

## Dlaczego refundacja leku sierociego wymaga szczególnego podejścia?

Why does reimbursement of orphan drugs require a specific approach?

*lek. Krzysztof Łanda*  
*HTA Audit*



*mgr Jakub Adamski*

### ABSTRACT

The greatest problem concerning the reimbursement of orphan products is their high price. In the case of orphan drugs, reimbursement and pricing decisions are highly interrelated. In decisions concerning reimbursement of newly marketed health technologies, their cost-effectiveness or cost-utility should be taken into account. Rigorousness and thoroughness of evaluating an orphan drug prior to a reimbursement or pricing decision should depend on the cost of treatment and it should be stressed that for most orphan interventions costs of treatment depends mainly on the price of the orphan product.

Low cost orphan drugs should be managed as all other drugs which do not generate high treatment costs. In the case of high and very high cost orphan drugs much more restrictive procedures should be applied in its assessment.

Apparently, assessment of a very high cost orphan drug should be performed and appropriate analyses should be prepared by the applicant. Alternatively, the technology may be assessed by the HTA Agency itself. Appraisal should be performed by a separate advisory body, e.g. The Rare Diseases Team to the Minister of Health. The final decision should be made by the Minister of Health, who will bear political responsibility.

In Poland appropriate state authorities have to undertake specific professional pricing activities with respect to orphan products in egalitarian approach and introduce risk sharing agreements by Law.

**KEY WORDS:** orphan drugs, pricing, reimbursement, rare diseases, ultrarare diseases, appraisal, egalitarian approach

## STRESZCZENIE

Największym problemem dotyczącym refundacji produktów sierocych jest ich wysoka cena. Decyzje refundacyjne i cenowe w przypadku leków sierocych są szczególnie mocno powiązane. Jeśli dotyczą nowo wprowadzanych na rynek technologii medycznych, powinny być podejmowane z uwzględnieniem efektywności kosztowej lub użyteczności kosztów. Rygorystyczność i dokładność oceny leków sierocych przed podjęciem decyzji refundacyjnej czy cenowej powinny zależeć od kosztów terapii i należy podkreślić, że w większości przypadków interwencji sierocych koszt leczenia w zasadniczym stopniu zależy od ceny preparatu sierociego.

Tanie leki sieroce powinny podlegać tym samym procedurom co inne leki, które nie generują wysokich kosztów leczenia. Kosztowne i wysoce kosztowne leki sieroce powinny być oceniane ze znacznie większą restrykcyjnością.

Wydaje się, że dokonywanie oceny merytorycznej (*assessment*) i przygotowanie odpowiednich analiz wysoce kosztownych leków sierocych powinno być dokonywane przez wnioskodawcę. Technologia może być też ewentualnie oceniana samodzielnie przez agencję HTA. Ocena wartościująca (*appraisal*) powinna należeć do odrębnego gremium doradczego, np. Zespołu ds. Chorób Rzadkich (ZCR) przy Ministrze Zdrowia. Ostateczne decyzje powinny być podejmowane przez ministra zdrowia, który ponosi odpowiedzialność polityczną.

W Polsce konieczne jest podjęcie profesjonalnych działań w zakresie kształtowania cen sierocych produktów leczniczych w podejściu egalitarnym oraz wprowadzenie ustawą możliwości porozumień cenowych.

**SŁOWA KLUCZOWE:** leki sieroce, pricing, refundacja, choroby rzadkie, choroby ultraradkie, ocena wartościująca, podejście egalitarne