



# Редки Болести и Лекарства Сираци

Брой 3 / 2020 г.

ISSN 1314-3581  
<http://journal.raredis.org>

## Започва ли глобална промяна в парадигмата за оценка на здравните технологии?

Георги Искров<sup>1,2</sup>, Румен Стефанов<sup>1,2</sup>

<sup>1</sup> Катедра по Социална медицина и обществено здраве, Факултет по Обществено здраве, Медицински университет – Пловдив  
<sup>2</sup> Институт по редки болести, Пловдив

### Резюме

От самото си създаване парадигмата на оценката на здравните технологии (ОЗТ) търпи непрекъсната еволюция. Това е съвсем естествен процес предвид развитието на медицинската наука и ускореното навлизане на иновативни здравни технологии.

През последните години се наблюдава обаче все по-ясно изразена тенденция за засилване на прозрачността при ценообразуването и обръзване на реимбурсната цена на здравните технологии с тяхната ефективност.

На 24 юли 2020 г. Италия официално обнародва нова нормативна уредба за ОЗТ, с което освен друго съществено увеличава публичния контрол върху ценообразуването и заплащането с публични средства на всички нови лекарствени продукти. Настоящата статия има за цел да обобщи и анализира критично най-важното от тези промени и значението им за европейската политика и практика в областта на ОЗТ.

**Ключови думи:** ОЗТ, ценообразуване, реимбурсиране, лекарствена политика

## Is a global shift beginning in the paradigm of health technology assessment?

Georgi Iskrov<sup>1,2</sup>, Rumen Stefanov<sup>1,2</sup>

<sup>1</sup> Department of Social Medicine and Public Health, Faculty of Public Health, Medical University of Plovdiv  
<sup>2</sup> Institute for Rare Diseases, Plovdiv

### Abstract

Since its inception, the paradigm of health technology assessment (HTA) has been constantly evolving. This is a completely natural process given the development of medical science and the accelerated penetration of innovative health technologies.

In recent years, however, there has been a growing trend to increase transparency in pricing and to promote performance-based reimbursement of health technologies.

On July 24, 2020, Italy officially promulgated a new regulation on HTA, which, among other things, significantly increased public control over pricing and reimbursement of all new medicinal products. This article aims to summarize and critically analyze the most important of these changes and their significance for the European policy and practice in the field of HTA.

**Keywords:** HTA, pricing, reimbursement, drug policy

---

### Кореспонденция:

Доц. Георги Искров, гм  
e-mail: [iskrov@raredis.org](mailto:iskrov@raredis.org)

### Correspondence:

Assoc. Prof. Georgi Iskrov, PhD  
e-mail: [iskrov@raredis.org](mailto:iskrov@raredis.org)

## Въведение

От самото си създаване и особено през последните 20 години на активно приложение в практиката, парадигмата на оценката на здравните технологии (ОЗТ) търпи непрекъсната еволюция. Това е съвсем естествен процес предвид развитието на медицинската наука и ускореното навлизане на иновативни здравни технологии. Първата по-сериозна тенденция в развитието на ОЗТ бе свързана със създаването на европейската мрежа за ОЗТ (European Network for Health Technology Assessment, EUnetHTA) и свързаното с нея движение за уеднаквяване и синхронизиране на националните практики в тази област, впоследствие изработване на общоевропейски инструменти и методология и призови за централизиране на части от ОЗТ процеса на европейско ниво [1-3]. Последното от дълго време стои на етап дискусия и консултация, най-вече поради сложните интереси и връзки между различните заинтересовани страни на равнище страни членки.

Втората и значително по-актуална тенденция е за засилване на прозрачността при ценообразуването и обръзване на реимбурсната цена на здравните технологии с тяхната ефективност [4-5]. Някои могат да спорят, че това е изначалната цел на ОЗТ, но при въвеждането на ОЗТ в Европа националните практики се развиха в две различни направления. Първата и най-известна школа е свързана с National Institute for Health and Care Excellence (NICE) във Великобритания. Основен параметър при ОЗТ и вземането на реимбурсно решение е инкременталното съотношение на разходите и ползите (Incremental cost-effectiveness ratio, ICER). Втората школа се свързва с Haute Autorité de Santé (HAS) във Франция и Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen / Gemeinsamer Bundesausschuss (IQWiG/G-BA) в Германия. Тя се фокусира върху спечелените клинични ползи. В зависимост от степента на добавените ползи се определя нивото на реимбурсиране и реимбурсната цена на оценяваната здравна технология.

Различният подход при ОЗТ води и до различни препоръки [6]. Затова и нярядко NICE, HAS и IQWiG/G-BA се различават в своите решения, въпреки че формално погледнато оценяват една и съща здравна технология. И докато в началото школата на NICE безспорно доминира като концепция, в последните години привържениците на концепцията за ОЗТ, олицетворявана от HAS и IQWiG/G-BA, започнаха да взимат превес. Причината за това не е свързана с по-ниско качество или критики към работата на NICE. Напротив, NICE е все така авторитетна организация в международен план. Просто ICER като критерий за вземане на решение за реимбурсиране на можа да се наложи по множество технически причини и политически конфликти [7]. Нито една юрисдикция и до ден днешен не прие официално лимит за ICER,

а здравни технологии с ICER, много над всякакви граници за разходна ефективност, бяха одобрявани за заплащане с публични средства. Допълнително, непрекъснатите скандали с нарастващите цени на някои нови лекарствени терапии може би са на път окончателно да зачеркнат ICER като част от инструментариума за ОЗТ.

На 24 юли 2020 г. Италия официално прие нова нормативна уредба за ОЗТ, с което твърдо премина в лагера на привържениците на допълнителните здравни ползи като водещ и първостепенен критерий при ОЗТ и реимбурсните решения [8]. Настоящата статия има за цел да обобщи и анализира критично най-важното от тези промени и значението им за европейската политика и практика в областта на ОЗТ.

## ОЗТ в Италия

Макар в сянката на по-големи структури като NICE, HAS и IQWiG/G-BA, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) може да се похвали с отлични резултати по отношение на ОЗТ и провежданите реимбурсни преговори в Италия [9-10]. Така например за периода 2013 – 2017 г. AIFA е препоръчала за заплащане с публични средства 44 лекарства сираци и още 89 други нови молекули. Договорената отстъпка в тяхната крайна реимбурсна цена е съответно 25,1% и 28,6%, като този параметър е отчетливо по-висок за иновативните здрави технологии (32,2%). Важен инструмент за постигане на по-високо намаление на цените е прилагането на специфичен регистър за мониторинг на терапията – област, в която AIFA е своеобразен пионер. Тук е важно обаче да се подчертае, че тези отстъпки са строго конфиденциални и касаят реимбурсната, а не официалната цена на лекарствения продукт. Самите представители на AIFA признават, че конфиденциалността е важно условие и без него индустрията не би се съгласила на такива постъпки [9-10]. Новата нормативна уредба е в отговор на повишената необходимост от прозрачност в лекарствената политика, в частност ценообразуването и реимбурсирането с публични средства [8]. Неофициално обаче може да се предположи, че тази промяна цели също и засилване на контрола върху цените и разходите за лекарствени терапии.

### *Какво се променя в процедурата по ОЗТ в Италия?*

Въвеждат се някои нови изисквания за структурата и съдържанието на доклада за ОЗТ (Фигура 1). Предоставяната информация за ефикасността и терапевтичната ефективност на оценявания продукт трябва да съдържа оценка на добавените, допълнителни терапевтични ползи спрямо компаратори, използвани в клиничната практика в Италия [8]. Задължително се посочват размерът на терапевтичната доза и продължителността на лечението. Това е важно с оглед

I. Доказателства за допълнителната терапевтична стойност спрямо компаратори – терапевтични алтернативи, използвани в клиничната практика в Италия
II. Фармакоикономическа оценка
III. Информация за реимбурсията статус в други страни, включително условия за ценообразуване, реимбурсиране и допълнителни споразумения за достъп
IV. Прогнозиран пазарен дял в Италия за следващите 36 месеца
V. Информация за производствения капацитет и снабдяването в Италия
VI. Прогнозирани публични разходи въз основа на предложената от компанията цена
VII. Информация за полученото публично финансиране за научноизследователска и развойна дейност
VIII. Бюджетно въздействие (включително при договаряне на ранен достъп)
IX. Друга информация, имаща отношение към процедурата на договаряне, включително информация за патентния статус

**Фигура 1. Изисквания за структура и съдържание на досие за ОЗТ, подавано за разглеждане в AIFA**

определяне на реимбурсната цена на лекарствения продукт. Ако оценяваната нова терапия не предоставя допълнителни здравни ползи спрямо утвърдения компаратор в Италия, то цената и разходите за лечение с нея не могат да превишават съответните за компаратора [8]. Това е условие, насочено към новите, претендиращи за иновация терапии, които обаче не демонстрират на практика по-големи здравни ползи от прилаганите досега лечения [11].

Друго важно нововъведение е изискването за предоставяне на оценка на полученото публично финансиране за научноизследователска и развойна дейност за съответния продукт [8]. Тук се включват всички грантове, бюджетни субсидии, данъчни кредити и други форми на пряко или непряко публично финансиране (включително и използването на публично финансирани стари научни разработки), благодарение на които производителят е осъществил частично или изцяло процеса на предклинично и клинично изпитване на лекарствения продукт. Това е съществена новост, която има за цел да внесе повече яснота върху необходимите инвестиции за разработване на нов лекарствен продукт [12]. Този параметър е важен, защото често бива злоупотребявано с него именно при обосновката на нереално високи цени на новите терапии. Повече данни ще изяснят както размера на общите разходи, така и ролята на публичното финансиране за наука и иновации в тази сфера [13], защото в крайна сметка публичните инвестиции трябва да водят до създаване на публични, а не частни блага. Италианските власти в лицето на AIFA дават ясни сигнали, че ще взимат под внимание този фактор при преговорите за реимбурсна цена. Това е и заложено като

специфично изискване за нови лекарствени продукти, които нямат директни компаратори в Италия [8].

По отношение на процедурата за преговори, нейната максимална продължителност се увеличава от 90 до 180 дни [8]. Допуска се едно прекъсване от максимум 90 дни, което може да бъде поискано от AIFA или от производителя. При липса на постигната договореност, след изтичане на тези 180 дни процедурата се прекратява и лекарственият продукт се изключва от реимбурсиране с публични средства. Договорената реимбурсна цена важи за 24 месеца. AIFA обаче може да иницира по-ранно преговаряне при определени средносрочни промени на пазара. Всички действащи модели за достъп до иновативни терапии (пог формата на различни видове споразумения за споделяне на риска) остават в сила без съществени изменения [8].

### **Как промените в процедурата по ОЗТ в Италия ще се отразят в Европа?**

Рано е да се предвиди въздействието на промените по ОЗТ в Италия върху цялостната европейска картина. По всичко изглежда обаче, че италианските здравни власти не разчитат особено на EUnetHTA и на перспективите за общоевропейска процедура по ОЗТ [14]. Напротив, те засилват правомощията на AIFA по отношение на контрола върху цените на лекарствения продукт, което е логично действие. Италия е голям пазар и съответно разполага с голям брой механизми за преговори с индустрията. Отражение на това са размерът на конфиденциалните отстъпки, големият брой споразумения за споделяне на риска, дългогодишните регистри за мониторинг на терапии [9-10]. Това е своеобразен лукс, който може да си позволи само един голям и важен за индустрията пазар, но не е опция за малките източноевропейски страни [15].

Дали обаче тези страни следва да разчитат на EUnetHTA за договаряне на по-изгодни условия за достъп? По-скоро не. Нарастващият интерес към сформирани на регионални групи за съвместни процедури по ОЗТ, ценообразуване и договаряне на реимбурсиране показва на къде се движи този процес [15]. Общеевропейска процедура по ОЗТ за всички страни членки в никакъв случай не е примамлив вариант за страните, които сами по себе си са голям фармацевтичен пазар. Нещо повече, сами по отделно те имат много по-голямо поле за действие при договаряне на преференциални отстъпки, а без тяхното участие общоевропейската процедура не е вече общеевропейска.

Промените в Италия дават тон за повече прозрачност и справедливост при ценообразуването на иновативните терапии. Нещо от което има необходимост в европейски и световен мащаб [16]. Нарастващите цени на новите молекули са резултат на нарастващите разходи за инвестиции. Това

е вярно. Вярно е също обаче, че плащайки обществен ресурс за тях, обществото следва да получава нарастващи здравни ползи. Това за съжаление не винаги е така и вече говорим за псевдоиновация и неоправдано изразходване на публичен ресурс [11]. Неоправдано изразходване има и в случаите, когато зад високата цена на нов продукт се крият резултати от стари научни разработки, получени вследствие на публично финансиране [11].

Досега изглеждаше, че големите страни, които определят търсенето във фармацевтичния пазар, си затварят очите за тези проблеми. Новините от Италия обаче може би са знак за промяна в това отношение и зараждане на тенденция към повече социална отговорност и финансова справедливост в ценообразуването и реимбурсирането на лекарствени терапии. Интересно е да се види дали и други страни ще последват Италия. В момента NICE е в процес на актуализиране и промяна на своята методология и рамка за ОЗТ във Великобритания [17]. Предстои да се разбере дали всичко това ще остане локална новина за Италия или ще бъдем свидетели на глобална промяна в процеса на ОЗТ.

### Заклучение

Парадигмата на ОЗТ търпи непрекъсната еволюция. Това е нормален и очакван процес. Машабни промени обаче, инициирани от големи юрисдикции като AIFA в Италия, са вече събитие, което може и най-вероятно ще има въздействие в глобален план. Проблемите, свързани с ценообразуването на новите лекарствени терапии, не са от вчера и ще продължават занапред. Интересно е да се види дали и други големи тържави ще последват италианския пример. И дали предприетите промени по ОЗТ в Италия ще доведат и до съществени промени на общоевропейско ниво по отношение на ценообразуването и реимбурсирането с публични средства на нови лекарствени продукти.

### Благодарности

Настоящото научно проучване е подкрепено по Национална програма „Млади учени и постдокторанти“ на Министерство на образованието и науката. Публикацията не отразява непременно мнението или позицията на финансиращия орган. Отговорност за съдържанието на публикацията носят единствено авторите.

### Библиография

1. Kristensen FB, Mäkelä M, Neikter SA, et al. European network for health technology assessment, EUnetHTA: planning, development, and implementation of a sustainable European network for health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care*. 2009; 25 Suppl 2:107-116.
2. Kleijnen S, Toenders W, de Groot F, et al. European collaboration on relative effectiveness assessments: What is needed to be successful? *Health Policy*. 2015; 119(5):569-576.
3. Tafuri G, Bèlorgey C, Favaretti C, et al. The fourth edition of the European Network for Health Technology Assessment Forum: highlights and outcomes. *Int J Technol Assess Health Care*. 2020; 36(3):191-196.
4. Baltussen R, Marsh K, Thokala P, et al. Multicriteria Decision Analysis to Support Health Technology Assessment Agencies: Benefits, Limitations, and the Way Forward. *Value Health*. 2019; 22(11):1283-1288.
5. Bond K, Stiffell R, Ollendorf DA. Principles for deliberative processes in health technology assessment [published online ahead of print, 2020 Aug 4]. *Int J Technol Assess Health Care*. 2020;1-8.
6. Kristensen FB, Gerhardus A. Health technology assessments: what do differing conclusions tell us?. *BMJ*. 2010;341:c5236.
7. Eichler HG, Kong SX, Gerth WC, et al. Use of cost-effectiveness analysis in health-care resource allocation decision-making: how are cost-effectiveness thresholds expected to emerge? *Value Health*. 2004; 7(5):518-528.
8. Ministero della Salute. Decreto 2 agosto 2019. Criteri e modalita' con cui l'Agenzia italiana del farmaco determina, mediante negoziazione, i prezzi dei farmaci rimborsati dal Servizio sanitario nazionale. (20A03810) (GU Serie Generale n.185 del 24-07-2020)
9. Villa F, Jommi C, Altamura G, et al. Quanto vale la negoziazione del prezzo di un nuovo farmaco in Italia? [Establishing the value of new drugs in Italy]. *Recenti Prog Med*. 2020; 111(2):65-69.
10. Villa F, Tutone M, Altamura G, et al. Determinants of price negotiations for new drugs. The experience of the Italian Medicines Agency. *Health Policy*. 2019; 123(6):595-600.
11. Искров Г, Стефанов Р. Иновация, гобавени ползи и ценообразуване при оценката на здравни технологии. *Редки болести и лекарства сираци*. 2020; 11(1):3-4.
12. Wouters OJ, McKee M, Luyten J. Estimated Research and Development Investment Needed to Bring a New Medicine to Market, 2009-2018. *JAMA*. 2020; 323(9):844-853.
13. Искров Г, Стефанов Р. За стойността на иновативните терапии и цената на препрофилирането на лекарствени продукти. *Редки болести и лекарства сираци* 2019; 10(1):3-4.
14. Garattini L, Padula A. HTA for pharmaceuticals in Europe: will the mountain deliver a mouse?. *Eur J Health Econ*. 2020; 21(1):1-5.
15. Pejčić AV, Iskrov G, Jakovljević MM, et al. Access to orphan drugs - comparison across Balkan countries. *Health Policy*. 2018; 122(6):583-589.
16. Wieseler B, McGauran N, Kaiser T. New Drugs: Where Did We Go Wrong and What Can We Do Better? *BMJ*. 2019 Jul 10;366:l4340.
17. Искров Г, Стефанов Р. Нови методи за оценка на здравните технологии в отговор на предизвикателствата на иновативните терапии. *Редки болести и лекарства сираци*. 2019;10(4):3-4.