukturyzacji i prywatyzacji. Dziś polski przemysł farmaceutyczny stoi przed wyzwaniem dołączenia do rewolucji biotechnologicznej, która zaszła na świecie w ostatnich dekadach. Branża farmaceutyczna powinna stać się jednym z filarów rozwoju polskiej gospodarki, co przyczyni się nie tylko do zapewnienia obywatelom wysokiego standardu opieki zdrowotnej, lecz także do korzystnego bilansu w handlu lekami ze światem.

Przemysł farmaceutyczny zlokalizowany w Polsce zabezpiecza głównie leczenie chorób populacyjnych, podczas gdy innowacyjne, drogie leki są produkowane poza granicami kraju.

Dlatego wszelkie zapisy ustawowe powinny być rozsądnie przyjazne dla zagranicznych innowacyjnych firm farmaceutycznych. Dobre relacje to relacje partnerskie, oparte na zasadzie *win-win*.

W dokumencie *Polityka lekowa* państwa dostrzeżono to, co dotychczas niezwykle zρέcznie ukrywano. Samowystarczalność Polski w zakresie produktów osoczopochodnych nie jest zagwarantowana w związku z przetwarzaniem za granicą nadwyżek osocza nie wykorzystanego do celów klinicznych w Polsce oraz wytwarzaniem kosztownych produktów osoczopochodnych przez podmioty zagraniczne. Stan ten powoduje zależność publicznego systemu ochrony zdrowia od polityki zagranicznych wytwórców i importerów, a w konsekwencji rodzi ryzyko braku stabilności i pewności dostaw leków osoczopochodnych wytwarzanych za granicą.

Dostępność refundacyjna, czyli najgorętszy kartofel do wyciągnięcia z ogniska przez resort

Wiemy, że z leków finansowanych ze środków publicznych mogą korzystać osoby uprawnione. Niektórym grupom pacjentów przysługują uprawnienia szczególne, pozwalające na łatwiejszy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej, w tym do leków refundowanych.

Polityka lekowa państwa realizowana jest w szczególności poprzez zapewnienie pacjentom możliwości faktycznego korzystania z niezbędnej farmakoterapii. Finansowanie lub współfinansowanie leków ze środków publicznych służy uzyskaniu ich jak największej dostępności poprzez ograniczenie barier ekonomicznych wynikających z potencjalnie wysokich kosztów leczenia. Potrzeby zdrowotne społeczeństwa są realizowane poprzez współdziałanie państwa i obywateli w ponoszeniu ciężaru ekonomicznego terapii.

Finansowanie leków ze środków publicznych odbywa się w ramach różnego rodzaju programów i inicjatyw finansowanych z różnych źródeł. Źródłami finansowania są Narodowy Fundusz Zdrowia, którego budżet jest wynikiem wpływu składki na ubezpieczenie zdrowotne, oraz Ministerstwo Zdrowia (budżet państwa), a także jednostki samorządu terytorialnego.

Z leków finansowanych ze środków publicznych mogą korzystać osoby uprawnione. Niektórym grupom pacjentów przysługują uprawnienia szczególne, pozwalające na łatwiejszy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej, w tym do leków refundowanych.

Leki finansowane ze środków publicznych są dostępne w aptece na receptę (tzw. leki refundowane), w programach lekowych, w katalogu chemioterapii, w ramach importu docelowego, ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL), programu szczepień obowiązkowych, programów polityki zdrowotnej (Krajowego Programu Zapobiegania Zakażeniom HIV i Zwalczenia AIDS, Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne), w warunkach stacjonarnych i podczas udzielania świadczeń gwarantowanych.

Niestety, kiedy porównamy skalę potrzeb z realizacją, to jest już mniej świetnie. Ciągłe brakuje nam

„ Finansowanie lub współfinansowanie leków ze środków publicznych służy uzyskaniu ich jak największej dostępności poprzez ograniczenie barier ekonomicznych wynikających z potencjalnie wysokich kosztów leczenia ”

wielu doskonałych leków stosowanych od 5–10 lat poza granicami naszego kraju, a grupa pacjentów, którym udało się dostać do programów lekowych, jest ciągle zbyt mała.

Zwiększanie dostępności innowacyjnych terapii lekowych jest możliwe także dzięki wykorzystaniu instrumentów dzielenia ryzyka. Środki pochodzące z wykonania zapisów dotyczących dzielenia ryzyka obecnie nie są jednak włączane do całkowitego budżetu na refundację. Kwoty uzyskane z tego tytułu są przeznaczane na inne świadczenia opieki zdrowotnej finansowane przez NFZ, który dysponuje nimi na zasadach ogólnych. Rozwiązanie to powoduje, że uzyskane środki nie zasilają mechanizmu, dzięki któremu stały się dostępne, i nie pozwalają na dalszą poprawę dostępności leków.

Systematycznie brakuje nam monitorowania skuteczności produktów leczniczych i zasadności finansowania poszczególnych leków ze środków publicznych. Powstaje pytanie, jak chcemy wprowadzić narzędzia finansowe umożliwiające wykorzystywanie mechanizmu płacenia za efekt zdrowotny, czyli nie w powiązaniu z podaniem leku pacjentowi, ale z uzyskaniem zakładanego efektu terapeutycznego.

Konkluzja

Polityka lekowa państwa na lata 2018–2022 jest dobrym dokumentem, wymagającym zapewne poprawek po zamknięciu dyskusji środowiskowej. Gorąco zachęcam do zgłaszania uwag, bo to służy nam wszystkim.

Chwałę Ministerstwo Zdrowia za odwagę mówienia, że król jest nagi, i za wskazywanie, jak go przyodziać.

Szczególnie polecam dokument pracownikom organów centralnych i ciał kompetentnych, bo za chwilę będziemy pytać, jakie wnioski wyciągnięto, co poprawiono, a co nie i dlaczego.

Nie zgadzam się z opiniami, że jest to koncert pobożnych życzeń. To jest bolesna fotografia stanu wymagającego naprawy. Wytyczone kierunki są właściwe.

Dokument musi żyć, być korygowany i stanowić kanwę rozliczeń jakości pracy nas wszystkich.



Fot. Archiwum prywatne

Krzysztof Łach

specjalista w zakresie refundacji, wyceny i *market access* dla technologii lekowych, realizator ukończonego projektu dotyczącego zastosowania oceny technologii medycznych w szpitalach w Europie, były asystent w Zakładzie Promocji Zdrowia Instytutu Zdrowia Publicznego *Collegium Medicum* UJ w Krakowie

Wśród postulatów sprzyjających rozwojowi rynku leków refundowanych należy wyróżnić zasadę powiększenia całkowitego budżetu na refundację o środki niewykorzystane w poprzednim roku i przychody z instrumentów dzielenia ryzyka. To postulat oparty przede wszystkim na zdrowym rozsądku i logice – środki wydatkowane na konkretny cel mają pozostać w ramach budżetu przeznaczanego na ten cel. W zasadzie, idąc tym tropem, należałoby się w przyszłości zastanowić nad racjonalnym i opartym na dowodach realokowaniem środków np. ze szpitalnictwa na refundację leków, o ile udowodnione zostaną oszczędności, jakie wygeneruje stosowanie leku, w zakresie redukcji świadczeń opieki szpitalnej, jej intensywności lub po prostu pobytu w szpitalu. Jest to jednak temat wrażliwy, wymagający zaangażowania szerszego grona interesariuszy systemu i zdecydowanie wykraczający poza politykę lekową, a więc musiałby być ujęty w szerszej strategii dla zdrowia. Zdecydowanie popieram również postulat przeglądu starszych molekuł pod względem ich efektywności klinicznej i ewentualne usuwanie z listy refundacyjnej celem zwolnienia środków na refundację nowych leków o udowodnionej wartości klinicznej i ekonomicznej. Pytanie tylko, jaki model zostanie przyjęty. Sugerowałbym dokonanie skróconych (uproszczonych) analiz, tzw. *rapid reviews*, przy wykorzystaniu mieszanego modelu, tj. sumptem AOTMiT, ale również analiz zleczanych na zewnątrz. Należy się przy tym upewnić, że podmiot wykonujący

przeгляд dla danej molekuły nie ma konfliktu interesów polegającego na wykonaniu analizy dla tego lub konkurencyjnego produktu w ostatnich 5 latach. To rozwiązanie zapewni z jednej strony zrównoważenie dostępnych zasobów (nie sądzę, żeby AOTMiT miał zasoby ludzkie mogące sprostać rewizji setek starszych molekuł!) i bezstronność, która jest filarem oceny technologii medycznych (HTA). Zwiększeniu wydajności takich przeglądów starszych molekuł sprzyjałoby ich zgrupowanie w klasy leków i dokonanie przeglądu zbiorczego dla takich klas. Bardzo pozytywnie oceniam również wprowadzenie systemu monitorowania leków będących w trakcie badań klinicznych, tzw. *horizon scanning*. W tym postulacie brakuje mi określenia „obiecujące” w kontekście leków. Przejście z modelu reaktywnego (głównie rozpatrywanie wniosków refundacyjnych) do modelu bardziej proaktywnego (wczesna identyfikacja obiecujących leków) będzie korzystne tylko wtedy, gdy najpierw jasno określimy wybrane priorytety zdrowotne dla konkretnych ram czasowych, np. na kolejne lata. Naturalnym liderem tego zadania wydaje się departament polityki lekowej, a wykonawcą AOTMiT. Niemożliwe natomiast jest „skanowanie horyzontu” bez określenia, w jakich obszarach terapeutycznych szukamy leków, inaczej horyzont może okazać się bezkresny. Szukajmy tam, gdzie są deficyty, jakkolwiek je zdefiniujemy. Nieco rozczarowujące jest moim zdaniem potraktowanie refundacji leków stosowanych w chorobach rzadkich i ultraradkich. To co naprawdę liczyłoby się tutaj, to zmiana w zakresie efektywności kosztowej i wpływu na budżet. Autorzy natomiast w sposób rozczarowująco nieprecyzyjny spekulują wprowadzenie wielokryterialnej analizy decyzyjnej (MCDA) jako potencjalnego instrumentu oceny leków sierocych. Jest to postulat bardzo mglisty, wręcz antyprzykład, jak powinno się formułować cele.

Krytyka

Moja postawa podyktowana jest wyłącznie powierczonym i niezdecydowanym podejściem do obszaru tak bardzo istotnego dla niewielkiej grupy pacjentów cierpiących na te obciążające choroby. Potwierdzeniem mojej opinii jest fakt nieuwzględnienia żadnej miary efektu dla tego celu. Należy docenić starania autorów, aby skoncentrować się na poprawie procesu refunda-



Fot. © iStockphoto.com

cyjnego i m.in. jego przejrzystości. Niestety, brakuje skonkretyzowania tych celów i miary efektu podane są wybiórczo.

Obserwując doświadczenia europejskie, jestem gorącym zwolennikiem wprowadzenia usługi merytorycznego wsparcia organu kompetentnego (tzw. *scientific advice*). Zwięzły opis tej usługi w dokumencie polityki lekowej sugeruje, że będzie ona ograniczona do wczesnego wsparcia, tj. na etapie planowania fazy III badań klinicznych, i będzie służyła raczej celom rejestracyjnym niż refundacyjnym. Jeśli rzeczywiście tak będzie, to upatruję w tym utraconej szansy synergii tej usługi z celami HTA, która wspiera proces refundacyjny. Żaden duży producent leków innowacyjnych nie wprowadza przecież produktu na rynek, nie upatrując szansy w refundacji. Skonsultowanie doboru komparatora oraz punktów końcowych z organem rejestracyjnym może okazać się niewystarczające czy wręcz niewłaściwe z perspektywy płatnika, ponieważ organy te kierują się innymi kryteriami w podejmowaniu decyzji. O ile organ rejestracyjny zainteresowany jest jakością, absolutną skutecznością i bezpieczeństwem, o tyle płatnik zainteresowany jest relatywną efektywnością kliniczną i kosztową (określaną jako czwarta bariera dostępu do rynku). Nawet jeśli przewiduje się funkcjonalne umiejscowienie usługi wsparcia przy Urzędzie Rejestracji, jest szansa na stworzenie usługi równoległej z HTA wzorem równoległych konsultacji pomiędzy Europejską Agencją Leków (EMA) a agencjami HTA. Mam nadzieję, że ta szansa zostanie wykorzystana. Na podstawie doświadczeń europejskich sugerowałbym również ściśle określenie, jakiego typu zapytania formułować w procesie wsparcia merytorycznego. Pozwoli to na dopasowanie oczekiwań ze strony podmiotów odpowiedzialnych do możliwości organów świadczących te usługi.

Podsumowanie

Na koniec uwaga techniczna dotycząca konstrukcji dokumentu, która nie jest bez znaczenia, jeśli chodzi o możliwość osiągnięcia celów strategicznych. Cele strategiczne określone w sześciu obszarach tematycznych poparte są wyczerpującym opisem stanu obecnego, diagnozą sytuacji i następującym po niej wyznaczeniem głównych wyzwań. Cele polityki lekowej ogółem dość dobrze wpisują się w koncepcję formułowania celów SMART: konkretny (ang. *specific*), mierzalny (ang. *measurable*), możliwy do osiągnięcia (ang. *achievable*), istotny (ang. *relevant*), określony w czasie (ang. *time-bound*). Wiele z celów strategicznych jest bardzo konkretnych, np. „zwiększenie liczby badań klinicznych realizowanych w Polsce, w tym badań niekomercyjnych”. Ich możliwość osiągnięcia i mierzalność są dość wyczerpująco ujęte przez, odpowiednio, określenie narzędzi i miary efektów. Cele są zdecydowanie istotne – odzwierciedlają obszary powszechnej bólowości systemu i dają szansę odpowiedzi na wyzwania. Części z nich



„Żaden duży producent leków innowacyjnych nie wprowadza produktu na rynek, nie upatrując szansy w refundacji”

brakuje natomiast skonkretyzowania, miary efektu podane są wybiórczo i całkowicie brakuje ich określenia w czasie. Istotność tych celów mogłaby być również stratyfikowana dalej ze względu na krytyczność dla osiągnięcia sukcesu w obszarach, które ulegną zmianie. Mam tu na myśli dalszą priorytetyzację tych celów ze względu na dostępne zasoby (w tym finansowe) i ramę czasową pozwalającą wyłonić cele krytyczne, ważne i pożądane. Nie możemy, w moim przekonaniu, nie brać pod uwagę dostępnych zasobów. I wcale nie mam na myśli tylko środków finansowych, ale również zasoby ludzkie, jako że przegląd starszych molekuł, monitorowanie leków lub usługa wsparcia merytorycznego będą wymagały naprawdę dużo pracy.

Wracając do priorytetyzacji – cele krytyczne to te, które powinniśmy osiągnąć w ściśle określonych ramach czasowych i z dużym (elastycznym) nakładem zasobów. Cele ważne to te, które powinniśmy osiągnąć, operując ściśle określonym zakresem dostępnych zasobów i w zmiennych ramach czasowych. Cele pożądane natomiast to te, które powinniśmy osiągnąć, operując zmiennym zakresem zasobów i w zmiennych ramach czasowych. Innymi słowy, cele krytyczne powinniśmy osiągnąć „za wszelką cenę”, cele ważne muszą się zmieścić w określonym (ograniczonym) zestawie zasobów, ale z większą elastycznością czasową, a cele pożądane to te, co do których nie jesteśmy w stanie określić ani zasobów, które możemy przeznaczyć na ich realizację, ani czasu, kiedy możemy się jej spodziewać. W rzeczywistości ograniczonych zasobów i presji czasu rekomenduję skorzystanie z powyższej priorytetyzacji tym, którzy będą ten plan wdrażać. Kryteria te wprowadzą przejrzystość i przede wszystkim uczciwość w stosunku do interesariuszy systemu oczekujących na zmiany w polityce lekowej.



Fot. Archiwum prywatne

Grzegorz Mączyński

Kancelaria KOLS. Specjalizuje się w prawie medycznym i farmaceutycznym

Dokument *Polityka lekowa państwa na lata 2018–2022* należy uznać za dobry krok w stronę długofalowego planowania działań państwa w obszarze racjonalizacji gospodarki lekowej i rozwoju innowacyjnych technologii medycznych.

Sam dokument z racji przyjętej formuły ma przede wszystkim charakter kierunkowy – wskazuje zagadnienia, które będą, a przynajmniej powinny być uwzględniane, i do których odpowiednią wagą będą przywiązywać decydenci, a także cele w obszarze polityki lekowej, będącej częścią szerszych polityk: zdrowotnej i rozwoju państwa, oraz sposób ich realizacji. A wyzwań w tych obszarach nie brakuje, począwszy od zagadnień demograficznych, takich jak starzenie się społeczeństwa, przez kwestie epidemiologiczne, np. zachorowania na raka czy choroby neurologiczne, a skończywszy na stymulacji rozwoju innowacyjnych technologii medycznych made in Poland.

W omawianym dokumencie wskazano na znaczenie przemysłu farmaceutycznego i jego wpływ na rozwój gospodarki, nauki i innowacji. Zasygnalizowano także kilka rozwiązań w tym zakresie, np. wdrożenie tzw. refundacyjnego trybu rozwojowego, który będzie wspierał aktywność firm budujących ekosystem proinnowacyjnego przemysłu farmaceutycznego w Polsce (np. poprzez uzyskiwanie lepszych warunków finansowania produktów tych firm w ramach refundacji), powołanie Agencji Badań Medycznych czy rozwój partnerstwa publiczno-prywatnego (PPP) w badaniach

w ochronie zdrowia oraz powołanie Wirtualnego Instytutu Biotechnologii Medycznej, który będzie rozwijał multidyscyplinarne zespoły badawcze. Czas pokaże, czy i w jakim zakresie przełoży się to na patenty lub wdrożenia.

Jak lepiej wykorzystać szanse rozwoju technologii medycznych w Polsce?

Warto nie ograniczać się tylko lub przede wszystkim do rozwoju „produktów leczniczych” (leków), gdyż na tym nomen omen skupia się *Polityka lekowa*, a spróbować poszukać innowacji także na styku technologii lekowych i technologii wyrobów medycznych oraz w opracowywaniu nowoczesnych urządzeń medycznych. Gdzie można szukać takich rozwiązań? Chociażby w leczeniu cukrzycy, poprzez łączenie produktów leczniczych zawierających insulinę z monitoringiem poziomu glikemii u pacjentów z cukrzycą, co może pozwolić na optymalizację i bardziej efektywne stosowanie leków. Interesującym obszarem może być też monitorowanie za pomocą rozwiązań elektronicznych układu krążenia lub układu oddechowego pacjenta, co może pozwolić na uniknięcie zawału lub ciężkiego uszkodzenia narządów, a tym samym spowodować, że pacjent nie będzie potrzebował leków lub będzie potrzebował ich mniej (np. na nadciśnienie lub przeciwzakrzepowych). Ponadto coraz więcej technologii lekowych tak naprawdę jest tworzonych w sposób „spersonalizowany” – dostosowany dla konkretnego pacjenta przy wykorzystaniu urządzeń medycznych. Na przykład wykorzystuje się w leku własne tkanki lub komórki pacjenta po ich odpowiednim obrobieniu przy wykorzystaniu różnych wyrobów medycznych lub urządzeń.

Niestety w dokumencie zabrakło odniesienia się do kwestii możliwości efektywnego łączenia stosowania leków z wyrobami medycznymi. Nie podjęto również szerszej zagadnienia wyrobów medycznych, a ich wpływ na politykę lekową czy politykę zdrowotną jest lub może być fundamentalny. Na przykład opracowanie skuteczniejszego urządzenia do wykrywania potencjalnych zmian nowotworowych może pozwolić pacjentowi uniknąć chemioterapii, a publicznemu płatnikowi konieczności refundacji kosztów tego leczenia. Co więcej, część firm farmaceutycznych w Polsce obok leków produkuje lub sprzedaje również wyroby medyczne, można więc wspierać również rozwój tych produktów znajdujących się w ich portfolio.



Fot. © iStockphoto.com

Dlaczego warto rozważyć takie podejście?

Zgodnie z informacjami zawartymi w *Polityce lekowej rodzima produkcja leków opiera się głównie o leki generyczne, a od zakończenia II wojny światowej do etapu badań na ludziach dotarły zaledwie trzy cząsteczki leków zaprojektowane w Polsce*. Innymi słowy, w odpowiednich badaniach klinicznych badane były jedynie trzy potencjalne leki. Osiągnięcie etapu badań nie oznacza przy tym dopuszczenia leku do obrotu i jego sukcesu rynkowego, gdyż prowadzi do tego jeszcze długa i ryzykowna biznesowo droga. Według różnych źródeł szacowany koszt opracowania nowego leku może być liczony na setki milionów, jeśli nie na miliardy euro, a proces jego rejestracji i wejścia na rynek może trwać nawet kilkanaście lat. Dla zobrazowania skali przedsięwzięcia można to porównać z czasem i kosztami opracowania nowego samolotu oraz jego wyprodukowania i przetestowania. Z tą jednak różnicą, że jeśli w samolocie jest problem z daną częścią, to można ją w miarę szybko spróbować wymienić, natomiast w przypadku leków takiej części, np. składnika lub elementu procesu wytwórczego, już tak wymienić się nie da.

Innymi słowy, w przypadku rozpoczęcia prac nad produktem leczniczym teraz – nawet z istotnym wsparciem ze środków publicznych – ich efekty (oby pozytywne) w postaci nowego leku mogą być widoczne potencjalnie w czwartej dekadzie tego wieku. Jednak należy pamiętać, że konkurencja nie śpi i prowadzi od kilku albo nawet kilkunastu lat zaawansowane prace badawczo-rozwojowe nad lekami, które mogą szybciej lub bardziej efektywnie rozwiązywać problemy zdrowotne. Może zatem przejąć rynek lub nawet skorzystać z pierwszeństwa w opatentowaniu technologii i zablokować dostęp rynkowy konkurencyjnym produktem. Z tej perspektywy przeznaczenie dużych sił i bardzo dużych środków finansowych (lub prawie całości) na rozwój leków może być wysoce ryzykowne.

Alternatywą może być zatem inwestowanie części sił i środków, w tym publicznych, jeśli będą na ten cel wygospodarowane, w rozwój wyrobów medycznych *made in Poland* lub *invented in Poland*. W tym przypadku przeprowadzenie badań i wdrożenie rynkowe może być dużo szybsze, a także relatywnie tańsze niż w przypadku leków. Dzięki temu można zrealizować więcej projektów i szybciej osiągnąć sukces.

Oczywiście nie wolno zaprzestawać intensywnych prac nad nowymi lekami, ale należy dobrze rozłożyć ryzyko badawczo-rozwojowe w tym zakresie. W przypadku mniejszego kapitału można się nastawić – przynajmniej dopóki istnieją takie ograniczenia – na koncepcyjne opracowanie i początkowe badania leków. Gdyby te procesy zakończyły się sukcesem, można by sprzedać z zyskiem daną technologię lekową, aby inny podmiot ją następnie rozwinął lub dofinansował, albo

„Koszt opracowania nowego leku może być liczony w setkach milionów, jeśli nie w miliardach euro”



Fot. © iStockphoto.com

„Nie wolno zaprzestawać intensywnych prac nad nowymi lekami, ale należy dobrze rozłożyć ryzyko badawczo-rozwojowe”

podjąć współpracę biznesową z takim podmiotem, np. opartą na podziale ryzyka badawczo-rozwojowego.

Podsumowując: pomimo iż omawiany dokument nosi nazwę *Polityka lekowa państwa*, to pozostawia niedosyt w kwestii wyrobów medycznych i dotyczącej ich działalności badawczo-rozwojowej. Wyroby medyczne mają bowiem duży wpływ na farmakoterapię oraz stosowanie leków u pacjentów, a będą miały przypuszczalnie jeszcze większy i mogą stanowić innowacyjne rozwiązania medyczne. Może zatem warto szerzej spojrzeć na kwestie polityki lekowej? Przyszłość medycyny będzie należeć także do wyrobów medycznych.