

Переоценка стоимости инновационных лекарственных препаратов и обеспечение доступа к ним в Европейском Союзе

Ливен Аннеманс

Центр экономики здравоохранения, Департамент общественного здоровья, Гентский университет, Гент, Бельгия

Ирина Чемпут, Франк Хульстерт

Бельгийский информационный центр по вопросам здравоохранения, Брюссель, Бельгия

Стивен Симоэнс

Исследовательский центр фармацевтического лечения и фармакоэкономики, Католический университет г. Лювена, Лювен, Бельгия

Излагается точка зрения на (а) текущую ситуацию, (б) на проблемы и инициативы, и (с) формулируются рекомендации по пересмотру ценообразования и обеспечение доступа к инновационным лекарственным препаратам в ЕС. В настоящее время мы в ЕС еще очень далеки от оптимальной оценки соотношения цены и качества. С одной стороны переоценка стоимости инновационных препаратов основывается на мнениях, высказываемых на национальном уровне органами оценки медицинских технологий (ОМТ) и иными компетентными специалистами. При этом рассматриваются соотношение цены и качества, нагрузка на бюджет, потребности местной медицины, которые могут быть удовлетворены при помощи новых лекарственных средств. Таким образом, в ходе этого процесса и выбора критериев для оценки соотношения цены и качества, а также принятия итогового решения о возмещении расходов следует учитывать местные приоритеты и специфику национальной политики в области здравоохранения. С другой стороны, следует предусмотреть доведение до заинтересованных национальных структур общеевропейской оценки как сравнительной эффективности, так и медицинской потребности (включая этические и социальные аспекты), для того чтобы снабдить их частью данных, необходимых для принятия эффективных решений в своей стране. Это может быть общей задачей для Европейского агентства по лекарственным средствам, органов ОМТ и компетентных специалистов.

Ключевые слова: фармацевтические инновации, оценка медицинских технологий, экономическая эффективность, относительная эффективность, нагрузка на бюджет, медицинская потребность, доступ

Введение

Поскольку инвестиции в здоровье считаются инвестициями в человеческие и финансовые ресурсы, которые проводятся, чтобы достичь более высокого состояния здоровья для общества, очевидно, что общество должно контролировать экономическую эффективность и адекватность размера этих инвестиций. Поэтому, когда новое лекарство может рассматриваться как действительно инновационное, то есть, демонстрирующее дополнительное терапевтическое действие и удовлетворяющее медицинскую потребность, встает вопрос, стоит ли тратить государственные деньги, чтобы покрыть стоимость этого препарата с учетом его терапевтического действия, т. е. является ли препарат экономически эффективным?

Решение о финансировании нового лекарственного препарата должны принимать плательщики – третья сторона (в особенности службы социального медицинского страхования, или национальные службы здравоохранения или органы, представляющие их), принимая во внимание законный возврат инвестиций фармацевтической компании, прозрачность цен, и адекватность цены на продукт. Лица, принимающие решения,

связанные с распределением бюджетов здравоохранения, используют все больше и больше стандартных методов систематического анализа и оценки таких препаратов. Такие критерии, как относительная эффективность, экономическая эффективность, оценка результативности расходов, медицинская/терапевтическая потребность, социальные и этические соображения, играют определенную роль в этих решениях.

Ниже изложена точка зрения на (а) текущую ситуацию с внедрением инновационных лекарственных препаратов в ЕС, (б) на проблемы и инициативы, и (с) формулируются рекомендации по пересмотру ценообразования и обеспечение доступа к инновационным лекарственным препаратам.

Текущая ситуация, связанная с оценкой адекватности цены на инновационные лекарственные препараты

При решении вопроса о том, следует ли возместить затраты на лекарственные средства, Государства-члены должны принимать во внимание принципы, изложенные в Директиве 89/105/ЕЕС (Европейская комиссия, 1989). Однако прямая оценка экономической эффективности и влияния на бюджет не является обязательной в ЕС, а проводить такую оценку, или нет, решают государства-члены ЕС.

На международном уровне первыми странами, проводившими такие оценки, были Австралия и Канада в начале 1990-х годов (O'Donnell и соавт., 2009; International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research, 2011). Национальный институт здравоохранения и клинического совершенствования (NICE) в Англии и Уэльсе использует порог экономической эффективности £ 20 000 на год жизни с поправкой на качество (QALY), хотя и медицинская технология с коэффициентом эффективности дополнительных затрат (ICER) выше этого порога может быть рекомендована для использования в Национальной системе здравоохранения, если для этого есть веские основания. Обзор руководств NICE, выпущенных в период между 1999 и 2005 годами, делает вывод о том, что медицинская технология, имеющая коэффициент эффективности дополнительных затрат, превышающий £ 30 000 за QALY, вряд ли будет рекомендована (Raftery, 2006). Решение о том, какое соотношение следует рассматривать как (не) приемлемое соотношение, принимается экспертным комитетом NICE, который состоит из врачей и менеджеров здравоохранения, статистиков, экономистов здравоохранения, и представителей организаций пациентов (Rawlins и Culyer, 2004).

Бельгийский Комитет по возмещению расходов на лекарственные средства не использует порог экономической эффективности при оценке адекватности цены для лекарственных препаратов. Ретроспективный анализ был проведен на 824 досье на возмещение затрат на фармацевтические препараты, которые включали терапевтическое действие, и которые были поданы в период между 2002 и 2004 годами. Из этих досье, в 81% затраты были возмещены, в то время как в 19% не были. Если заявитель доказывал дополнительный терапевтический эффект, по сравнению с имеющимися альтернативами, вероятность возмещения увеличивалась до 91% (Van Wilder и Dupont, 2008).

В Ирландии, новые лекарственные препараты с ICER ниже 45000 € на QALY, как правило, возмещаются. Если лекарство имеет ICER значительно выше, чем при применении других технологий, которые были профинансированы или возмещались, необходимо учитывать другие факторы, такие как: уровень неопределенности, связанной с данными об эффективности и экономической эффективности, с результативностью расходов и возможностью инвестирования прибыли в новые лекарственные препараты,

инновационным характером препарата, а также наличием альтернативного лечения (Tilson и Barry, 2010).

Шотландский консорциум медицины оценивал адекватность цены примерно для 600 лекарственных средств с 2002 по 2008 годы (Webb, 2009). Из этих 600 препаратов, 30% были одобрены к применению, 33% были одобрены для ограниченного применения и 37% не были рекомендованы к применению. Если стоимость QALY была меньше или равна £ 20 000 за QALY, вероятность того, что применение препарата будет одобрено составляло 80%. Если стоимость QALY колебалась от £ 20 000 до £ 30 000 за QALY, эта вероятность снижалась до 42%. Заявка имела больше шансов на успех, если было выполнено одно или несколько из следующих условий: инновационное лечение, явное влияние на соответствующие клинические исходы, ощутимая выгода для QALY и ясная стоимость QALY, в случае прямого сравнения с принятой практикой, прозрачное моделирование с анализом чувствительности, и данные, относящиеся к шотландским пациентам.

В недавнем обзоре в Common Drug Review (CDR; Clement и соавт., 2009.) сравнивались оценки, проведенные NICE в Великобритании, с оценками Австралийского консультативного комитета по преимуществам фармацевтических средств (PBAC) и Канадского агентства по лекарственным препаратам и медицинским технологиям. По мнению авторов, эти три учреждения выпускали рекомендации, которые согласуются не только с фактическими данными об эффективности и экономической эффективности, но и с другими факторами (медицинская потребность, этические соображения, влияние на бюджет), которые часто являются важными.

Понятно, что такие выводы также справедливы для ЕС, где условия, регуляторные процедуры, готовность вступать в переговоры о цене, и социальные ценности в разных странах отличаются.

Роль оценки медицинских технологий (ОМТ) в процессе ценообразования и возмещения расходов становится важной, так как ОМТ, по определению, принимает во внимание все критерии, необходимые для принятия решений, а также наблюдает за технологиями передовой практики. Поэтому методология ОМТ может помочь государствам-членам в выборе объективного, поддающегося проверке, прозрачного процесса принятия решений. Но многие проблемы по-прежнему остаются.

Проблемы и инициативы, связанные с оценкой адекватности цены и доступа к инновационным лекарственным препаратам

Различия в структурах и процессах

Роль ОМТ в процессе принятия решений сильно отличается между государствами-членами ЕС. Sorenson и соавт. (2008) объясняют, что различные структуры, процессы и роли могут препятствовать эффективности процесса принятия решения и привести к ненужному дублированию усилий и к чрезмерному расходованию ресурсов.

На структурном уровне, некоторые страны имеют различные учреждения, участвующие в ОМТ, с дублированием функций и задач, а также с отсутствием скоординированных

рекомендаций; другие не имеют структуры ОМТ и должны полагаться на внешние оценки, которые не всегда могут прийти к выводам, применимым к местным условиям.

На уровне процесса, применяются различные методики, что ограничивает сопоставимость и переносимость результатов оценок для различных стран. Кроме того, отсутствие прозрачности, подотчетности и участие в процессе заинтересованных сторон часто называют общим недостатком существующих систем. Наконец, любой процесс должен предвидеть, что рекомендации нуждаются в пересмотре на регулярной основе в целях учета развивающейся практики в той или иной области.

Очень важно, чтобы органы ОМТ, национальные компетентные органы, и Европейское агентство по лекарственным средствам (ЕМА) работали во взаимодействии, с прозрачным распределением ролей и обязанностей, с тем, чтобы с одной стороны избежать дублирования усилий, и с другой стороны, в связи с отсутствием адекватных данных для принятия решений. Создание Европейской сети по Оценке медицинских технологий (EUnetHTA) внес значительный вклад в координацию ОМТ в ЕС. В настоящее время идет диалог между учреждениями ОМТ и ЕМА в целях координации деятельности агентств по ОМТ, ЕМА и национальными компетентными органами, как это было рекомендовано на Фармацевтическом форуме высокого уровня (Европейское агентство по лекарственным средствам, 2009).

Применение критериев ОМТ

Различия в системах здравоохранения и в организации ОМТ, вероятно, объясняют большую часть различий в результатах ОМТ в разных странах. Кроме того, различия в том, как ОМТ воспринимают, понимают или используют в различных частях мира, могут оказывать существенное влияние на способ проведения и использование ОМТ. Таким образом, различное применение ОМТ может наблюдаться даже в тех условиях, когда нет существенных различий в системах здравоохранения или в организации ОМТ.

Что касается применяемых критериев, в большинстве случаев оценки ОМТ принимают во внимание различные критерии, в том числе относительную эффективность, экономическую эффективность, влияние на бюджет, а также медицинские/терапевтические потребности. Некоторые страны также прямо включают влияние на общественное здоровье и соображения справедливости. Некоторые применяют подход с точки зрения общества, в то время как другие применяют более ограниченные подходы с учетом точки зрения здравоохранения. Лишь немногие страны применяют формальный порог готовности платить за одну единицу дополнительного здоровья, и даже стандартная единица QALY оспаривается несколькими государствами-членами ЕС (Cleemput и соавт., 2008).

Сотрудничество по ОМТ между государствами-членами ЕС требует стандартизации в структуре, прозрачности и обработки информации при любой ОМТ. Шаги к определению некоторых стандартов на международном уровне были предприняты Международной сетью агентств по оценке медицинских технологий (INAHTA) и в ходе предыдущих Европейских Проектов (EUR-ASSESS, ECHTA/ЕСАНИ). Совсем недавно Европейская Комиссия и государства-члены ЕС учредили EUnetHTA, как ответ на очевидную необходимость создания постоянной Европейской сети по ОМТ (Kristensen и соавт., 2009).

Основная Модель ОМТ была разработана в рамках проекта EUnetHTA, созданного для этой ранней работы (Lamre и соавт., 2009). Основная Модель ОМТ конкретизирует вопросы, которые должны быть заданы, и ответы, которые необходимо получить в процессе ОМТ, и определяет и стандартизирует структуру отчета о проведении ОМТ. Для

поддержки европейского сотрудничества, некоторые элементы модели имеют приоритет над другими. Они определяются как "основные элементы". Основным элементом является элемент оценки, который считается важным для каждой ОМТ и переносимым в сферы других полномочий. Основной ОМТ является фактическая оценка, которая была проведена с использованием Основной Модели ОМТ, и в ходе которой были рассмотрены все основные элементы всех девяти блоков ОМТ (а именно, проблема для здравоохранения и технологии, которые используются в настоящее время, описание и технические характеристики технологии, безопасность, клиническая эффективность, затраты, экономическая оценка; этический анализ, организационные аспекты, социальные аспекты и правовые аспекты). В широком смысле, сосредоточивая внимание на основных элементах и на резюмирующей главе, Основная ОМТ дает краткий обзор технологии, которая, вероятно, будет полезной в европейских условиях, и которая может быть использована в качестве основы для подготовки отчетов для местных ОМТ, которые учитывают местные условия.

Неопределенность и соглашения, ориентированные на результат

Одним из важнейших элементов оценки адекватности цены является оценка того, как решаются проблемы с неопределенностью эффективности, издержек и результативности расходов на лекарственный препарат. Одним из возможных путей решения этой неопределенности является применение соглашений о разделе рисков, или, более широко, "соглашений, ориентированных на результат" (Carlson и соавт., 2009). Соглашения, ориентированные на результат, могут быть определены как формальные соглашения между плательщиком за медицинские услуги и производителем, где уровень цены и/или полученных доходов связан с (будущим) результатом применения продукта для того, чтобы оставаться в пределах определенных заранее ограничений в плане экономической эффективности. В этих соглашениях эффективность и стоимость, в конечном итоге, будет определять формальные действия, ориентированные на обязательства по возмещению, так как компаниям приходится самим платить за лекарственный препарат в случае неэффективности лечения, или возвращать часть возмещаемых денег в случае худшей, чем ожидалось, рентабельности. Важнейшее требование, чтобы соглашения, ориентированные на результат, были эффективными, заключается в том, что должна иметься возможность измерить характеристику продукта, и выполнить достаточно точную оценку цены в "реальной жизни". Измерение характеристики продукта означает объективное измерение результатов лечения с помощью научно подтвержденных клинических конечных точек, а также с помощью результатов лечения по оценке со стороны пациентов (PRO; Dubois, 2010).

Соглашения, ориентированные на результат, соблюдают интересы промышленности, так как компании могут извлечь выгоду из новой информации, которая вытекает из положительных доклинических качеств, таких, как соблюдение режима лечения, влияние на качество жизни, удобство для медицинских работников, и потенциальные затраты. Кроме того, предсказуемость "справедливого" прайс-листа, отражающего реальную цену продукта, может быть стимулом для дальнейших инвестиций в инновационные исследования. Гибкие скидки и схемы бонусов также могут являться средством для удовлетворения желания плательщика заплатить за медицинские услуги, не обращаясь к мировым ценам и их влиянию на доход, путем проведения сравнительного анализа цен на лекарственные средства в нескольких странах ("внешние справочные цены"). Кроме того, соглашение, ориентированное на результат, может быть ценным активом для Программ сострадательного применения, и для Программ медицинской необходимости для обеспечения доступа пациентов к перспективной инновационной фармацевтической терапии в областях медицины, где имеется неудовлетворенная медицинская

потребность, без нарушения тонкого равновесия между затратами и эффективностью, при этом повышая прозрачность процесса принятия решения.

За последние два десятилетия, были подписаны многочисленные соглашения, ориентированные на результат. Были созданы относительно простые схемы "Нет результата, нет оплаты" и "Возврат денег гарантирован", например, для финастериды (США) для лечения доброкачественной гиперплазии предстательной железы, для варденафила (Дания) для лечения эректильной дисфункции, для валсартана (США и Дании) для лечения повышенного артериального давления, а также для бортезомиба (Великобритания) для лечения множественной миеломы (Национальный институт здравоохранения и клинического совершенствования, 2007), наряду с более сложными схемами, такими как Схема раздела риска при лечении рассеянного склероза в Великобритании (корректировка цен для обеспечения согласованного порогового значения для отношения экономической эффективности; Sudlow и Counsell, 2003), "обратная" схема скидок в США (большая скидка в случае лучших результатов) для ситаглиптина (+ метформин) для применения при сахарном диабете 2 типа, и схема покрытия расходов, связанных с осложнениями заболевания, в случае отсутствия эффективности ризендроната в лечении остеопороза в США. Тем не менее, вокруг некоторых из этих схем, таких как Схема раздела риска при лечении Рассеянного склероза в Великобритании, были подняты вопросы, и некоторые эксперты утверждали, что лучше выделять деньги на финансирование рандомизированных, контролируемых исследований лекарственных средств, участвующих в схеме (Raftery, 2010).

Сегодня такие соглашения часто заключаются по окончании некоторых длительных переговоров между фармацевтической компанией и лицом, принимающим решения, и рассматриваются как своего рода последний вариант переговоров (Европейская Комиссия, 2005). Кроме того, более быстрый доступ к новым фармацевтическим технологиям подразумевает более быстрое начало применения препарата, что несет риски, связанные с использованием технологий, которые исследованы не в полной мере, например, на безопасность длительного применения. Это может привести к тому, что пациент определенное время не будет получать оптимального лечения, или, что еще хуже, новое лечение подвергнет пациентов риску развития возможных неблагоприятных и вредных эффектов. Могут наблюдаться и другие возможные нежелательные варианты развития событий. Для создания сложных схем лечения должны быть выполнены сбор, комплексный мониторинг и анализ данных, что будет вести к дополнительным административным и бюрократическим расходам и дополнительным затратам для промышленности, плательщиков и администраторов. На самом деле, это может даже задерживать выход технологии на рынок. Цены на новый препарат могут вырасти в ожидании последующего соглашения, ориентированного на результат. От применения препарата, для которого имеются данные, что он не является клинически и экономически эффективным для всей целевой группы пациентов, может быть трудно отказаться, если есть доказательства пользы для отдельных пациентов. Предоставление обязательства по возмещению расходов может также поставить под угрозу стимулы для производителей на дальнейшие инвестиции в сбор дополнительных данных путем выбора наилучшего оптимального дизайна исследований и путем проведения исследований. Кроме этого, клиническое сообщество может рассматривать это экспериментальное исследование, как неэтичное, а пациенты могут не захотеть участвовать в таких схемах.

Потребительские возможности, доступность и солидарность

Инновационные препараты, как правило, выходят на рынках, где компании могут получить за них высокую цену, а затем, позднее, начинают продаваться на других рынках. На рынках, на которые продукт выходит позднее, решение о цене принимается после рассмотрения цены в других странах, так что небольшая разница в цене делает продукт

труднодоступным для населения стран с низким доходом (Docteur и Paris, 2008). Важнейшей задачей для ЕС является сделать ценные инновационные лекарственные препараты доступными для всех граждан ЕС, и эта задача требует солидарности внутри государств-членов ЕС и солидарности между государствами-членами ЕС. В идеале, ценные инновационные лекарственные препараты должны одновременно выходить на всех рынках и реализовываться по доступной цене.

Что касается солидарности внутри страны, важно понимать, что оценки экономической эффективности не учитывают вопросы распределения (бедные/богатые; молодые/пожилые, редкие заболевания и т.д.). Утилитарный взгляд на инвестиции в здравоохранение идет вразрез с принципом, что каждый человек имеет право на одинаковое качество медицинской помощи. Возможно, что готовность общества платить за QALY, или QALY сами по себе, должны усиливаться с учетом таких факторов, как тяжесть заболевания. На уровне страны необходимо отражение элементов, на основании которых может быть достигнута такая солидарность и усиление готовности общества платить, и в этот процесс должны быть вовлечены все заинтересованные стороны. Хороший пример показывают отчеты Совета граждан Великобритании (Национальный институт здравоохранения и клинического совершенствования, 2005).

Но необходимо также подумать и о солидарности на уровне ЕС, связанной с отношениями между государствами-членами. В принципе, все европейцы имеют право на одинаковое качество медицинской помощи, и неприемлемо, что в случае тяжелого заболевания жители страны X имеют доступ к новым методам лечения, в то время как жители страны Y их не имеют. Очевидно, что из-за различий в системах здравоохранения и приоритетах, достичь решения этой проблемы будет очень трудно.

Возможно, следует изучить, может ли система дифференциации цен быть применена в зависимости от ВВП на душу населения в стране, с тем, чтобы обеспечить такой доступ. Хотя подобные системы ценообразования отражают в некотором смысле принципы солидарности и справедливости, так как страны с большим количеством ресурсов будут нести часть финансового бремени более уязвимых стран, следует продумать вопросы их реализации. Создание систематической схемы дифференциации цен будет требовать определения своего рода европейской "базовой" цены, отражающей стоимость и адекватность цены лекарственного препарата на европейском уровне. Европейская "средняя" цена, отражающая "среднюю" европейскую адекватность цены не обязательно отражает истинную адекватность цены для отдельных стран, учитывая, что приоритеты в области здравоохранения могут отличаться между уязвимыми странами и странами с большими финансовыми возможностями. Остается рассмотреть вопрос, будет ли корректировки или дифференциации цен достаточно лишь на основании ВВП, и если нет, какие другие критерии могут быть рассмотрены. В то же время, так как эти схемы могут рассматриваться как схемы ценообразования с использованием в качестве сравнения внешних цен, они могут ограничить возможности отдельных стран вести переговоры (например, о механизмах компенсации или о соглашениях, ориентированных на результат) о ценах на соответствующие лекарственные препараты.

Следует также изучить, как эти системы дифференцированного ценообразования могут быть структурированы таким образом, чтобы соответствовать европейским нормам регулирования на внутреннем рынке, в частности свободному движению товаров, свободному предоставлению услуг, а также свободному экономическому пространству. Беспшлинный параллельный импорт и экспорт, например, не должны затруднять или препятствовать эффективности и устойчивости таких структур. Как минимум, системам должны быть созданы условия, которые гарантируют, что эти лекарственные препараты, предлагаемые на местных рынках, эффективно достигнут местных пациентов. В перспективе может быть рассмотрен вопрос о финансировании инновационных фармацевтических лекарственных препаратов через службы социального страхования, что, не требует регулирования правилами, касающимися внутреннего рынка ЕС.

Дополнительные проблемы для орфанных препаратов

Для орфанных препаратов возникают дополнительные проблемы. Действительно, учитывая их высокую цену при часто небольшой выгоде для состояния здоровья, маловероятно, что орфанные препараты часто будут экономически эффективными, по крайней мере, если экономическая эффективность вмешательства оценивается исходя из его стоимости на полученный QALY, и при сравнении этой стоимости QALY с фиксированным пороговым значением.

Возможно, дополнительные критерии, которые не входят в традиционную оценку стоимости QALY (например, серьезность заболевания, наличие других методов терапии для лечения данных болезней, а также затраты, которые ложатся на пациента, если стоимость препарата не возмещается), могут быть даже более актуальными для обоснования решений о применении орфанных лекарственных препаратов. Возникает вопрос о том, как эти различные соображения могут быть объединены. В отличие от препаратов для лечения заболеваний, не являющихся орфанными, как часто при решении плательщика о возмещении стоимости применения такого препарата следует принимать во внимание плохое отношение экономической эффективности, недостаточные клинические данные, небольшую выгоду для здоровья, высокую стоимость и отсутствие альтернативной терапии? Можно утверждать, что пороговое значение экономической эффективности должно быть выше для лекарственных препаратов, к которым общество придает высокое социальное значение. Использование орфанных препаратов может иметь высокую социальную ценность, хотя будущие исследования должны выявить социальные ценности, приписываемые различным медицинским технологиям.

Недавно ЕС согласился с принципом, что "государства-члены ЕС, заинтересованные стороны, и Европейская Комиссия должны активизировать свои усилия по обеспечению доступа к орфанным лекарственным средствам во всех странах-членах ЕС", что привело в ЕС к обмену знаниями о научной оценке добавленной клинической ценности орфанных лекарственных средств, к разработке механизмов специфического ценообразования и возмещения расходов и началу диалога об исследованиях и о разработке препаратов, а также к повышению осведомленности о редких/орфанных заболеваниях (Европейская Комиссия, 2005). Тем не менее, считается, что политики ЕС должны более интенсивно делиться своими соображениями и информацией о критериях, учитываемых при принятии решения о применении (возмещении) орфанных препаратов, и для координации этих процессов и критериев следует предпринять больше усилий.

Дополнительные проблемы для персонализированных препаратов

Особая проблема существует в оценке лекарственных средств, использование которых зависит или может зависеть от результатов генетических тестов. Очень часто оценкой адекватности цены таких тестов и лекарственных препаратов занимаются разные ответственные лица, использующие разные критерии, что приводит к дополнительным проблемам из-за отсутствия координации. Принципы оценки экономической эффективности использования и результативности расходов должны быть одинаковыми и распространяться на такие генетические тесты, а процессы принятия решений для генетических тестов и связанных с ними препаратов должны быть выровнены.

Рекомендуемые пути развития

В настоящее время мы еще далеки от оптимальной оценки соотношения цены и качества (адекватности цены) в ЕС. С одной стороны, государственное ценообразование на инновационные лекарственные средства включает в себя местную оценку адекватности цены, результативности расходов и местные медицинские потребности, которые могут быть удовлетворены новыми препаратами. Несмотря на то, что неудовлетворенные медицинские потребности, как правило, одинаковы на всей территории ЕС, медицинские потребности могут различаться между странами, когда, например, стоимость препарата для лечения редких болезней возмещается в одной стране, но не возмещается в другой стране. Действительно, местные приоритеты и национальная политика в области медицинской помощи должны быть отражены в процессах и критериях, используемых для оценки адекватности цены и, в конечном счете, для решений о возмещении. С другой стороны, общеевропейская скоординированная и даже интегрированная оценка, как относительной эффективности, так и медицинских потребностей (включая общие этические и социальные аспекты) должна быть предусмотрена для того, чтобы позволить получить часть исходных данных, необходимых для принятия решений на местном уровне эффективным способом. Наше предложение о Совместной инициативе по лекарственным средствам может являться общей задачей ЕМА, органов ОМТ и национальных компетентных органов.

Местная оценка медицинской потребности, дополнительные этические и социальные аспекты эффективности затрат, и результативности расходов должны оставаться в ведении государств-членов ЕС, хотя трансграничный обмен методами, информацией и решениями будет иметь высокую ценность. Обратите внимание, что местные оценки могут быть основаны на результатах моделей международной экономической эффективности и бюджетных затрат, адаптированным к местным условиям.

Согласно этой схеме, аналогичные результаты оценки относительной эффективности, тем не менее, позволяют различным государствам-членам ЕС приходиться к различным решениям о возмещении, либо на основании различий в оценочном суждении или в результатах оценок затрат, или по любой другой причине, фактически, в связи с отличиями в целях и приоритетах разных национальных систем здравоохранения.

Будущие переговоры между государствами-членами ЕС должны стремиться дать определение и запустить такую двойную систему с интегрированным подходом к оценке относительной эффективности и медицинских потребностей в ЕС, и скоординированный/основанный на обмене данными подход к оценке адекватности цены. **Таблица 1** иллюстрирует желаемые изменения, по сравнению с текущей ситуацией.

Таблица 1 Оценка инновационных лекарственных средств в Европейском Союзе.

Критерии оценки инновационных препаратов	Настоящее		Будущее	
	Централизованные ЕМА	Местные ОМТ и компетентные органы	Интегрированная Совместная инициатива по лекарственным средствам	Местные с изменениями в органах ОМТ и компетентных органах
Эффективность	√	√	√	
Безопасность	√	√	√	
Относительный эффект	√	√	√	

Относительная эффективность		√	√	
Медицинская потребность ЕС			√	√
Местная медицинская потребность		√	√	√
Этические и социальные аспекты		√	√	√
Экономическая эффективность		√		√
Результативность расходов		√		√
Организационные аспекты		√		√

Совместная инициатива по лекарственным препаратам относится к нашему предложению по совместной инициативе для ЕМА, органов ОМТ и национальных компетентных органов.

Список литературы

1. Carlson, J. J., Garrison, L. P., and Sullivan, S. D. (2009). Paying for outcomes: innovative coverage and reimbursement schemes for pharmaceuticals. *J. Manag. Care Pharm.* 15, 683–687.
2. Cleemput, I., Neyt, M., Thiry, N., De Laet, C., and Leys, M. (2008). *Threshold Values for Cost-Effectiveness in Health Care*. Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre.
3. Clement, F. M., Harris, A., Li, J. J., Yong, K., Lee, K. M., and Manns, B. J. (2009). Using effectiveness and cost-effectiveness to make drug coverage decisions: a comparison of Britain, Australia, and Canada. *JAMA* 302, 1437–1443.
4. Docteur, E., and Paris, V. (2008). *Improving Health System Efficiency: Achieving Better Value for Money*. Brussels: Joint European Commission/OECD Conference.
5. Dubois, D. J. (2010). Grand challenges in pharmacoeconomics and health outcomes. *Front. Pharmacol.* 1:7. doi: 10.3389/fphar.2010.00007
6. European Commission. (1989). Council Directive 89/105/EEC of 21 December 1988 Relating to the Transparency of Measures Regulating the Prices of Medicinal Products for Human Use and their Inclusion in the Scope of National Health Insurance Systems, European Commission: Brussels, 8–11.
7. European Commission. (2005). *Pharmaceutical Forum*. Available at: ec.europa.eu
8. European Medicines Agency. (2009). *Report on Workshop on the Development of an EMEA Transparency Policy*. Available at: www.ema.europa.eu
9. International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR). (2011). *ISPOR Tools for Health Care Decision Makers*. Available at: www.ispor.org

10. Kristensen, F. B., Lampe, K., Chase, D. L., Lee-Robin, S. H., Wild, C., Moharra, M., Garrido, M. V., Nielsen, C. P., Røttingen, J. A., Neikter, S. A., Bistrup, M. L., and The European Network for Health Technology Assessment. (2009). Practical tools and methods for health technology assessment in Europe: structures, methodologies, and tools developed by the European network for health technology assessment. *Int. J. Technol. Assess. Health Care* 25, 1–8.
11. Lampe, K., Mäkelä, M., Garrido, M. V., Anttila, H., Autti-Rämö, I., Hicks, N. J., Hofmann, B., Koivisto, J., Kunz, R., Kärki, P., Malmivaara, A., Meesaar, K., Reiman-Möttönen, P., Norderhaug, I., Pasternack, I., Ruano-Ravina, A., Räsänen, P., Saalasti-Koskinen, U., Saarni, S. I., Walin, L., Kristensen, F. B., and The European Network for Health Technology Assessment. (2009). The HTA core model: a novel method for producing and reporting health technology assessments. *Int. J. Technol. Assess. Health Care* 25, 9–20.
12. National Institute for Health and Clinical Excellence. (2005). NICE Citizens Council Report Ultra Orphan Drugs. Available at: www.nice.org.uk
13. National Institute for Health and Clinical Excellence. (2007). Final Appraisal Determination – Bortezomib Monotherapy for Relapsed Multiple Myeloma. Available at: www.nice.org.uk
14. O'Donnell, J. C., Pham, S. V., Pashos, C. L., Miller, D. W., and Smith, M. D. (2009). Health technology assessment: lessons learned from around the world – an overview. *Value Health* 12(Suppl. 2), S1–S5.
15. Raftery, J. (2006). Review of NICE's recommendations, 1999–2005. *BMJ* 332, 1266–1268.
16. Raftery, J. (2010). Multiple sclerosis risk sharing scheme: a costly failure. *BMJ* 340, c1672.
17. Rawlins, M. D., and Culyer, A. J. (2004). National Institute for Clinical Excellence and its value judgments. *BMJ* 329, 224–227.
18. Sorenson, C., Drummond, M., and Kanavos, P. (2008). Ensuring Value for Money in Health Care: The Role of HTA in the European Union. Copenhagen: European Observatory on Health Systems and Policies.
19. Sudlow, C., and Counsell, C. (2003). Problems with the UK Government's risk sharing scheme for assessing drugs for multiple sclerosis. *BMJ* 326, 383–392.
20. Tilson, L., and Barry, M. (2010). Recent developments in pharmacoeconomic evaluation in Ireland. *Expert Rev. Pharmacoecon. Outcomes Res.* 10, 221–224.
21. Van Wilder, P., and Dupont, A. (2008). Introducing evidence-based medicine in reimbursement procedures: does it affect the outcome? *Value Health* 11, 784–787.
22. Webb, D. (2009). Early Assessment of Cost-Effectiveness. Edinburgh: Congress of the European Association for Clinical Pharmacology and Therapeutics.

Valorising and Creating Access to Innovative Medicines in the European Union

Lieven Annemans,^{1,*} Irina Cleemput,² Frank Hulstaert,² and Steven Simoens³

¹Center for Health Economics, Department of Public Health, Ghent University, Ghent, Belgium

²Belgian Health Care Knowledge Centre, Brussels, Belgium

³Research Centre for Pharmaceutical Care and Pharmaco-economics, Katholieke Universiteit Leuven, Leuven, Belgium

*Correspondence: Lieven Annemans, Center for Health Economics, Department of Public Health, Ghent University, UZ-1K3 De Pintelaan 185, 9000 Ghent, Belgium. e-mail: lieven.annemans@UGent.be

This Perspective describes (a) the current situation, (b) challenges and initiatives, (c) and formulates recommendations to valorize and create access to innovative medicines in the EU. We are currently still far away

from optimal assessment of value for money in the EU. On the one hand, valorizing innovative medicines involves a local appraisal by health technology assessment (HTA) bodies and competent authorities about the value for money, the budget impact, and the local medical need that can be filled with new medicines. Therefore, local priorities and national health care policy environments should be reflected in the processes and criteria used for assessing value for money and ultimately for reimbursement decisions. On the other hand, a pan-European assessment of both relative effectiveness and medical need (including general ethical and social considerations) should be envisaged in order to feed part of the data needed for the local decisions in an efficient way. This could be the task of the European Medicines Agency, HTA bodies, and competent authorities together.

Keywords: pharmaceutical innovation, health technology assessment, cost–effectiveness, relative effectiveness, budget impact, medical need, access