

RAPORT

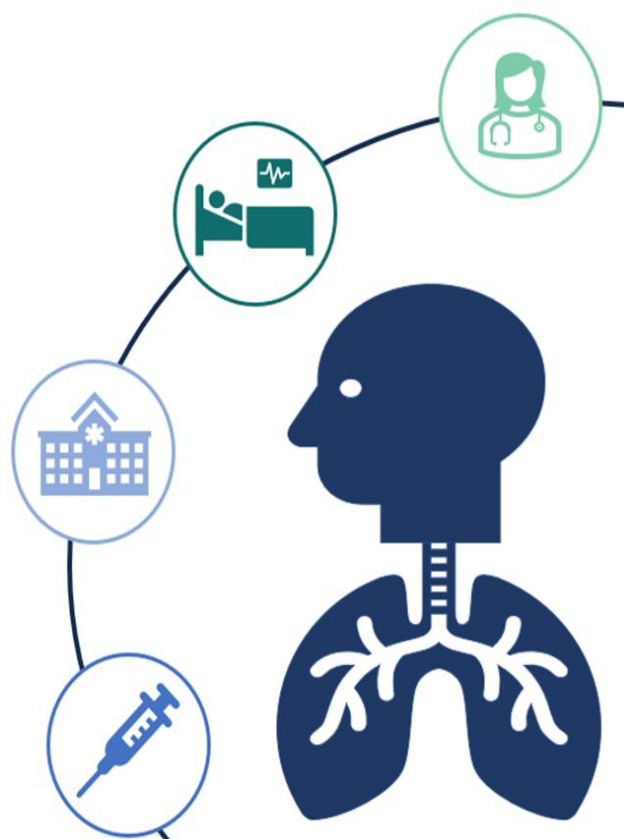
Program lekowy B.44

Leczenie chorych z ciężką
postacią astmy

ANALIZA ORGANIZACJI I FUNKCJONOWANIA

BADANIE EKONOMICZNE

REKOMENDACJE ZMIAN



Wersja 2.0, Wrzesień 2023

RAPORT PRZYGOTOWANY PRZEZ



EconMed Europe Sp. z o.o.

Adres korespondencyjny:

Wola Zachariaszowska

ul. Królewska 21

32-087 Zielonki

www.econmed.eu

AUTORZY

Dr Michał Seweryn

Mgr Joanna Augustyńska

Mgr Justyna Kopel

Mgr inż. Elżbieta Romańska

Mgr inż. Beata Rękawek

PARTNERZY RAPORTU



Kraków 2023

EXECUTIVE SUMMARY

WPROWADZENIE

Pomimo wielu korzystnych zmian w programie lekowym B.44 wskazane byłoby zwiększenie dostępu do innowacyjnych terapii biologicznych w leczeniu ciężkiej postaci astmy w Polsce. Według danych NFZ, w programie lekowym B.44 w 2022 roku leczonych było 2 507 pacjentów, natomiast liczba osób w Polsce z ciężką, niekontrolowaną postacią astmy spełniających kryteria kwalifikacji do zastosowania terapii biologicznych szacowana jest w przedziale 32-38 tys. Przykłady innych krajów europejskich, wskazują, że istnieje potencjał na zwiększenie dostępności do leczenia biologicznego w Polsce. Stosunkowo niska dostępność programu lekowego B.44 w Polsce, zdaniem ekspertów wynika m.in. z nieadekwatnej wyceny świadczeń przez NFZ w porównaniu do rzeczywistych wydatków ponoszonych przez ośrodki czy biurokratycznego obciążenia lekarza prowadzącego program. Znaczący wpływ na tą sytuację mają również takie kwestie jak: niewłaściwe rozpoznanie choroby, brak świadomości tej metody leczenia czy trudności we wstępnej kwalifikacji do leczenia biologicznego.

Celem raportu jest zaproponowanie takich rozwiązań, które poprawią sytuację osób chorych na ciężką astmę, w tym dostępności leków biologicznych. W ramach raportu przeprowadzono analizę organizacji i funkcjonowania programu B.44, dokonano ekonomiczną ocenę realizacji programu B.44 z perspektywy świadczeniodawcy i NFZ oraz wydano rekomendacje zmian w obszarze programu lekowego B.44.

POPULACJA PACJENTÓW Z CIĘŻKĄ POSTACIĄ ASTMY W POLSCE

Szacuje się, że w 2022 roku w Polsce blisko 1,97 mln osób chorowało na astmę, a tylko połowa pacjentów (1,02 mln) otrzymała świadczenie sprawozdane do NFZ z rozpoznaniem głównym astmy. Ciężka postać choroby dotyczy 3-10% osób z astmą. W 2022 r. około 32-38 tys. osób z ciężką, niekontrolowaną astmą kwalifikowało się do zastosowania terapii biologicznych, natomiast leczenie to otrzymało tylko 2 507 pacjentów (w ramach programu lekowego B.44). Niniejsza analiza wskazuje, że pomimo iż program lekowy B.44 istnieje od ponad 10 lat, wciąż znaczna liczba chorych potencjalnie spełniających kryteria kwalifikacji do programu, nie jest do niego włączana. Sytuacja ta wynika m.in. z problemów w prawidłowym zdiagnozowaniu astmy ciężkiej oraz ograniczonej wiedzy o dostępności leczenia biologicznego w astmie ciężkiej. Proponowanym rozwiązaniem, mającym na celu poprawę dostępu do tej metody leczenia jest wdrożenie rozwiązań na poziomie krajowym, takich jak system informatyczny do wsparcia codziennej praktyki klinicznej oraz popularyzowanie terapii biologicznych wśród chorych i lekarzy.

KRYTERIA REFUNDACJI LEKÓW BIOLOGICZNYCH W CIĘŻKIEJ ASTMIE

Kryteria kwalifikacji do programu lekowego B.44 określone są w zapisie programu lekowego. Część z nich jest węższa niż proponowana w wytycznych klinicznych oraz nie obejmuje wszystkich wskazań ujętych w ChPL. Jednym z ograniczeń wymienionych przez ekspertów z zakresu alergologii i pulmonologii jest liczba epizodów zaostrzeń. Obecnie istnieje wymóg co najmniej dwóch epizodów zaostrzeń w ciągu roku. Wyniki badań pokazują, że pomimo mniejszej liczby eozynofili we krwi i lepszych parametrów spirometrycznych w grupie pacjentów niezakwalifikowanych w stosunku do zakwalifikowanych do programu nie stwierdzono istotnych różnic w liczbie zaostrzeń, schemacie leczenia astmy, jakości życia czy kontroli astmy.

Istotnym ograniczeniem jest również fakt, że nie wszystkie leki, które są zarejestrowane w leczeniu ciężkiej astmy w Polsce, są dostępne w ramach programu lekowego. Powinno się dążyć do dostępności w Polsce nowozarejestrowanych leków biologicznych zalecanych zgodnie ze standardami GINA.

Zawężone kryteria kwalifikacji z dużym prawdopodobieństwem wpływają na ograniczoną liczbę pacjentów w programie lekowym. Zmiana zapisów programu pozwoliłaby większej liczbie pacjentów otrzymać leczenie biologiczne przyczyniające się do znaczącej poprawy jakości życia.

REALIZACJA PROGRAMÓW LEKOWYCH W POLSCE – BARIERY EKONOMICZNE I ORGANIZACYJNE

Utrudniona realizacja programów lekowych w Polsce jest spowodowana głównie przez bariery ekonomiczne i organizacyjne. Główne bariery ekonomiczne to m.in. niewystarczająca wycena świadczeń czy brak zmiany wyceny punktowej świadczeń związanych z realizacją programów. Do barier organizacyjnych należą m.in: zmiana cen leków w poszczególnych obwieszczeniach MZ, limity finansowania programów lekowych, obciążenie biurokratyczne personelu czy finansowanie jedynie podanej/wydanej pacjentowi części leku. Wskazane bariery realizacji programów lekowych mogą „zniechęcać” świadczeniodawców do prowadzenia programów, a także ograniczać włączanie nowych pacjentów do programów. Dlatego tak ważnym elementem rozwoju funkcjonowania programów lekowych w Polsce jest wdrożenie zmian systemowych ograniczających występujące bariery.

WYKONANIE PROGRAMU B.44 – TRYB ŚWIADCZEŃ

W 2022 roku w większości województw hospitalizacja jednodniowa była najczęściej raportowanym świadczeniem w programie B.44. Jest to interesujący fakt, biorąc pod uwagę, że leki objęte programem lekowym B.44 są podawane podskórnie, co sugeruje, że w większości przypadków leczenie mogłoby być przeprowadzane w trybie ambulatoryjnym. Można przypuszczać, że obecny stan wynika z obowiązującego do końca lutego 2018 r. wymogu podania leków biologicznych w leczeniu ciężkiej astmy jedynie w warunkach szpitalnych. Aktualnie nie ma takich wymagań, poza pierwszym podaniem, podczas którego pacjent powinien być obserwowany przez co najmniej 2 godziny. Można przypuszczać, że hospitalizacja pacjenta przy podaniu leku, w większości przypadków nie jest uzasadniona wyłącznie stanem zdrowia pacjenta, ale także względami ekonomicznymi.

Od listopada 2020 r. zapis programu lekowego umożliwia nowy tryb podania leku – samodzielne podanie leku w warunkach domowych. Pomimo wprowadzenia tej możliwości nadal większość podań odbywa się stacjonarnie. Wyniki analizy wskazują na liczne korzyści związane z podaniem leku w domu. Najważniejszymi zaletami tego trybu przyjęcia leku są: oszczędność czasu pacjenta, mniejsze ryzyko infekcji a po stronie świadczeniodawcy udrożnienie placówek leczniczych.

Przeprowadzona analiza wskazała, że samodzielne podanie leku w warunkach domowych może być skutecznym i bezpiecznym sposobem leczenia ciężkiej astmy, jednak konieczne jest przeszkolenie pacjentów oraz monitorowanie i wsparcie ze strony personelu medycznego.

NAKŁADY NA FINANSOWANIE PROGRAMU LEKOWEGO B.44

Kwoty kontraktu dla programu B.44 rosną z roku na rok, a ich wysokość w ostatnich latach zwiększyła się ponad dwukrotnie (46 mln zł w 2019 r. vs 107 mln zł w 2022 r.). Większość budżetu na refundację programów lekowych stanowią kontrakty na leki – w przypadku programu B.44 jest to niemal 87-90%. Do roku 2021 obserwowano spadek udziału kwoty na świadczenia, jednak od 2022 r. ten trend się zmienił i udział kwoty na świadczenia zaczął rosnąć. Wynika to ze wzrostu ceny za punkt w wycenie świadczeń towarzyszących w zakresie programów lekowych. Należy jednak podkreślić, że wycena punktowa świadczeń pozostaje na poziomie z 2017 r.

Wyniki analizy wskazują na rosnące wydatki na leczenie ciężkiej astmy w ramach programu lekowego B.44. Wdrożenie bardziej skutecznych i zrównoważonych strategii zarządzania programem lekowym może pomóc w optymalizacji kosztów leczenia, jednocześnie zapewniając pacjentom odpowiednią terapię i wsparcie.

ROZMIESZCZENIE OŚRODKÓW REALIZUJĄCYCH PROGRAM B.44

Rozmieszczenie ośrodków realizujących program lekowy B.44 ma dość powszechny schemat – jedno miasto (najczęściej stolica województwa) leczy zdecydowaną większość pacjentów, natomiast w innych

miastach prowadzeni są pojedynczy pacjenci. Można przypuszczać, że największe problemy w zapewnieniu równego dostępu do leczenia mają województwa wschodnie (jeden dominujący ośrodek), natomiast pacjenci z Polski centralnej mogą korzystać z dodatkowo z leczenia w województwach ościennych. Z uwagi na tryb podania leku (najczęściej podanie w placówce) dla pacjentów kluczowa jest odległość i dostępność placówki medycznej.

Lepsze rozmieszczenie ośrodków medycznych realizujących program B.44 zwiększyłoby dostępność do leczenia biologicznego oraz poprawiłoby jakość życia pacjentów.

OCENA KOSZTÓW ŚWIADCZENIODAWCÓW

Ważną część raportu stanowiło badanie ekonomiczne, którego celem było porównanie rzeczywistych kosztów pozalekowych ponoszonych przez świadczeniodawcę z wyceną świadczeń NFZ. Badanie opierało się na przeprowadzonym badaniu ankietowym obejmującym 219 pacjentów leczonych w programie B.44 w trzech szpitalach. Z uwagi na różnice w zebranych danych pomiędzy placówkami przygotowano dwa warianty analizy – wariant 1 uwzględniający dane wejściowe oszacowane jako średnia ważona liczbą pacjentów oraz wariant 2 – dane wejściowe oszacowane jako mediana wartości.

Porównanie kosztów dotyczyło: diagnostyki w programie lekowym (1. rok i kolejne lata leczenia), podania leku oraz wydanie leku do domu.

Wyniki analizy wskazują na znacznie wyższe koszty ponoszone przez świadczeniodawców w porównaniu z wyceną NFZ:

- W obszarze diagnostyki w 1. roku leczenia koszty ponoszone przez świadczeniodawcę w porównaniu do wyceny NFZ były wyższe o 110-135% (dla wariantu 1) i 15-42% (dla wariantu 2).
- W kolejnych latach leczenia koszty diagnostyki ponoszone przez świadczeniodawcę były wyższe o 31% od wyceny NFZ dla wariantu 1.
- W obszarze podania leku w ramach hospitalizacji jednodniowej koszty świadczeniodawcy były wyższe o 115% (wariant 1) i 92% (wariant 2) niż wycena NFZ, natomiast dla podania w ramach wizyty ambulatoryjnej: 20% (dla obu wariantów)
- Koszt świadczeniodawcy wydania leku do domu (w ramach wizyty ambulatoryjnej) był wyższy o 40% od wyceny NFZ (dla obu wariantów).

Wyniki badania ekonomicznego wskazują na potrzebę zmiany finansowania a także monitorowania kosztów i efektywnego zarządzania środkami finansowymi w ramach programu lekowego B.44. Ponoszone straty finansowe przez szpitale realizujące program lekowy B.44 mogą wpływać na ograniczenie liczby pacjentów leczonych w programie.

PROPOZYCJE ZMIAN W FINANSOWANIU PROGRAMU B.44

W ramach analizy zidentyfikowano dwie możliwości zmiany finansowania świadczeń w ramach programu lekowego B.44:

1. Możliwość rozliczania w programie nowego świadczenia „przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu”.
2. Zmiana wyceny punktu rozliczeniowego.

W celu określenia konsekwencji wprowadzenia proponowanych rozwiązań, przeprowadzona została analiza całkowitych kosztów NFZ i świadczeniodawców podania leków w programie lekowym B.44. Rozważono 4 scenariusze analizy. W każdym scenariuszu analiza całkowita liczba pacjentów była równa 2 665, a koszt 1 punktu wynosił 1,40 zł. Scenariusze różniły się rozkładem pacjentów w poszczególnych trybach podania leku. Najkorzystniejszy scenariusz (scenariusz 3) zarówno z perspektywy NFZ, jak i świadczeniodawcy zakładał, że 50% pacjentów będzie miało wydawany lek do domu w ramach świadczenia „przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu”, 23% pacjentów będzie miało podany lek w ramach wizyty ambulatoryjnej, a pozostałe 28%

- w ramach hospitalizacji jednodniowej. Wprowadzenie tego rozwiązania zminimalizowałoby koszty zarówno z perspektywy świadczeniodawcy jak i NFZ oraz zredukowałoby straty ponoszone przez świadczeniodawców (o około 76-78%) w porównaniu do obecnej sytuacji.

Na podstawie wyników analizy rekomenduje się umożliwienie rozliczenia świadczenia „przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu” w ramach programu lekowego B.44. Wprowadzenie tego świadczenia w programie B.44 zachęci świadczeniodawców do wydawania leku pacjentowi do domu. Rozwiązanie to przyczyni się również do zmniejszenia liczby wizyt pacjenta w ośrodku, co wpłynie na poprawę jakości życia.

Wzrost wyceny 1 punktu także przyczyni się do zrekompensowania strat świadczeniodawcy. W przypadku najbardziej korzystnego scenariusza 3, wzrost kosztu punktu do poziomu 2,03 zł (wariant 1) lub 1,85 zł (wariant 2) powoduje pokrycie w całości wydatków świadczeniodawców poprzez NFZ, jednak wiąże się to z dodatkowymi wydatkami płatnika – 2,84 mln zł dla wariantu 1 i 2,05 mln zł dla wariantu 2.

WNIOSKI I REKOMENDACJE

W ramach raportu przedstawiono szereg wniosków i rekomendacji dotyczących programu lekowego B.44, takich jak:

Pacjenci nie mają równego dostępu do leczenia lub mają ten dostęp utrudniony.

W celu poprawy dostępu do terapii oraz zoptymalizowania kosztów NFZ, warto rozwijać w sposób kontrolowany możliwość samodzielnego podawania terapii w domu pacjenta. Jeżeli natomiast podanie w warunkach domowych nie jest wskazane (brak zgody pacjenta lub lekarza prowadzącego) należy zaproponować odpowiednią wycenę, aby realizacja świadczeń towarzyszących w trybie ambulatoryjnym była bardziej opłacalna dla placówek medycznych niż hospitalizacja. Wydaje się, że dążenie do sytuacji, w której leczenie ambulatoryjne jest podstawowym świadczeniem realizowanym w ramach programów lekowych powinno należeć do jednych z głównych zadań związanych z organizacją ochrony zdrowia.

Aktualna wycena NFZ jest niewspółmierna z kosztami świadczeniodawcy

Niewystarczająca wycena świadczeń może działać w sposób zniechęcający do prowadzenia programu lekowego oraz kwalifikacji nowych pacjentów. Aby zapewnić pacjentom lepszy dostęp do leczenia należy zachęcić szpitale do realizacji programu lekowego B.44 poprzez wprowadzenie nowego świadczenia, które zmniejsza liczbę wizyt pacjenta w placówce, natomiast płatnik powinien utrzymać podnoszenie wyceny punktu rozliczeniowego.

Wąskie kryteria włączenia do programu wykluczają niektóre grupy osób z astmą ciężką

Osoby z mniejszą liczbą epizodów zaostrzenia nie spełniają kryteriów włączenia do programu. Obecnie według zapisów programu B.44, wymagane jest wystąpienie co najmniej dwóch epizodów zaostrzenia w ciągu roku. Wyniki badań pokazały, że osoby z mniejszą liczbą epizodów zaostrzenia również wymagają specjalistycznej opieki, przez co konieczne jest dla nich szukanie leczenia alternatywnego.

Ponadto w z programu lekowego wyłączane są kobiety w ciąży, gdzie w większości krajów mogą one kontynuować leczenie biologiczne. Proponuje się przyjęcie większej elastyczności w zapisach programu lekowego, pozwalających w uzasadnionych przypadkach dopuszczenie kontynuacji terapii u pacjentek leczonych przed zajściem w ciążę.

Rozdział 1.

WPROWADZENIE

Pomimo wielu korzystnych zmian w programie lekowym B.44 wskazane byłoby zwiększenie dostępu do innowacyjnych terapii biologicznych w leczeniu ciężkiej postaci astmy w Polsce. Sama formuła finansowania leków w ramach programu lekowego ma za zadanie pełną kontrolę nad dostępem do leczenia poprzez określenie szczegółowych kryteriów kwalifikacji do programu często zawierających bardziej restrykcyjne wymogi niż prezentowane w rekomendacjach towarzystw naukowych i charakterystykach produktów leczniczych (ChPL). Według danych opublikowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ), w programie lekowym B.44 w 2022 roku leczonych było 2 507 pacjentów, podczas gdy liczba osób w Polsce z ciężką, niekontrolowaną postacią astmy spełniających kryteria kwalifikacji do zastosowania terapii biologicznych szacowana jest w przedziale od około 32 tys. do 38 tys. Zatem można przyjąć, że od 29,5 tys. do 35,4 tys. chorych w Polsce nie otrzymuje właściwego leczenia, co pokazuje, że rzeczywiste potrzeby polskich pacjentów są obecnie znacznie większe niż system jest im w stanie zaoferować. Dla porównania w niektórych państwach Europy odsetek leczonych chorych sięga ok. 30% (Francja) a nawet ok. 70% (Włochy, Wielka Brytania), natomiast w Polsce to zaledwie 7%.

Istnieje wiele przyczyn niskiej dostępności do innowacyjnych terapii w Polsce, które zależą od pacjenta, lekarza prowadzącego oraz ośrodka, w którym odbywa się leczenie. Zdaniem ekspertów realizujących programy lekowe, jedną z przyczyn ich niskiej dostępności jest nieadekwatna wycena świadczeń przez NFZ w porównaniu do rzeczywistych wydatków ponoszonych przez ośrodki oraz znacznych obciążeń biurokratycznych, które zniechęcają lekarzy do prowadzenia programu. Również znaczący wpływ na niewielką dostępność programu mają takie kwestie jak: niewłaściwe rozpoznanie choroby przed wystaniem pacjenta do ośrodka prowadzącego program lekowy, brak świadomości istnienia nowoczesnego leczenia biologicznego, lęk przed nową formą leczenia a także uwarunkowane złożonymi kryteriami trudności we wstępnej kwalifikacji pacjenta do terapii biologicznej ciężkiej postaci astmy.

W celu poprawy sytuacji osób chorych na ciężką astmę, w tym dostępności leków biologicznych, sporządzono raport, który zawiera:

- analizę organizacji i funkcjonowania programu lekowego *B.44 Leczenie chorych z ciężką postacią astmy*,
- badanie ekonomiczne porównujące koszty szpitalne związane z prowadzeniem pacjentów zakwalifikowanych do terapii w ramach programu lekowego B.44 z kwotami refundacji z NFZ,
- rekomendacje zmian w obszarze programu lekowego B.44.

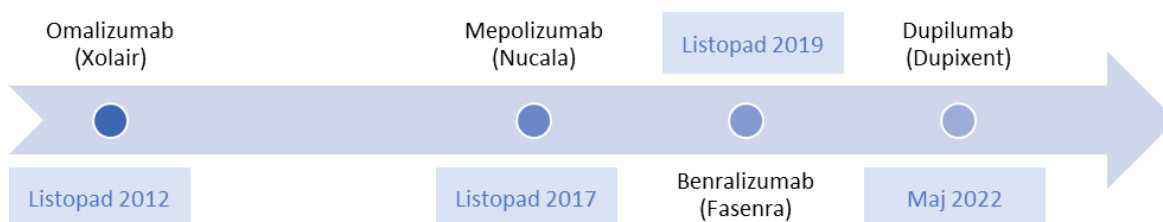
Autorzy raportu mają nadzieję, że proponowane zmiany przyczynią się do usprawnienia funkcjonowania programu lekowego B.44 a tym samym pozytywnie wpłyną na jakość i zakres opieki nad pacjentem, przy równoczesnym zachowaniu racjonalnych wydatków płatnika publicznego na świadczenia związane z wykonaniem programu.

Rozdział 2.

STATYSTYKI PROGRAMU LEKOWEGO B.44

Obecnie w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy” refundowane są 4 substancje czynne. W momencie wprowadzenia programu lekowego B.44, w listopadzie 2012 roku, w ramach leczenia w programie dostępna była tylko jedna substancja czynna – omalizumab. Dopiero po 5 latach funkcjonowania w ramach programu rozpoczęto finansowanie nowego preparatu. W listopadzie 2017 roku do programu lekowego wprowadzono mepolizumab, a w listopadzie 2019 – benralizumab. Natomiast od maja 2022 roku w programie B.44 dostępna jest również czwarta substancja czynna – dupilumab. [1]

Rysunek 1. Substancje czynne w programie lekowym B.44

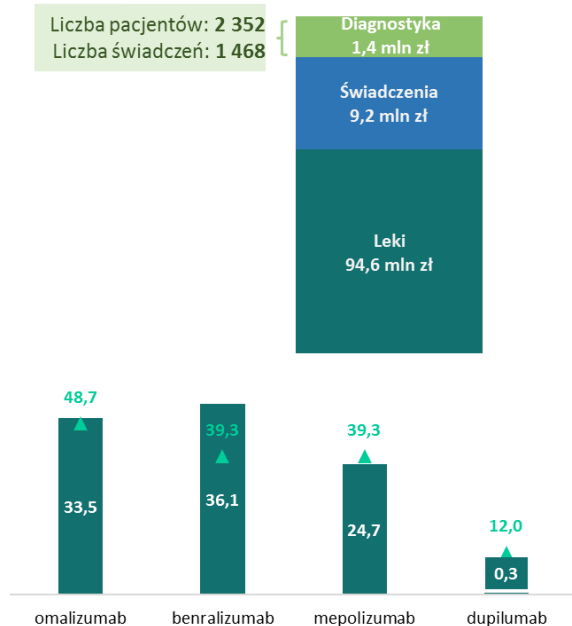


W 2022 roku w ramach programu lekowego B.44 leczono 2 507 pacjentów, a całkowita kwota refundacji wyniosła 105,3 mln zł. 90% tej kwoty dotyczyło refundacji leków w programie lekowym, a pozostała część – świadczeń towarzyszących podawaniu leków. Największe udziały w kwocie refundacji leków miała refundacja substancji czynnych: benralizumabu (38%) i omalizumabu (35%). Najniższy udział w kwocie refundacji (0,32%) dotyczył dupilumabu, należy jednak podkreślić, że substancja ta została wprowadzona do programu dopiero w maju 2022 roku, zatem jej rzeczywisty udział w rynku będzie rósł i nie można na podstawie tak krótkiego okresu wyciągać wniosków. Spośród wszystkich substancji czynnych najwyższy średni koszt refundacji na pacjenta w 2022 roku dotyczył omalizumabu (48,7 tys. zł), w przypadku benralizumabu i mepolizumabu wynosił on około 39,3 tys. zł, a dla dupilumabu odnotowano ponad 3-krotnie niższy średni koszt refundacji na pacjenta – 12,0 tys. zł (co wynika z faktu decyzji refundacyjnej w trakcie roku a zatem nowo włączonych do programu na tej substancji pacjentów leczono znacznie krócej niż prowadzonych na pozostałych preparatach i stąd niższa wartość). [2,3]



105 mln zł na program B.44 , w tym:

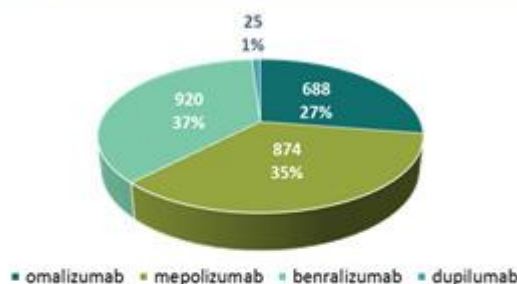
Liczba pacjentów: 2 352
Liczba świadczeń: 1 468



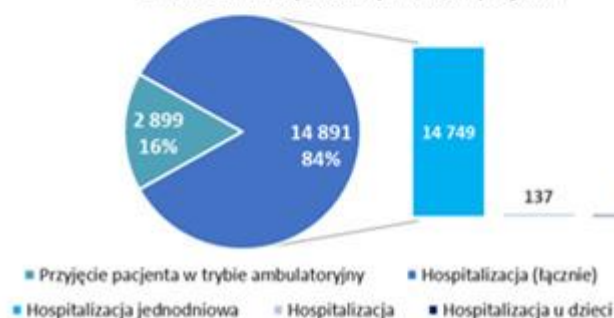
■ Całkowite koszty refundacji w mln zł ▲ Średni koszt refundacji na pacjenta w tys. zł



2 507 pacjentów w programie B.44 , w tym:



Świadczenia związane z wykonaniem programu



Kwota refundacji świadczeń w programie lekowym B.44 w 2022 roku wynosiła 9 225 120 zł. 84% (14 891) rozliczonych świadczeń dotyczyło hospitalizacji pacjentów, z czego aż 99% stanowiły hospitalizacje w trybie jednego dnia. Zaledwie 14% zrefundowanych świadczeń obejmowało przyjęcie pacjentów w trybie ambulatoryjnym. Jak widać hospitalizacja jest dominującym trybem przyjęcia pacjentów w tym programie.

Najniższy udział w całkowitej kwocie refundacji programu lekowego B.44 w 2022 roku miała diagnostyka (1,3%), w ramach której udzielono 1 468 świadczeń o łącznej kwocie refundacji 1 395 157 zł. [2,4]

Rozdział 3.

SKUTECZNOŚĆ PROGRAMU LEKOWEGO B.44

Dla pacjentów chorych na astmę ciężką leczenie biologiczne jest często jedyną szansą na poprawę jakości życia oraz złagodzenie objawów choroby. Korzyści z leczenia biologicznego wśród polskich pacjentów z ciężką astmą potwierdzają opublikowane badania obserwacyjne [5,6].

Wyniki badania obserwacyjnego przeprowadzonego wśród pacjentów leczonych omalizumabem (OMA) w ramach programu lekowego w SPZOZ Uniwersyteckim Szpitalu Klinicznym nr 1 im. Norberta Barlickiego w Łodzi w okresie od 4 kwietnia 2013 roku do 6 kwietnia 2014 roku wykazały skuteczność stosowania OMA. W badaniu uczestniczyło 53 pacjentów (23 nowych pacjentów i 30 pacjentów kontynuujących terapię OMA), stan ich zdrowia monitorowano w momencie rozpoczęcia badania oraz po 16 tygodniach leczenia. U wszystkich pacjentów otrzymujących po raz pierwszy terapię OMA przez co najmniej 16 tygodni zaobserwowano zmniejszenie częstości występowania zaostrzeń astmy, a także 94% z nich wykazało dobrą oraz 6% doskonałą odpowiedź na leczenie. Należy również podkreślić, że u 88% pacjentów zmniejszono dawkę glikokortykosteroidów doustnych (OCS) co najmniej o 5 mg/dzień oraz poprawiły się wyniki w zakresie jakości życia: poprawa w kwestionariuszach ACQ¹ i AQLQ² odpowiednio o 1,13 punktu u 94% pacjentów oraz 1,15 punktu u 88% pacjentów. Czternastu pacjentów przerwało terapię OMA, u 79% z nich nastąpiło pogorszenie kontroli i ciężkich zaostrzeń. [5]

Skuteczność terapii OMA potwierdzają również wyniki długoterminowego badania retrospektywnego przeprowadzonego wśród 854 pacjentów leczonych w 50 ośrodkach w Polsce w okresie od marca 2013 roku do maja 2019 roku [6]. W badaniu leczenie OMA było skuteczne u większości pacjentów (84% w 16. tygodniu i 91% w 52. tygodniu), co jest zgodne z wynikami innego badania [7]. Osiągnięto również znaczną poprawę jakości życia i kontroli astmy. W 4-letnim okresie obserwacji odnotowano systematyczny wzrost wartości mini AQLQ. Największą poprawę średnio o 1,3 punktu zaobserwowano w 16. tygodniu, następnie wskaźnik ten stopniowo wzrastał i utrzymał się do 4. roku leczenia (o 2,1 punktu od wartości wyjściowej). Największą poprawę wyników ACQ zaobserwowano w 16. tygodniu (średnio o 1,2 punktu). Od 52. tygodnia, wartość ta pozostawała stała (wyjściowa wartość ACQ-7= 3,8 oraz wartość w 4. roku ACQ-7 = 2,1, czyli zmiana o 1,7 punktu). W czasie terapii biologicznej istotnie zmniejszyła się dawka OCS, a pod koniec badania redukcja dawki wynosiła 75% (średnio o 8,1 mg/dzień po 4. latach). W badaniu również wykazano, iż stosowanie OMA wiąże się ze znaczącą poprawą w zakresie czynności płuc i liczby zaostrzeń. [6]

¹ ACQ - Kwestionariusz do oceny kontroli objawów astmy (ang. *Asthma Control Questionnaire*)

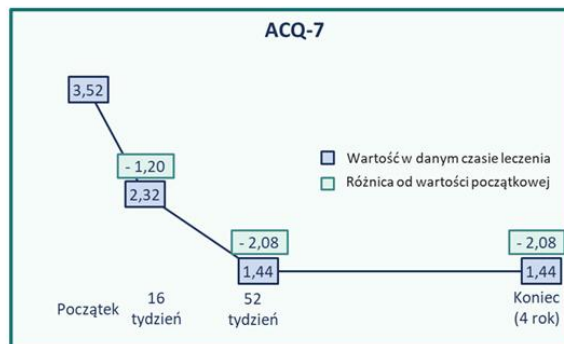
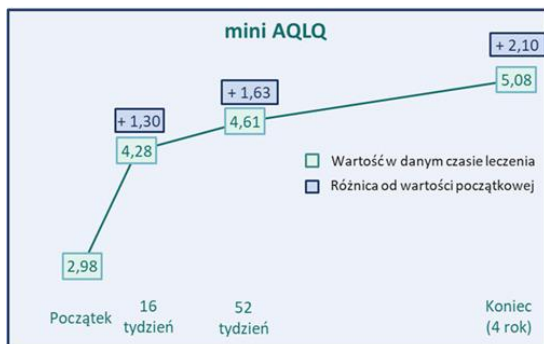
² AQLQ - Kwestionariusz do oceny jakości życia pacjentów z astmą (ang. *Asthma Quality of Life Questionnaire*)

Wyniki badania skuteczności terapii OMA

Badanie retrospektywne przeprowadzone wśród 854 pacjentów w 50 ośrodkach w Polsce



- Skuteczność leczenia OMA stwierdzono u 84% pacjentów w 16 tyg. leczenia i u 91% w 52. tyg. leczenia.
- Leczenie OMA poprawiło jakość życia pacjentów (wg mini AQLQ) oraz zmniejszyło ostrość objawów (wg ACQ-7).
- W przypadku OCS wykazano redukcję dawki o 75%.



Głównym wynikiem zastosowania terapii biologicznej jest zmniejszenie objawów astmy oraz poprawa jakości życia pacjentów. W przypadku chorych leczonych OCS zmniejsza się istotnie ilość leku, koniecznego do kontrolowania choroby. Często pacjenci przestają stosować sterydy doustne, co znacznie poprawia ich stan zdrowia i zmniejsza liczbę powikłań. Poprawiają się również parametry czynnościowe płuc. [5,6]

Rozdział 4.

POPULACJA PACJENTÓW Z CIĘŻKĄ POSTACIĄ ASTMY W POLSCE

DOSTĘPNOŚĆ DO LECZENIA W PROGRAMIE B.44

Dostępność do innowacyjnych leków w populacji chorych na ciężką astmę jest niewystarczająca. Liczba pacjentów w programie lekowym B.44 w 2021 r. wynosiła 1 829, a w 2022 – 2 507, podczas gdy liczba osób w Polsce z ciężką, niekontrolowaną postacią astmy spełniających kryteria kwalifikacji do zastosowania terapii biologicznych szacowana jest od około 32 tys. do 38 tys. Zatem można przyjąć, że od 29,5 tys. do 35,4 tys. chorych w Polsce może nie otrzymać właściwego leczenia, co pokazuje jak wiele osób ma niezaspokojone dotąd potrzeby zdrowotne.

DOSTĘPNOŚĆ DO LECZENIA – PRZYCZYNY

Przykłady innych krajów europejskich, takich jak np. Włochy, Wielka Brytania (70% pacjentów objętych leczeniem biologicznym) czy Francja (30%) wskazują, że istnieje potencjał na zwiększenie dostępności do leczenia biologicznego w Polsce (ok. 7%). Wśród przyczyn stosunkowo niewielkiej dostępności leków w Polsce można wyróżnić wiele okoliczności:

- Trudności z rozpoznaniem ciężkiej postaci astmy i postawieniem właściwej diagnozy, ze względu na występujące u pacjentów choroby współistniejące czy heterogeniczność fenotypów astmy.
- Potencjalne trudności we wstępnej kwalifikacji pacjenta do włączenia do programu lekowego ciężkiej postaci astmy wynikające ze złożonych kryteriów kwalifikacji.
- Niedostateczna wiedza o istnieniu terapii biologicznej w leczeniu astmy.
- Lęk przed nową formą leczenia i potencjalnymi działaniami niepożądanymi.
- Ograniczona liczba personelu medycznego.
- Niewystarczające działania rozpowszechniające informacje na temat leczenia biologicznego astmy ciężkiej wśród lekarzy oraz pacjentów.

Ocenia się, że w Polsce 5% populacji choruje na astmę [8, 9], przy czym aż u około 70% chorych nie jest prawidłowo rozpoznana [10]. Szacuje się zatem, że w 2022 roku na astmę chorowało blisko 1,97 mln mieszkańców Polski [9]. Wśród chorych jedynie połowa pacjentów (1,02 mln) otrzymała świadczenie z rozpoznaniem głównym astmy, które było sprawozdane do NFZ [9]. Najbardziej obciążoną grupą są pacjenci z ciężką postacią choroby, która stanowi od 3 do 10% chorych na astmę [12]. Pacjenci, którzy cierpią z powodu ciężkiej, niekontrolowanej astmy, obarczeni są wysokim ryzykiem zaostrzeń, hospitalizacji a nawet śmierci. Częstość występowania ciężkiej astmy wśród ogółu chorych na astmę różni się między badaniami i krajami, przede wszystkim z powodu rozbieżności w przyjętej definicji ciężkiej niekontrolowanej astmy.

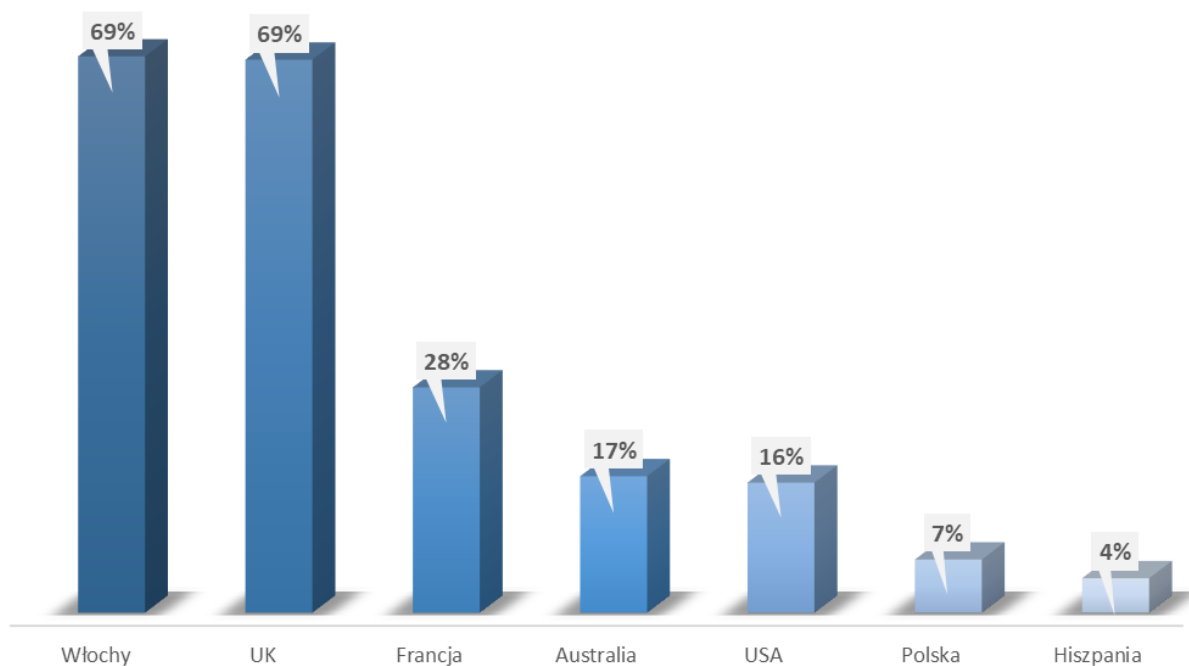
Rysunek 2. Populacja z astmą w Polsce



W krajach Unii Europejskiej (w tym i w Polsce) we wskazaniu leczenia ciężkiej postaci astmy zarejestrowano następujące leki biologiczne: omalizumab, mepolizumab, reslizumab, benralizumab, dupilumab i tezepelumab. Obecnie reslizumab oraz tezepelumab nie są refundowane w Polsce w ramach programu lekowego B.44: „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD - 10: J45, J82)”. Pomimo faktu, że refundacja leków biologicznych w leczeniu astmy rozpoczęła się w naszym kraju w listopadzie 2012 roku i na przestrzeni lat podjęto szereg działań w celu dostosowania zapisów programu lekowego [10], jednak wskazane byłoby prowadzenie dalszych aktywności celem zwiększenia dostępności do nowoczesnego leczenia astmy w Polsce. Według danych opublikowanych przez NFZ liczba pacjentów w programie lekowym B.44 w 2021 r. wynosiła 1 829, a w 2022 – 2 507 [2], podczas gdy liczba osób w Polsce z ciężką, niekontrolowaną postacią astmy spełniających kryteria potencjalnej kwalifikacji do zastosowania terapii biologicznych szacowana jest w przedziale od około 32 tys. (opinia eksperta) [9,11] do 38 tys. (oszacowane w oparciu o liczbę pacjentów, którym udzielono świadczenia z rozpoznaniem głównym astmy i rozpowszechnienie choroby) [12,9]. To pokazuje jak wiele osób ma niezaspokojone dotąd potrzeby zdrowotne i mogłoby skorzystać z leczenia biologicznego, co z dużym prawdopodobieństwem pozwoliłoby odciążyć system ochrony zdrowia w innych obszarach. -

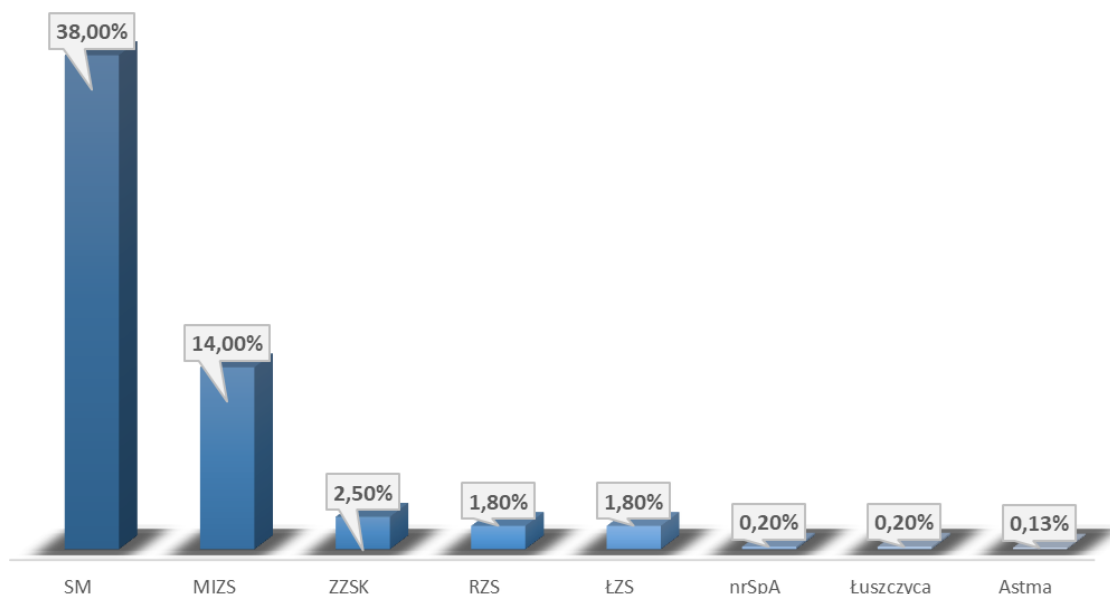
Jeżeli porównamy Polskę do innych krajów takich jak Włochy, Wielka Brytania, Francja, Australia i Stany Zjednoczone, gdzie pacjenci z ciężką, niekontrolowaną astmą mają znacznie lepszy dostęp do innowacyjnych leków, możemy stwierdzić, że poziom dostępności leczenia biologicznego dla pacjentów w naszym kraju ma niezwykle potencjał do rozwoju [13,14,15,16]. (Wykres 1)

Wykres 1. Odsetek pacjentów otrzymujących leczenie biologiczne wśród osób z ciężką niekontrolowaną astmą



Wydaje się również, że dostępność do leczenia biologicznego dla pacjentów z ciężką astmą w Polsce jest na niższym poziomie niż u pacjentów z chorobami autoimmunologicznymi otrzymującymi terapię biologiczną w ramach programów lekowych. Zgodnie z danymi z raportu *Dostępność terapii i świadczeń w programach lekowych w chorobach autoimmunologicznych* [17] leczenie biologiczne w Polsce w 2020 roku otrzymało ok. 38% pacjentów ze stwardnieniem rozsianym, ok. 1,8% pacjentów z reumatoidalnym zapaleniem stawów, ok. 14% pacjentów z młodzieńczym idiopatycznym zapaleniem stawów, ok. 2,5% pacjentów ze zeszywniającym zapaleniem stawów kręgosłupa, ok. 1,8% pacjentów z łuszczycowym zapaleniem stawów, ok. 0,2% pacjentów z aktywną postacią spondyloartropatii oraz 0,2% chorych z łuszczycą (1% chorych z postacią umiarkowaną do ciężkiej łuszczycy) [17]. Natomiast przyjmując, że w Polsce jest 1,97 mln osób z astmą dostęp do leczenia biologicznego w 2022 roku miało jedynie 0,13% pacjentów, co daje zaledwie 6 pacjentów na 5 000 chorych w Polsce (a 7% populacji z astmą ciężką). (Wykres 2)

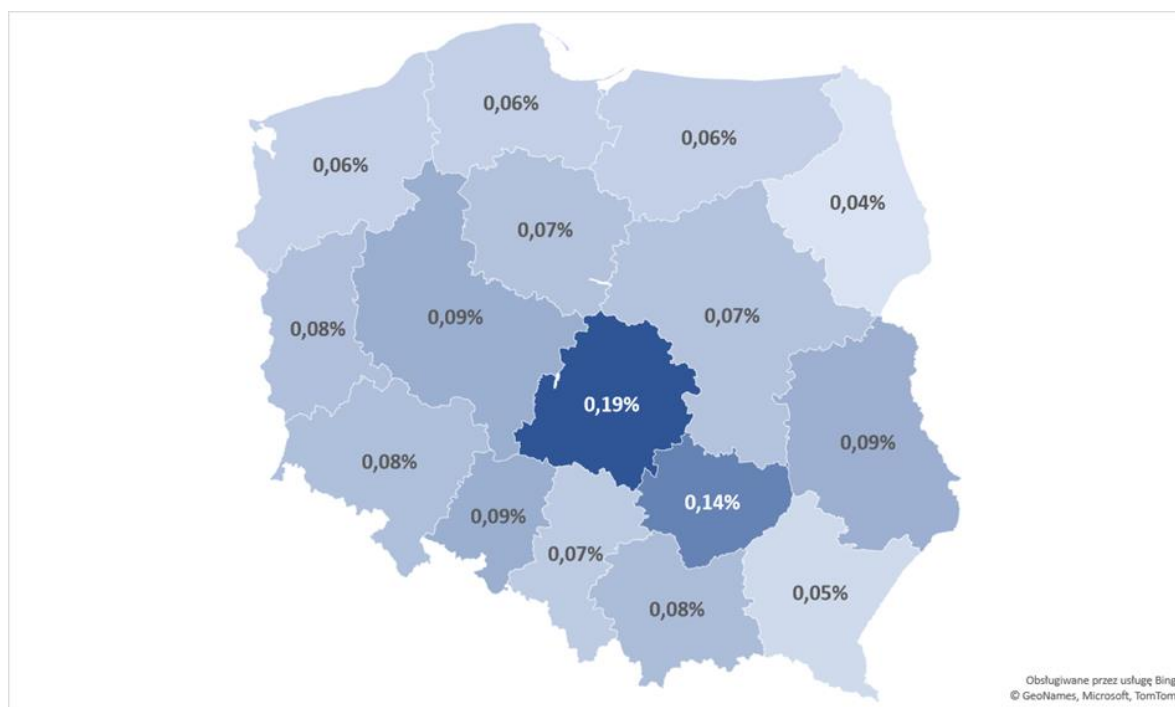
Wykres 2. Dostępność leczenia biologicznego w Polsce



SM – stwardnienie rozsiane, MIZS - młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów, ZZSK - zeszytniające zapalenie stawów kręgosłupa, RZS - reumatoidalne zapalenie stawów, ŁZS - łuszczycowe zapalenie stawów, nrSpA - aktywna postać spondyloartropatii

Udział pacjentów leczonych w PL B.44 w stosunku do populacji chorych z astmą, jest zróżnicowany geograficznie. W województwie łódzkim jest najwięcej leczonych pacjentów w stosunku do populacji z astmą, natomiast relatywnie najmniej leczonych jest pacjentów w województwach podkarpackim oraz podlaskim. Prawdopodobnie jedną z przyczyn różnic między poszczególnymi województwami jest zbyt niska rozpoznawalność astmy ciężkiej. Kolejną z przyczyn może być również niedostateczna liczba specjalistycznych palcówek w niektórych regionach Polski. Ekspert podkreślają, iż zgodnie z wytycznymi GINA pacjenci z ciężką postacią astmy powinni być kierowani do środków specjalistycznych, posiadających specjalistyczny sprzęt oraz doświadczenie w leczeniu terapią biologiczną [18,19]. Wymaga tego także pogłębiona diagnostyka, która zgodnie z zapisem programu lekowego B.44, jest niezbędna przy doborze właściwego leku, zależnego od fenotypu choroby [18]. Należy również zaznaczyć, że pacjenci, u których astma nie jest dobrze kontrolowana, pomimo stosowania optymalnego leczenia, mogą mieć zaostrzenia, dlatego kierując tych pacjentów do specjalistycznych ośrodków zapewniamy im odpowiednie postępowanie, skuteczne leczenie i lepszą jakość życia. [20].

Rysunek 3. Udział leczonych pacjentów w PL B.44 w stosunku do ogółu pacjentów z astmą



Niniejsza analiza wskazuje, że pomimo iż program lekowy B.44 istnieje od ponad 10 lat, wciąż znaczna liczba chorych potencjalnie spełniających kryteria kwalifikacji do programu, nie jest do niego włączana. Różnice między województwami w udziale chorych w programie lekowym w porównaniu do populacji z astmą, wskazują między innymi na problemy związane z diagnozowaniem astmy i świadomości pacjentów oraz lekarzy kierujących chorych do ośrodków prowadzących program lekowy. Dużo niższy odsetek osób otrzymujących leczenie biologiczne w porównaniu do części krajów europejskich pokazuje, że należy dążyć do wdrożenia kolejnych zmian, których celem będzie większa dostępność do terapii biologicznej dla polskich pacjentów. Wdrożenie rozwiązań na poziomie krajowym, na przykład systemów informatycznych, które będą wsparciem w codziennej praktyce klinicznej, tj. pozwolą zarządzać chorobą zgodnie z aktualnymi wytycznymi GINA, a także zwiększenie wiedzy na temat terapii biologicznej u chorych oraz lekarzy, przyczyni się do zwiększenia wielkości populacji otrzymującej leki biologiczne.

Rozdział 5.

KRYTERIA REFUNDACJI LEKÓW BIOLOGICZNYCH W CIĘŻKIEJ ASTMIE

KRYTERIA KWALIFIKACJI – OGRANICZENIA

W Polsce możliwość leczenia biologicznego pacjentów chorych na ciężką astmę jest regulowana poprzez zapisy programu lekowego. Niestety, część z nich jest węższa niż przedmiotowe wytyczne kliniczne oraz nie obejmuje wszystkich wskazań ujętych w ChPL. Zdaniem ekspertów, zamiana niektórych kryteriów kwalifikacji do programu lekowego B.44 oraz refundacja nowych leków, wpłynęłaby pozytywnie na poszerzenie dostępności do leczenia biologicznego w Polsce.

POPULACJE WYŁĄCZONE Z MOŻLIWOŚCI LECZENIA

Obecnie w Polsce, w momencie zajścia w ciążę, pacjentka przerywa leczenie terapią biologiczną. Dopiero po porodzie i po okresie karmienia piersią lekarz może zdecydować o ponownym rozpoczęciu podawania leku w przypadku istotnego pogorszenia kontroli choroby. Z jednej strony zapis ten jest zrozumiały, ponieważ nie ma badań klinicznych oceniających efektywność i bezpieczeństwo leków biologicznych u kobiet w ciąży. Z drugiej jednak strony prowadzone są rejestry, w ramach których gromadzone informacje dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa tych terapii u ciężarnych kobiet wskazują, że stosowanie omalizumabu nie wykazało zwiększonego ryzyka wad wrodzonych, wcześniactwa czy niskiej masy urodzeniowej. Wytyczne kliniczne rekomendują także kontynuację leczenia biologicznego w sytuacji, kiedy pacjentka otrzymywała leczenie biologiczne przed zajściem w ciążę.

Leki biologiczne u pacjentów z ciężką, niekontrolowaną astmą są terapiami o udowodnionej skuteczności, wyrażającą się poprawą kontroli choroby i jakości życia pacjentów. W badaniach klinicznych obserwowano zmniejszenie konieczności stosowania leków ratunkowych oraz doustnych i wziewnych glikokortykosteroidów, a także istotne zmniejszenie ryzyka wystąpienia zaostrzeń choroby u chorych na ciężką astmę. Ponadto, badania typu real-life potwierdziły skuteczność terapii biologicznej w astmie ciężkiej w warunkach codziennej praktyki klinicznej [21].

Programy Lekowe (PL) to gwarantowane, czyli bezpłatne dla pacjentów, świadczenia zdrowotne, dzięki którym miał drastycznie podnieść się dostęp polskich pacjentów do nowych i innowacyjnych terapii lekowych. W swojej konstrukcji zawierają wymóg, aby pacjenci do nich włączani, spełniali szczegółowe kryteria umożliwiające im otrzymanie odpowiedniego leczenia. Jest to zrozumiałe, bo leczenie w ramach programu odbywa się z zastosowaniem innowacyjnych, kosztownych substancji czynnych, które nie są finansowane w ramach innych świadczeń gwarantowanych. Z drugiej strony, kryteria kwalifikacji do programów lekowych często zawierają dodatkowe (bardziej restrykcyjne) wymogi w porównaniu z rekomendacjami towarzystw naukowych i charakterystykami produktów leczniczych,

przez co liczba pacjentów korzystających z terapii bywa zbyt ograniczona, co widać szczególnie na przykładzie programu leczenia astmy w Polsce.

KRYTERIA KWALIFIKACJI PACJENTÓW DO PROGRAMU LEKOWEGO ORAZ POSTULOWANE ZMIANY

W Polsce możliwość leczenia biologicznego pacjentów chorych na ciężką astmę jest określona poprzez zapisy programu lekowego. Niestety wytyczne kliniczne rekomendują zastosowanie leczenia biologicznego w szerszej grupie pacjentów niż kryteria kwalifikacji określone w programie B.44. Dodatkowo kryteria te nie obejmują wszystkich wskazań ujętych w ChPL [22]. Ponadto nie wszystkie leki, które są zarejestrowane w leczeniu ciężkiej astmy w Polsce, są dostępne w ramach programu lekowego.

Z uwagi na rygorystyczne kryteria kwalifikacji w programie lekowym, eksperci specjalizujący się w dziedzinach alergologii i pulmonologii postulują za zmianą kryteriów kwalifikacji, tak aby większa liczba pacjentów mogła skorzystać z leczenia biologicznego w Polsce:

- **Zmniejszenie wymogu dotyczącego liczby epizodów zaostrzeń w roku** wymagających stosowania systemowych glikokortykosteroidów, co również poprawiłoby dostępność pacjentów do terapii biologicznej. Obecnie wymagane jest wystąpienie co najmniej dwóch epizodów zaostrzeń w roku. Na podstawie badania pacjentów leczonych terapią biologiczną w łódzkim ośrodku wynika, że pomimo mniejszej liczby eozynofili we krwi i lepszych parametrów spirometrycznych w grupie pacjentów niezakwalifikowanych w stosunku do zakwalifikowanych do programu nie stwierdzono istotnych różnic w liczbie zaostrzeń, schemacie leczenia astmy, jakości życia czy kontroli astmy, co świadczy o tym, że pacjenci niekwalifikujący się do programu wymagają specjalistycznej opieki i nieustannych wysiłków w celu ustalenia leczenia alternatywnego [23].
- **Refundacja leków o odmiennym mechanizmie działania** poprawiłaby dostępność do leczenia biologicznego w Polsce [wywiad z ekspertem]. We wrześniu w 2022 roku w Unii Europejskiej został zarejestrowany nowy lek tezepelumab w leczeniu ciężkiej astmy, niedostatecznie kontrolowanej pomimo stosowania dużych dawek wziewnych kortykosteroidów w skojarzeniu z innym produktem leczniczym stosowanym w leczeniu podtrzymującym. Tezepelumab blokuje limfopoetynę zrębu grasicy (TSLP), przez co powoduje zmniejszenie stężenia wielu biomarkerów i cytokin związanych ze stanem zapalnym dróg oddechowych (np. eozynofile we krwi, eozynofile w błonie podśluzowej dróg oddechowych, IgE, FeNO, IL-5 i IL-13). Ten szeroki mechanizm działania odróżnia tezepelumab od większości stosowanych w leczeniu astmy leków biologicznych, które są bardziej ukierunkowane: mepolizumab oraz reslizumab są przeciwciałami skierowanymi przeciw receptorowi dla IL-5, bernalizumab przeciwko receptorowi IL-R5 (łańcuchowi α IL5R), dupilumab przeciwko receptorowi dla IL-4 i IL-13 (łańcuchowi α IL4R), natomiast omalizumab łączy się z IgE, pochłania wolną immunoglobulinę E, która jest obecna we krwi.
- **Możliwość kontynuacji leczenia biologicznego w wybranych przypadkach u kobiet w ciąży.** [11]
Obawa o zdrowie płodu dotyczy stosowania większości leków przez kobiety w ciąży. Natomiast zaostrzenia choroby są bardziej powszechne w trakcie trwania ciąży i dodatkowo słabo kontrolowana astma może zwiększać ryzyko przedwczesnego porodu, niskiej masy urodzeniowej dziecka oraz pojawienia się stanu przedcukrzycowego. Efektywność i bezpieczeństwo leków biologicznych: benralizumabu, mepolizumabu i dupilumabu nie była badana u kobiet w ciąży, jednak dla terapii benralizumabem i mepolizumabem prowadzone są rejestry, w ramach których gromadzone są informacje dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa tych terapii u ciężarnych

kobiet. Obserwacyjne badanie EXPECT dotyczące 250 kobiet w ciąży, które stosowały omalizumab, nie wykazało zwiększonego ryzyka wad wrodzonych, wcześniactwa, niskiej masy urodzeniowej. Mimo ograniczonych danych dotyczących stosowania terapii biologicznej podczas ciąży, w wytycznych dotyczących podawania leków biologicznych w przypadku ciężkiej astmy [24], rekomenduje się poczekać z leczeniem biologicznym do momentu zakończenia ciąży, jeśli pacjentka jest we wczesnym etapie ciąży i nie rozpoczęła leczenia biologicznego. W przeciwnym razie, kiedy pacjentka otrzymywała już leczenie biologiczne, zaleca się kontynuację tego leczenia przez cały okres ciąży. Najnowsze globalne wytyczne postępowania w astmie, zalecają, aby kobiety w ciąży były poinformowane o tym, że potencjalne ryzyko związane z leczeniem biologicznym stosowanym w trakcie ciąży powinno być zrównoważone ryzykiem pogorszenia stanu ich zdrowia lub dziecka spowodowanego ciężką postacią astmy [12]. W niektórych programach lekowych istnieje furta dla kobiet w ciąży – dalsze stosowanie leku w trakcie ciąży pozostaje do decyzji lekarza prowadzącego, który może podjąć decyzję o kontynuacji leczenia w przypadkach, gdy przerwanie leczenia będzie nieść ze sobą wyższe ryzyko działań niekorzystnych, niż kontynuacja leczenia. Takie rozwiązanie mogłoby być dobrym rozwiązaniem w przypadku programu B.44, gdyż zabezpiecza potrzeby kobiet w trakcie trwania ciąży i karmienia piersią.

- Uwzględnienie możliwości **leczenia ciężkiej astmy eozynofilowej u dzieci** w ramach programu lekowego B.44. [11], co jest zgodne z zapisami ChPL produktu Nucala (mepolizumab). Produkt Nucala wskazany jest w leczeniu uzupełniającym u dorosłych, młodzieży i dzieci w wieku 6 lat i starszych z ciężką, oporną na leczenie astmą eozynofilową [22]. Niestety w ramach programu lekowego B.44 terapię mepolizumabem mogą otrzymać jedynie dorośli. Podobna sytuacja ma miejsce w przypadku preparatu Dupixent (dupilumabu), który zgodnie z zapisami ChPL jest zalecany w populacji dorosłych i młodzieży od 12 roku życia, a także w populacji dzieci od 6 do 11 lat z ciężką astmą z zapaleniem typu 2.
- „Pacjenci i lekarze oczekują kolejnych zmian w programie lekowym B.44, w tym uwzględnienia dalszego leczenia ciężkiej astmy eozynofilowej u dzieci”
– dr n. med. Kucharczyk [11]*
- Jednym z przeciwwskazań do stosowania terapii biologicznej jest stosowanie innego leku biologicznego przyjmowanego w leczeniu astmy w okresie do 2 miesięcy (na początku czas ten wynosił 6 miesięcy, a następnie 3 miesiące). Eksperci postulują za **całkowitym zniesieniem czasu pomiędzy zakończeniem jednej terapii biologicznej, a rozpoczęciem drugiej.** [25]

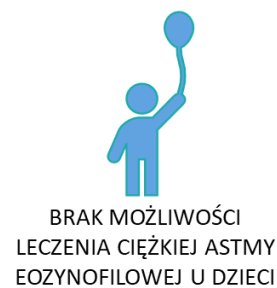
DOSTĘP DO TERAPII BIOLOGICZNYCH DLA CIĘŻKIEJ ASTMY W POLSCE W PORÓWNANIU DO INNYCH KRAJÓW EUROPEJSKICH

Należy również podkreślić, że zgodnie z wynikami ankiety przeprowadzonej przez Europejskie Towarzystwo Chorób Płuc (ang. *European Respiratory Society*, ERS) SHARP (ang. *Severe Heterogeneous Asthma Research collaboration, Patient-centered*) wśród 263 ekspertów z 28 krajów europejskich, część kryteriów kwalifikacji do terapii biologicznej w Polsce jest bardziej rygorystyczna w porównaniu do pozostałych państw [26]:

- **Brak refundacji reslizumabu w Polsce.** Zgodnie z wynikami ankiety przeprowadzonej przez ERS SHARP dostępność do leków biologicznych różniła się w zależności od kraju, przy czym 17 na 28 państw refundowało wszystkie pięć zarejestrowanych leków (dane z kwietnia 2021 roku). W Polsce w programie lekowym B.44 obecnie refundowane są cztery leki (omalizumab, mepolizumab, benralizumab i dupilumab), natomiast reslizumab nie jest refundowany. W większości państw biorących udział w ankiecie (22 na 28) reslizumab jest refundowany. W 2018 roku złożono wniosek o refundację produktu Cinqaero (reslizumab) w leczeniu ciężkiej astmy eozynofilowej u dorosłych. Prezes Agencji zarekomendował refundację leku, pod warunkiem obniżenia kosztów stosowania leku [27], pomimo tego preparat nadal nie jest refundowany dla polskich pacjentów.
- Zgodnie z wynikami ankiety przeprowadzonej przez ERS SHARP **jedynie 3 na 28 krajów (w tym Polska) nie włączało do leczenia biologicznego pacjentów palących tytoń.** W badaniach klinicznych dotyczących ciężkiej astmy wykluczano pacjentów palących tytoń, czasami również byłych palaczy, co może skutkować tym, że w niektórych krajach stosuje się ograniczenie związane z paleniem tytoniu. Choć nie ma randomizowanych badań obejmujących palaczy, ostatnie prace skupiające się na pacjentach, którzy byli palaczami pokazują, że historia palenia nie wyklucza skuteczności terapii anty-IL-5 / anty-IL-R5 w odniesieniu do zaostrzeń i kontroli astmy. Ponadto, ostatnie badania typu real-life wykazały, że terapia anty-IL-5 jest w stanie załagodzić pogorszenie czynności płuc u osób z ciężką, eozynofilową astmą, niezależnie od statusu palenia.

„Wprowadzenie mniej rygorystycznych kryteriów kwalifikacji do programu lekowego oraz refundacja nowych leków o odmiennym mechanizmie działania w porównaniu do obecnie finansowanych, poprawiłaby dostępność do leczenia biologicznego w Polsce”
 – Ekspert z ośrodka biorącego udział w badaniu

Rysunek 4. Bariery dotyczące kryteriów kwalifikacji do PL B.44 w Polsce



Znacznie zawężone kryteria kwalifikacji do programów lekowych, z dużym prawdopodobieństwem przyczyniają się do ograniczonej liczby pacjentów korzystających z terapii, co widać szczególnie na przykładzie programu leczenia astmy w Polsce. Wprowadzenie większej elastyczności w zapisach programu lekowego w uzasadnionych przypadkach pozwoliłoby pacjentom otrzymać leczenie biologiczne wpływające na znaczącą poprawę jakości ich życia.

Rozdział 6.

REALIZACJA PROGRAMÓW LEKOWYCH W POLSCE – BARIERY EKONOMICZNE I ORGANIZACYJNE

BARIERY EKONOMICZNE

Do głównych barier ekonomicznych należy zaliczyć:

- zaniżoną wycenę świadczeń, przez co programy lekowe mogą narazić podmioty lecznicze na straty ekonomiczne [28,29,30]
- brak zmiany wyceny punktowej świadczeń związanych z realizacją programów – od października 2017 r. [4]
- NFZ nie może wydać większych pieniędzy niż są zaplanowane w budżetach refundacyjnych [31]

BARIERY ORGANIZACYJNE PROGRAMU LEKOWEGO I SYSTEMU REFUNDACJI LEKÓW

Bariery organizacyjne programu lekowego i systemu refundacji leków, które utrudniają realizację programów oraz w szczególnych przypadkach wpływają na jego opłacalność:

- brak zgody NFZ na wprowadzenie innego leku w sytuacji okresowej niedostępności leków [29]
- zmiana cen leków w poszczególnych obwieszczeniach MZ [29]
- limity finansowania programów lekowych (świadczenia w programie lekowym podlegają limitowaniu) [32]
- konieczność uzupełniania czasochłonnego SMPT, pod rygorem blokady finansowania leczenia co powoduje znaczne zaangażowanie personelu [29,33]
- brak zapewnienia w budżecie NFZ odpowiednich środków na finansowanie programów lekowych (zawieranie umów na symboliczne kwoty, lub poniżej kosztu jednego podania leku) [32]
- finansowanie „nadwykonań” z dużym opóźnieniem [29]
- finansowanie jedynie podanej/wydanej pacjentowi część leku [32]
- brak finansowania odpowiedniego transportu, przechowywania i utylizacji leków [32]
- tworzenie kolejki do badań kwalifikujących do programu, tworzenie kolejek do samego leczenia lub nawet nieumieszczanie pacjentów na listach oczekujących [32]
- przyjmowanie pacjentów w ramach hospitalizacji dla świadczeń, które mogłyby być zrealizowane w trybie ambulatoryjnym [17]
- przeprowadzanie przez NFZ konkursów na programy lekowe [34]
- aktualizacja zarządzeń Prezesa NFZ z dużym opóźnieniem [34]

Szeroką grupę przeszkód w realizacji programów stanowią bariery organizacyjne a przede wszystkim zasady systemu refundacji leków. Właśnie te bariery mogą wpływać na problemy finansowe

podmiotów leczniczych i sprawiać, że programy lekowe nie są uznawane z finansowego punktu widzenia za atrakcyjne do realizacji świadczenie.

Najczęściej powtarzającymi się w rozmowach z ekspertami barierami ograniczającymi skuteczność w realizacji programów lekowych jest zaniżona wycena świadczeń towarzyszących wykonaniu programu, podczas gdy realny przychód podmiotów medycznych generuje właśnie obsługa programu, ponieważ leki są finansowane w wysokości równej wydatkom na nie. Wycena punktowa świadczeń takich jak: hospitalizacja, hospitalizacja jednego dnia, wizyta trybie ambulatoryjnym i badania diagnostyczne nie zmieniła się od października 2017 roku, a cena punktu wzrosła dopiero w kwietniu 2022 r. Według ekspertów realizacja programów lekowych mogą generować straty ekonomiczne dla szpitali, jedynie duże jednostki mogą pozwolić sobie na realizację tej nierentownej grupy świadczeń, robiąc to kosztem przychodów uzyskiwanych z innych źródeł.

Pomimo faktu, iż tzw. „nadwykonania” mogą zostać sfinansowane przez NFZ, to zasady ich finansowania sprawiają, że czas, po którym placówki otrzymają zwrot kosztów może wynieść nawet do pół roku [35]. Tym samym podmioty lecznicze przez dłuższy okres nie otrzymują należnych im środków z tytułu leczenia pacjentów i zagrożone są utratą płynności finansowej [28].

Finasowanie leków odbywa się na podstawie wydanej bądź podanej pacjentowi części leku. Z jednej strony motywuje to świadczeniodawców do optymalnego zarządzania podażą leków, jednak z drugiej naraża szpital na straty z powodu ponoszenia kosztów niewykorzystanej części leku. Dodatkowo zwraca się uwagę, że wydatki związane z odpowiednim transportem, przechowywaniem i utylizacją leków mających zastosowanie w programach lekowych są finansowane ze środków własnych podmiotów leczniczych. [32]

Kwestia dotycząca czasu oczekiwania pomiędzy wprowadzeniem leku do programu a faktycznym otrzymaniem leku przez pacjenta została poruszona podczas konferencji pod tytułem „Programy lekowe – realna dostępność po decyzji refundacyjnej”, która miała miejsce w lipcu bieżącego roku. Wskazano na niej, że programy lekowe są szansą dla pacjenta na dostęp do innowacyjnych leków, jednakże istnieje wiele barier, które ten dostęp ograniczają [36]. W większości są one spowodowane wymaganiami związanymi z administracyjną obsługą programów lekowych, a więc całym procesem legislacyjnym i organizacyjnym poprzedzającym wprowadzenie nowego leku/programu oraz wymaganiami natury technicznej (sprzętowej). Obsługa funkcjonowania programu lekowego dodatkowo wiąże się z dużym zaangażowaniem personelu, zarówno po stronie świadczeniodawcy, jak też płatnika [37]. Chociaż lista leków refundowanych publikowana jest co dwa miesiące, to pojawienie się na niej leku w ramach nowego programu lekowego nie oznacza, że pacjent ma do niego realny dostęp. Zwykle trwa to średnio od trzech do nawet dziewięciu miesięcy, a powodem tak dużych opóźnień są: publikacje zarządzeń prezesa NFZ w sprawie określenia warunków i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programów lekowych nawet z 1,5 miesięcznym opóźnieniem, odległe terminy ogłaszania postępowań konkursowych na programy lekowe w wojewódzkich oddziałach NFZ, przedłużające się przygotowania techniczne, kontraktowanie świadczeń i proces zakupu leku przez świadczeniodawców [36].

Wydłużenie czasu oczekiwania na włączenie pacjentów do programu lekowego potęguje także fakt limitowania świadczeń związanych z wykonaniem programu, co sprawia, że u świadczeniodawców powstaje niechęć do włączania nowych pacjentów do programów lekowych. Efektem pewnych problemów w refundacji wydaje się być tworzenie „kolejki” do badań kwalifikujących do programu, do samego leczenia lub nawet nieumieszczanie pacjentów na listach oczekujących [32].

Kolejną barierą wydaje się być konieczność wprowadzania szczegółowych danych do Systemu Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMPT). Nie wdrożono jeszcze rozwiązań automatycznego przesyłania danych pomiędzy systemem placówki prowadzącej program a SMPT, co wiąże się z tym, że klinicyści zmuszeni są do ręcznego przenoszenia każdorazowo znacznej ilości danych. W związku z powyższym, eksperci postulują o uproszczenie SMPT, co nakłada konieczność doprecyzowania czy zaraportowane dane w tak szerokim zakresie są wykorzystywane, z których danych można by zrezygnować a pozostawić tylko te, które są kluczowe do określenia skuteczności leczenia w programie lekowym. [33]

Biorąc pod uwagę powyższe, w dostępie do programów lekowych pojawiają się opóźnienia, które znacznie wydłużają czas, w jakim pacjent mógłby otrzymać lek. W przełamaniu tych barier niezbędne są zmiany organizacyjne i legislacyjne wymagające zaangażowania środowisk medycznych oraz władzy ustawodawczej i wykonawczej.

Wydaje się, że wskazane bariery nie zachęcają świadczeniodawców do prowadzenia programów lekowych lub w znaczący sposób ograniczają włączanie nowych pacjentów do programów lekowych. Tym bardziej, że szacowane na etapie wniosków o refundację wielkości populacji potencjalnie kwalifikujących się do leczenia zazwyczaj znacznie przekraczają liczbę pacjentów realnie leczonych w programach lekowych. Z dużym prawdopodobieństwem można wskazać na konieczność wprowadzenia zmian w funkcjonowaniu programów lekowych aby w pełni mogły realizować przypisane im zadanie, tj. aby stanowiły odpowiedź na niezaspokojone dotąd potrzeby najbardziej potrzebujących chorych, co bezpośrednio wiąże się z koniecznością zwiększenia dostępności do nowoczesnych terapii. Dlatego tak ważnym elementem rozwoju funkcjonowania programów lekowych w Polsce wydaje się dalsza współpraca zaangażowanych w ten proces środowisk (towarzystw medycznych, organizacji pacjenckich, ekspertów medycznych, konsultantów krajowych i wojewódzkich) w celu wdrożenia zmian systemowych ukierunkowanych na ułatwienie dostępu chorych do leczenia poprzez wprowadzenie wielowymiarowych zmian prowadzących do usprawnienia działania placówek leczniczych.

Rozdział 7.

WYKONANIE PROGRAMU B.44- TRYB ŚWIADCZEŃ

HOSPITALIZACJA JEDNODNIOWA - PREFEROWANY TYP PODANIA?

Większość województw (ośrodków) preferuje podanie leku w warunkach szpitalnych (niemal wszystkie sprawozdawane tam świadczenia to hospitalizacje jednodniowe). Wynika to zapewne z faktu, iż do początku 2018 roku podanie leków w programie B.44 mogło odbywać się wyłącznie „w ramach hospitalizacji w oddziale alergologicznym lub pulmonologicznym, tylko przez lekarza specjalistę z zakresu alergologii lub pulmonologii, doświadczonego w rozpoznawaniu i leczeniu ciężkiej astmy alergicznej oraz leczeniu anafilaksji”. Aktualnie nie ma takiego wymogu, poza pierwszym podaniem, podczas którego pacjent powinien być obserwowany przez co najmniej 2 godziny a z uwagi na możliwą reakcję anafilaktyczną zabezpieczenie pacjenta w warunkach szpitalnych wydaje się być naturalnym trybem postępowania.

Można domniemywać, że hospitalizacja pacjenta przy podskórnej drodze podania leków refundowanych w ramach programów lekowych, w większości przypadków nie jest uzasadniona wyłącznie stanem zdrowia pacjenta, ale także względami ekonomicznymi.

PODANIE W WARUNKACH DOMOWYCH – NOWE MOŻLIWOŚCI

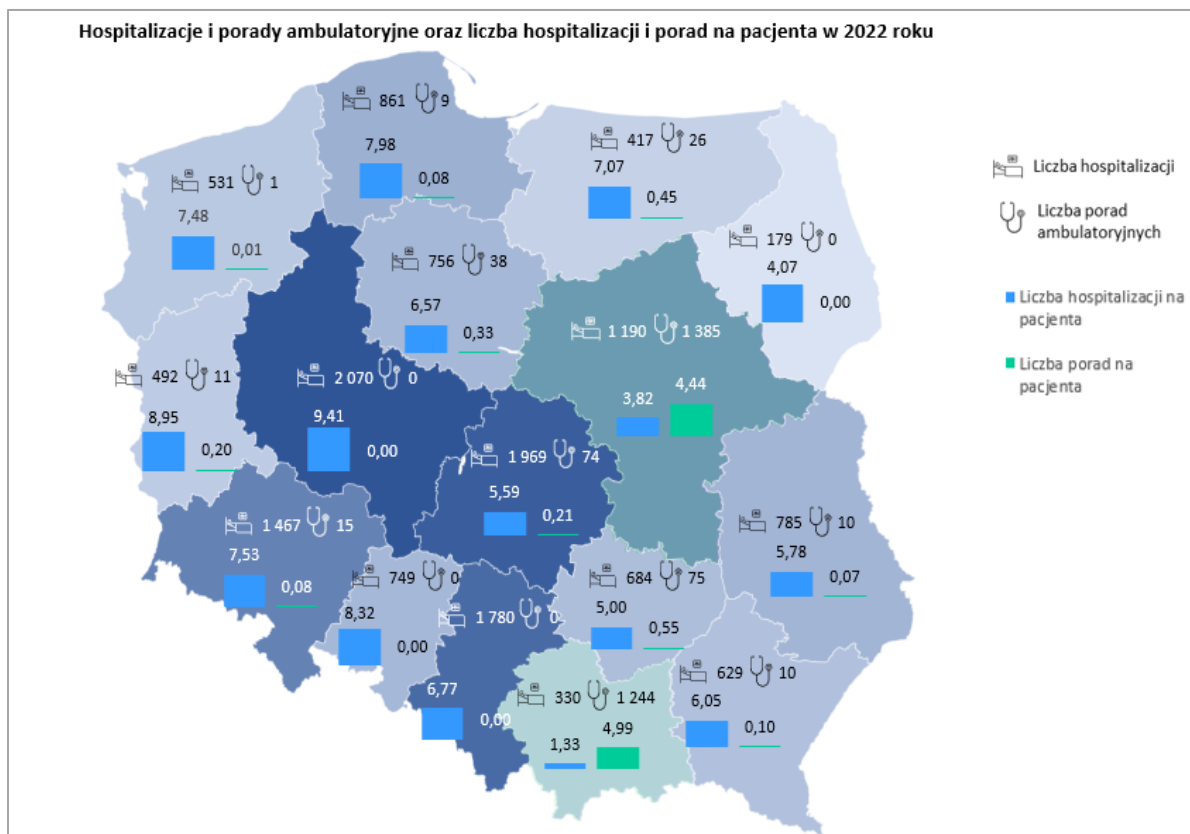
Pojawienie się pandemii SARS-CoV-2 przyspieszyło decyzję o umożliwieniu kontynuowania leczenia w warunkach domowych, jeżeli lekarz i pacjent uznają to za właściwe. Pacjent odbywa w szpitalu odpowiednie przeszkolenie w kierunku techniki podania leku, musi także prowadzić dziennik leczenia i przeszkolić się w kierunku rozpoznawania i reakcji, które należy podjąć w przypadku wystąpienia działań niepożądanych (w tym ciężkich reakcji alergicznych).

Pomimo zapisów w treści programu, obowiązujących od listopada 2020 r., o możliwości samodzielnego podania leków w warunkach domowych, większość podań nadal odbywa się stacjonarnie. Wydaje się zatem, że modyfikacja wyłącznie zapisów programu lekowego nie spowoduje zmiany wieloletniej praktyki ośrodków. Tym bardziej bez wdrożenia innych działań, w tym edukacyjnych dla lekarzy i pacjentów, a zwłaszcza finansowych zachęt dla ośrodków i personelu medycznego, mało prawdopodobna wydaje się rzeczywista zmiana podejścia do podania leków biologicznych w warunkach domowych.

Na podstawie analizy statystyk dotyczących udzielanych świadczeń w ramach programu lekowego w 2022 roku (Rysunek 5), można zauważyć, że w większości województw hospitalizacja jednodniowa była najczęściej raportowanym świadczeniem. Jest to interesujący fakt, biorąc pod uwagę, że leki objęte programem lekowym B.44 są podawane podskórnie, co sugeruje, że w większości przypadków leczenie mogłoby być przeprowadzane w trybie ambulatoryjnym. Wydaje się, że taki stan jest konsekwencją wymogu, podania leków biologicznych w leczeniu ciężkiej astmy jedynie w warunkach szpitalnych, jaki obowiązywał do końca lutego 2018 r. Przez kolejne 1,5 roku w ramach programu nie sformułowano

w jakim trybie ma się odbywać podanie leku a jedynie czas obserwacji po podaniu (minimum 2 godziny po pierwszym podaniu, i 30 minut po kolejnych, jeśli pierwsze było dobrze tolerowane). Powodowało to, że podanie nadal musiało odbywać się w ośrodku, jednak nie nakładało na ośrodki konieczności hospitalizacji chorego (Tabela 1). Mimo wszystko tryb podania sugerował jako najbardziej logiczną procedurę hospitalizację w trybie jednodniowym.

Rysunek 5. Tryb wykonywania świadczeń w ramach programu lekowego B.44



Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ [2]

Od listopada 2020 roku zmieniono zapisy programu lekowego, dopuszczając stosowanie leków w warunkach domowych [38]. To oznacza, że pacjenci mogą otrzymywać niektóre terapie w domu, co wpływa na dostępność i wygodę leczenia, a ośrodkom daje możliwość opieki nad większą liczbą pacjentów. Samodzielne podanie leku jest jednak obwarowane następującymi warunkami [39]:

- Pacjent odbywa w ośrodku minimum cztery wizyty w odstępach zgodnych z dawkowaniem leku, podczas których powinien zostać przeszkolony w zakresie podania leku (samodzielnego lub przez opiekuna prawnego). Edukacja podania leku w warunkach domowych powinna obejmować: techniki podania leku, prowadzenia dziennika leczenia oraz rozpoznawania działań niepożądanych (ciężkich reakcji alergicznych) i czynności, które należy podjąć w przypadku ich wystąpienia.
- Przy pierwszym podaniu obserwacja powinna wynosić co najmniej 2 godziny, a jeśli pierwsze podanie leku było dobrze tolerowane, to po trzech kolejnych podaniach w ośrodku wymagana jest 30-minutowa obserwacja.

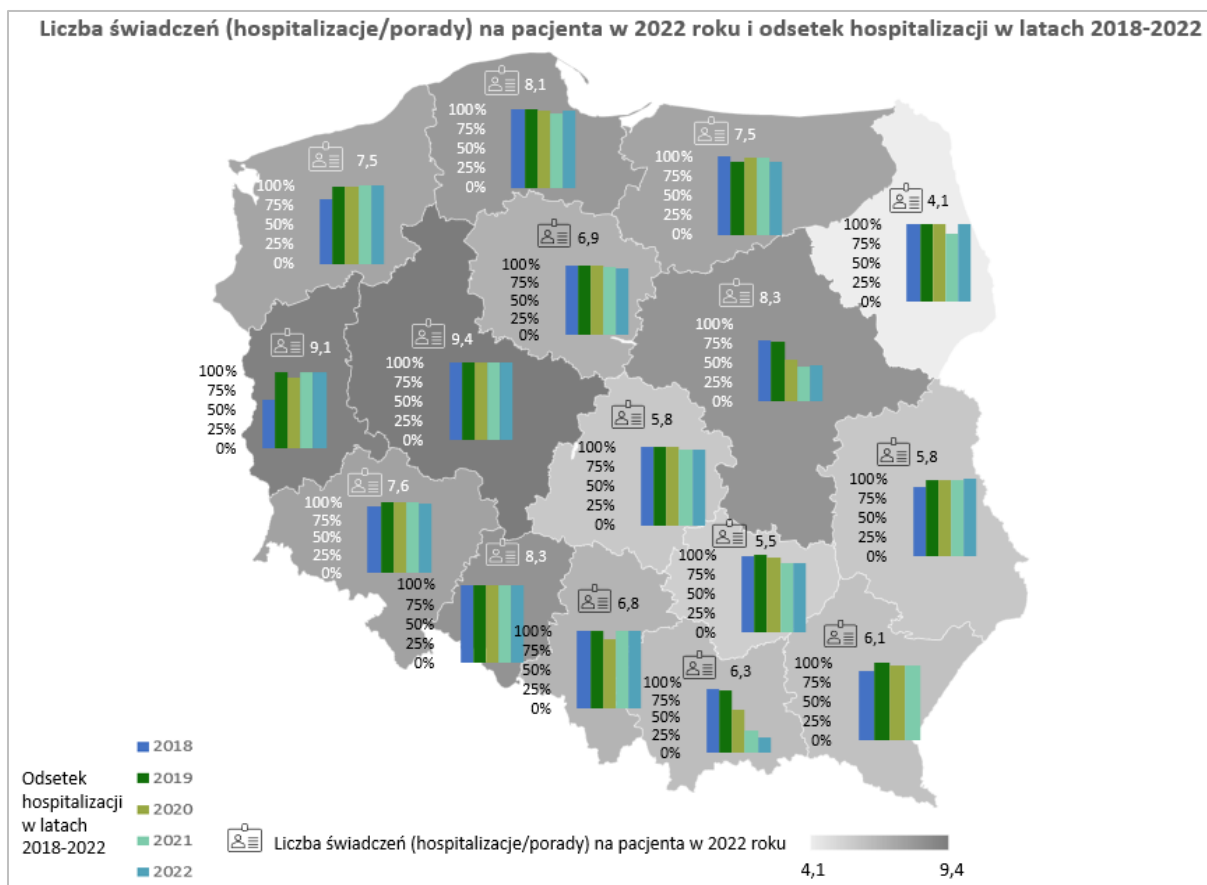
Tabela 1. Modyfikacja zapisów programu lekowego B.44 w zakresie zasad podania leków

Okres obowiązywania	Zasady podania leków
Do 28.02.2018 r.	<p>Lek powinien być podawany w ramach hospitalizacji w oddziale alergologicznym lub pulmonologicznym, tylko przez lekarza specjalistę z zakresu alergologii lub pulmonologii, doświadczonego w rozpoznawaniu i leczeniu ciężkiej astmy alergicznej oraz leczeniu anafilaksji.</p> <p>Pacjenci powinni być obserwowani przez co najmniej 2 godziny po pierwszym podaniu leku. Jeśli pierwsze podanie leku było dobrze tolerowane po każdym następnym podaniu pacjent powinien być obserwowany przez 30 minut.</p>
1.03.2018 r. – 31.10.2020 r.	<p>Pacjenci powinni być obserwowani przez co najmniej 2 godziny po pierwszym podaniu leku. Jeśli pierwsze podanie leku było dobrze tolerowane po każdym następnym podaniu pacjent powinien być obserwowany przez 30 minut.</p>
1.11.2020 r. – 30.04.2022 r.	<p>Pacjenci powinni być obserwowani przez co najmniej 2 godziny po pierwszym podaniu leku. Jeśli pierwsze podanie leku było dobrze tolerowane po drugim, trzecim i czwartym podaniu leku pacjent powinien być obserwowany przez 30 minut.</p> <p>Leczenie może być kontynuowane w warunkach domowych, jeśli lekarz i pacjent uznają to za właściwe. Pacjent odbywa w ośrodku minimum cztery wizyty w odstępach zgodnych z dawkowaniem leku.</p> <p>Wizyty mają też na celu edukację pacjenta w zakresie administrowania leku – samodzielnego lub przez opiekuna prawnego.</p> <p>Pacjent lub opiekunowie prawni pacjenta muszą być poinstruowani odnośnie techniki podawania leku, prowadzenia dziennika leczenia oraz rozpoznawania działań niepożądanych (ciężkich reakcji alergicznych) i czynności, które należy podjąć w przypadku ich wystąpienia.</p> <p>Pacjent otrzymuje leki w ośrodku prowadzącym terapię astmy danego pacjenta.</p> <p>Lek może być wydany dla celów terapii domowej na okres nie przekraczający 3 miesięcy.</p>
Od 1.05.2022 r.	<p>Pacjenci powinni być obserwowani przez co najmniej 2 godziny po pierwszym podaniu leku. Jeśli pierwsze podanie leku było dobrze tolerowane po drugim, trzecim i czwartym podaniu leku pacjent powinien być obserwowany przez 30 minut.</p> <p>Leczenie może być kontynuowane w warunkach domowych, jeśli lekarz i pacjent uznają to za właściwe. Pacjent odbywa w ośrodku minimum cztery wizyty w odstępach zgodnych z dawkowaniem leku.</p> <p>Wizyty mają też na celu edukację pacjenta w zakresie administrowania leku – samodzielnego lub przez opiekuna prawnego.</p> <p>Pacjent lub opiekunowie prawni pacjenta muszą być poinstruowani odnośnie techniki podawania leku, prowadzenia dziennika leczenia oraz rozpoznawania działań niepożądanych (ciężkich reakcji alergicznych) i czynności, które należy podjąć w przypadku ich wystąpienia.</p> <p>Pacjent otrzymuje leki dla celów terapii domowej w ośrodku prowadzącym terapię astmy danego pacjenta.</p>

Wydaje się, że modyfikacja zapisów programu lekowego wprowadzających możliwość podania leku w warunkach ambulatoryjnych spowodowała realną zmianę trybu podania zaledwie w dwóch województwach. Od 2018 r. udział wizyt ambulatoryjnych systematycznie rośnie w województwie małopolskim i mazowieckim – w 2022 roku wynosił odpowiednio 80% oraz 54%. W pozostałych województwach średnio dwa na sto świadczeń związanych z wykonaniem programu to porady w trybie ambulatoryjnym, pozostałe 98 stanowią hospitalizacje. Zależność tę zobrazowano na diagramie (Rysunek 6), który przedstawia udział hospitalizacji (w tym głównie jednodniowych) na przestrzeni lat 2018-2022. Wyniki te mogą sugerować, że w wielu placówkach tryb hospitalizacji jest wybierany

również ze względów ekonomicznych (wyższa wycena tego świadczenia), co wskazuje niedoskonałości obecnego sposobu finansowania.

Rysunek 6. Liczba świadczeń i odsetek hospitalizacji w ramach programu lekowego B.44

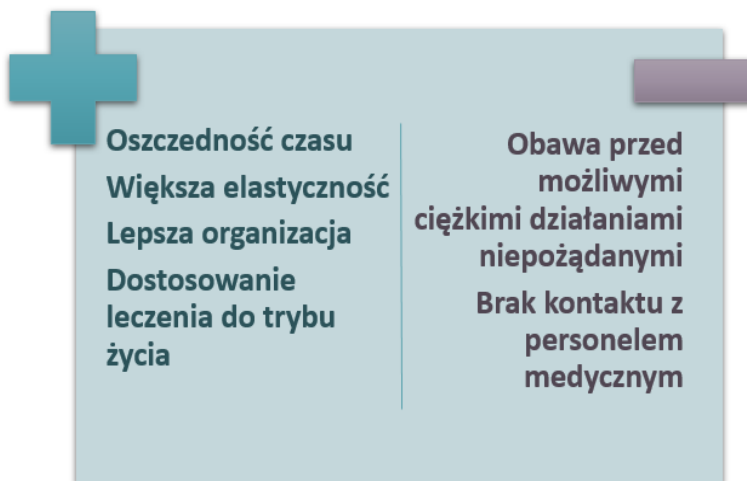


Źródło: opracowanie własne na podstawie danych NFZ [2]

W ostatnim czasie przeprowadzono badania dotyczące zmiany sposobu podawania leków biologicznych w leczeniu ciężkiej astmy. Polegały one na tym, że pacjenci lub ich opiekunowie samodzielnie podawali leki w warunkach domowych, zamiast iniekcji wykonywanej przez personel medyczny w szpitalu. Większość z tych badań została przeprowadzona w okresie pandemii SARS-CoV-2, która, jak twierdzą badacze, wpłynęła znacząco na przyspieszenie zmian w sposobach podawania leków oraz zwiększenie wykorzystania telemedycyny w monitorowaniu leczenia. W badaniach oceniano m.in. (1) satysfakcję pacjentów z ciężką postacią astmy oraz ich dotychczasowe doświadczenia z samodzielnym podaniem leków [40]; (2) kontrolę astmy i jakość życia pacjentów, którzy przeszli z terapii biologicznej w warunkach szpitalnych na podanie samodzielne w warunkach domowych [41] oraz skupiono się na (3) uzyskaniu głębszego wglądu w postrzeganie i doświadczenia pacjentów i personelu medycznego dotyczącego podawania leków biologicznych w domu, w kontekście leczenia ciężkiej astmy [42].

Główne wnioski płynące z badań oceniających zmianę sposobu podawania leków biologicznych w leczeniu ciężkiej postaci astmy są następujące:

- większość uczestników stwierdziła, że po odbyciu przeszkolenia u personelu medycznego, samodzielne podanie leku biologicznego było łatwe i czuli się bezpiecznie [40]
- podejście telemedyczne stosowane w monitorowaniu chorych okazało się skuteczne w zmniejszaniu objawów ze strony układu oddechowego i poprawie jakości życia [40]
- przejście z podawania leków biologicznych w szpitalu na leczenie domowe nie doprowadziło do pogorszenia kontroli astmy ani jakości życia pacjentów [41]
- wyniki badań podkreśliły skuteczność i bezpieczeństwo podawania leków biologicznych w domu, co może stanowić wsparcie dla zmiany warunków podawania leczenia biologicznego w ciężkiej astmie [41]
- zarówno pacjenci, jak i personel medyczny są zgodni, że korzyści z podawania leków biologicznych w domu zwykle przewyższają niedogodności z tym związane i działania niepożądane [42]
- zaletą podania leków w domu była oszczędność czasu pacjentów (np. czas podróży do szpitala) oraz brak konieczności podporządkowania się do harmonogramu wizyt w szpitalu związanych z podaniem leku oraz mniejsze ryzyko infekcji (szczególnie w czasie pandemii SARS-CoV-2) [42]



Należy podkreślić, że żaden z pacjentów nie przerwał leczenia z powodu wystąpienia działań niepożądanych [41]. Szczegółowy profil zdarzeń niepożądanych prezentował się następująco: bóle głowy, ból w miejscu wstrzyknięcia, utrata włosów i bóle stawów. Dwóch pacjentów przerwało domowe leczenie biologiczne z powodu nieprzestrzegania zaleceń lekarskich. Nie zaobserwowano różnicy w częstości czy nasileniu działań niepożądanych pomiędzy pacjentami leczonymi w szpitalu a tymi w domu [41].

Wyniki wielośrodkowego, międzynarodowego badania zwracają również uwagę na wady przedstawionych rozwiązań. Najczęściej wymienianą wadą podawania leku w domu był brak kontaktu z personelem klinicznym, w tym brak kontaktu osobistego lub bezpiecznego środowiska oraz obawy związane z wystąpieniem ciężkich działań niepożądanych [42].

Wartym podkreślenia jest fakt, iż szkolenie, w zakresie samodzielnego podania leku w ocenie pacjentów było skuteczne, a kontakt on-line z personelem medycznym spotkał się z dużym uznaniem pacjentów i wzmocnił ich pewność siebie [40], natomiast zmiana z podawania leków biologicznych w szpitalu na leczenie w warunkach domowych nie doprowadziła do pogorszenia kontroli astmy ani jakości życia pacjentów. Nie było też istotnej różnicy w częstości zaostrzeń w porównaniu z wartością wyjściową [41].

Personel medyczny preferował (o ile nie było przeciwwskazań) podanie w warunkach domowych. Po kilkukrotnym podaniu leku pod nadzorem lekarza w szpitalu, pacjenci czują się gotowi do samodzielnego wykonania wstrzyknięcia w domu, a nabycie tych umiejętności niweluje początkowy stres i dodaje chorym pewności siebie [42].

Charakterystyki produktów leczniczych finansowanych ze środków publicznych (ChPL Dupixent, Fasenra, Nucala, Xolair) także dopuszczają możliwość samodzielnego poddania leku w warunkach domowych, poza preparatem Nucala w postaci proszku do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, dla którego konieczna jest aplikacja przez fachowy personel medyczny (jednak użycie tego produktu jest niewielkie). Dla wszystkich produktów zwraca się uwagę, że decyzja o samodzielnym podaniu leku przez pacjenta powinna być podejmowana w porozumieniu z lekarzem lub pielęgniarką.

Niniejsza analiza wskazuje, że zarówno pacjenci, jak i personel medyczny, podkreślają korzyści wynikające z podawania leków biologicznych w domu, takie jak oszczędność czasu pacjentów i mniejsze ryzyko infekcji. Szkolenie i wsparcie personelu medycznego w zakresie samodzielnego podawania leków są kluczowe dla zapewnienia bezpieczeństwa i skuteczności tej praktyki. Warto jednak zauważyć, że niektórzy pacjenci wyrażają obawy związane z podawaniem leków w domu, zwłaszcza z brakiem kontaktu z personelem medycznym oraz możliwością wystąpienia działań niepożądanych. Dlatego też ważne jest, aby lekarze i personel medyczny monitorowali pacjentów i zapewnili im odpowiednie wsparcie podczas samodzielnego podawania leków.

Podsumowując, samodzielne podawanie leków biologicznych w warunkach domowych może być skutecznym i bezpiecznym sposobem leczenia ciężkiej astmy, zapewniając pacjentom większą wygodę i dostępność do terapii. Jednak konieczne jest przeszkolenie pacjentów oraz monitorowanie i wsparcie ze strony personelu medycznego.

Rozdział 8.

NAKŁADY NA FINANSOWANIE PROGRAMU LEKOWEGO B.44

ROSNAĆCE NAKŁADY NA PROGRAM B.44

Kwoty kontraktu dla programu B.44 rosną z roku na rok, a ich wysokość w ostatnich latach zwiększyła się ponad dwukrotnie (46 mln zł w 2019 r. vs 107 mln zł w 2022 r.). Natomiast liczba pacjentów objętych leczeniem w ramach programu lekowego wzrosła od 2019 r. blisko 2,5 krotnie, jednak nadal oznacza to, że w 2022 r. zaledwie co 13-ty – 15-ty pacjent z ciężką postacią astmy otrzymuje odpowiednie dla swojego stanu zdrowia leczenie. Rośnie równocześnie liczba świadczeniodawców, którzy zawierają kontrakty: w 2019 r. było ich 54, natomiast w 2022 r. – 60, a w 2023 r. – 65.

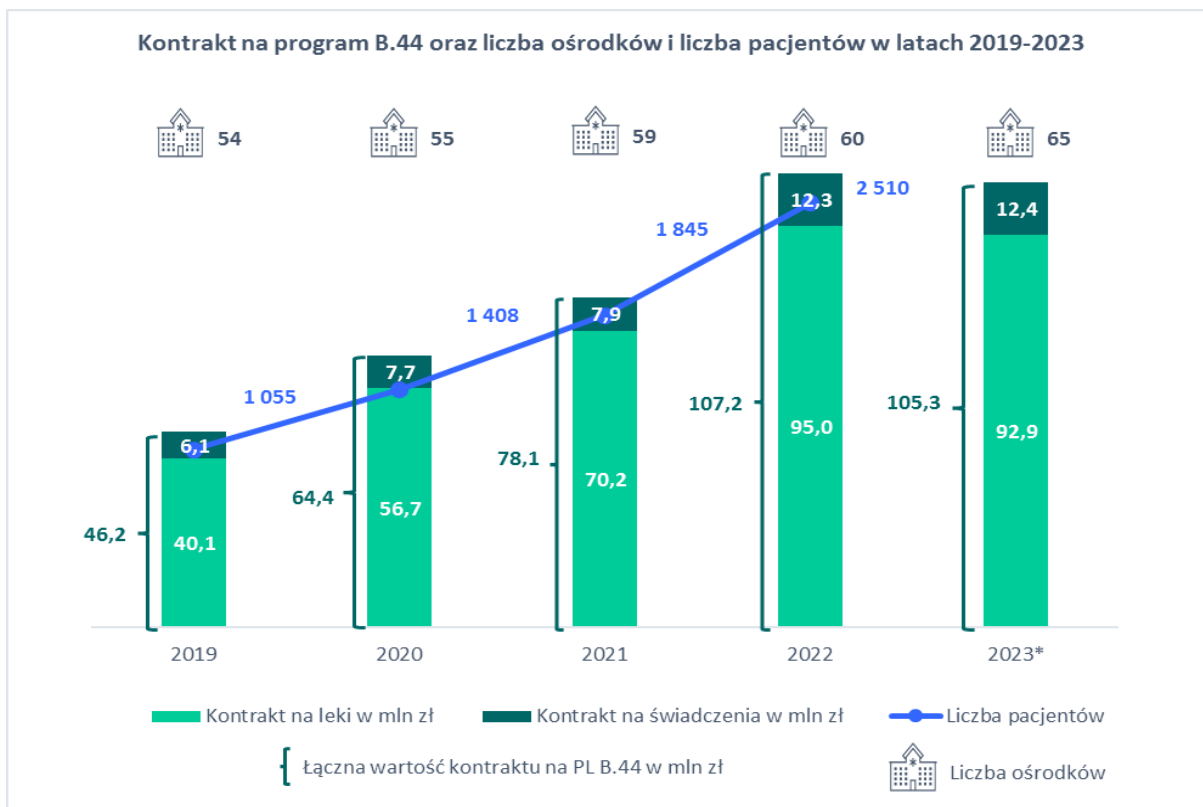
ROZBIEŻNOŚCI W FINANSOWANIU ŚWIADCZEŃ TOWARZYSZĄCYCH

Obserwuje się duże rozbieżności pomiędzy poszczególnymi placówkami w udziale kontraktu na świadczenia. Średnio w 2022 roku 11,4% kwoty kontraktu przypadło na świadczenia towarzyszące programowi B.44. Minimalny odnotowany udział nie przekroczył 4% całkowitej kwoty kontraktu, natomiast maksymalny wyniósł blisko 19%. Wydaje się, że rozbieżności pomiędzy ośrodkami a nawet województwami wynikają głównie z częstotliwości oraz trybu podań leków biologicznych.

Kwoty kontraktu na program lekowy B.44 rosną z roku na rok (nie można jeszcze określić ostatecznej zmiany dla roku 2023, ponieważ nie wszystkie podmioty lecznicze zawarły kontrakt na cały rok, np. kontrakty świadczeniodawców z woj. mazowieckiego zawarte są jedynie do września). Wielkość kontraktów dla całej Polski w ostatnich latach zwiększyła się ponad dwukrotnie (46 mln zł w 2019 r. vs 107 mln zł w 2022 r.) Zwiększa się równocześnie liczba świadczeniodawców, którzy zawarli kontrakty, gdyż w 2019 r. było ich 54, natomiast w 2022 r. – 60, a w 2023 r. – już 65. Należy jednak zauważyć, że w każdym roku pojawia pula świadczeniodawców, dla której wysokość kontraktu jest symboliczna (np. kwota kontraktu równa 1 zł) lub niewystarczająca nawet na roczną terapię lekami biologicznymi jednego pacjenta. Zarówno w 2022, jak i w 2023 r. (stan na lipiec 2023 r.) takich placówek było 5.

Standardowo część kontraktu przypadająca na leki stanowi większość budżetu na refundację programu lekowego – w przypadku programu B.44 jest to niemal 87-90%. Do roku 2021 obserwowano spadek udziału kwoty na świadczenia, jednak od 2022 r. ten trend się zmienił i udział kwoty na świadczenia zaczął rosnąć. Wynika to ze wzrostu ceny za punkt w wycenie świadczeń towarzyszących w zakresie programów lekowych. Pomiędzy rokiem 2021 a 2022 odnotowano niemal 50% wzrost kwoty kontraktu na świadczenia (z 7,9 mln zł do 12,3 mln zł). W lipcu 2023 kwota kontraktu przeznaczona na refundację świadczeń w ramach programu lekowego przekroczyła kwotę z 2022 roku, przy czym część świadczeniodawców zawarła kontrakt jedynie na część roku.

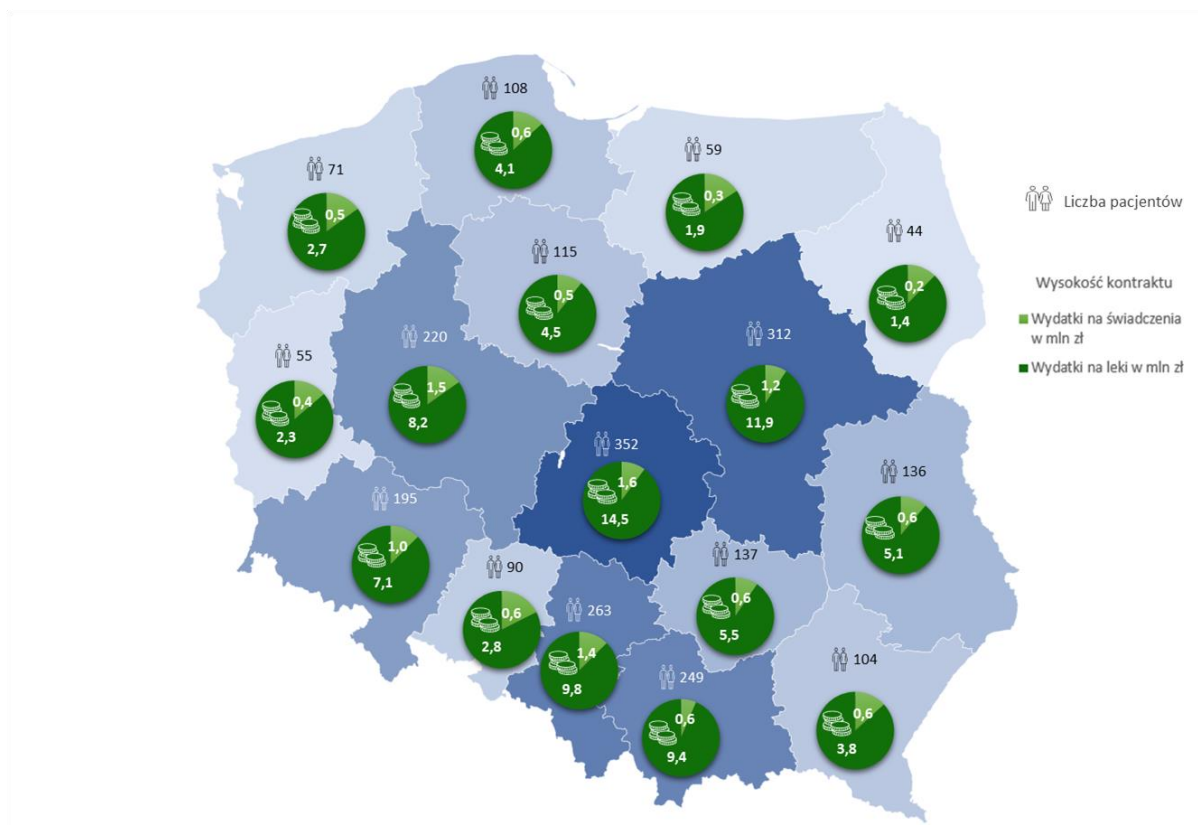
Wykres 3. Kontrakty na program B.44



*dla roku 2023 r. prezentowane są niepełne dane

Obserwuje się duże rozbieżności pomiędzy poszczególnymi placówkami w udziale kontraktu na świadczenia. Średnio w 2022 roku 11,4% kwoty kontraktu przypadła na świadczenia towarzyszące programowi B.44. Minimalnie było to 3,6% a maksymalnie 18,8%. Największy udział kwoty kontraktu na świadczenia odnotowano w województwie opolskim (17,5%) a najmniejszy w województwie małopolskim 6,4%, czyli niemal 3-krotnie niższy niż dla województwa opolskiego.

Rysunek 7. Kwoty kontraktu na program B.44 w poszczególnych województwach



Parametry wpływające na wielkość kontraktu w części dedykowanej świadczeniom to głównie wycena punktowa świadczeń, w ramach których odbywa się podanie lub wydanie leku, cena za punkt dla świadczeń towarzyszących w programie lekowym B.44, tryb udzielania świadczeń oraz częstość wizyt pacjenta w oddziale.

Wycena świadczeń zgodnie z Zarządzeniem Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe (Katalog świadczeń i zakresów – leczenie szpitalne – programy lekowe oraz Katalog ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych) nie zmieniła się od października 2017 r. [4]. (Tabela 2)

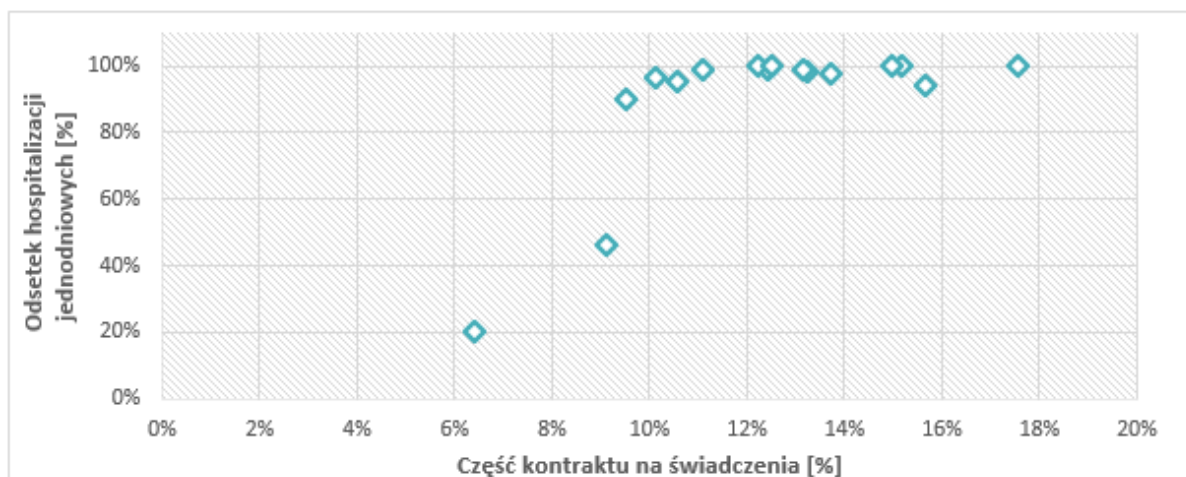
Tabela 2. Świadczenia i wycena punktowa dla zakresu Leczenie chorych z ciężką postacią astmy [4]

Świadczenia związane z wykonaniem programu lekowego B.44	Wartość punktowa	Uwagi	Źródło
Hospitalizacja	486,72	za osobodzień	Katalog świadczeń i zakresów – leczenie szpitalne – programy lekowe
Hospitalizacja u dzieci	540,80	za osobodzień	
Hospitalizacja w trybie jednodniowym	486,72	za osobodzień	
Przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym	108,16	-	Katalog ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych
Diagnostyka w programie leczenia chorych z ciężką postacią astmy	984,80	Ryczałt roczny	

Cena za punkt dla świadczeń towarzyszących w programie B.44 do końca pierwszego kwartału 2022 r. wynosiła 1,00 zł/punkt. Natomiast od II kwartału 2022 r. cena wzrastała: do 1,05 zł w III i 1,44 zł w IV kwartale 2022, natomiast średnia cena punktu w całym 2022 r. wyniosła 1,22 zł. Średnia cena za punkt w 2023 r. wynosi obecnie 1,40 zł³ (czyli o 40% więcej niż w latach 2017-2021). Minimalna cena punktu to 1,35 zł, zaś maksymalna – 1,64 zł. Warty odnotowania jest fakt, że wskaźnik inflacji w obszarze zdrowia wzrósł w latach 2018-2021 o 14%, natomiast kwoty, które otrzymywali świadczeniodawcy za udzielanie świadczeń w zakresie realizacji programów lekowych pozostały w tym okresie na niezmiennym poziomie.

Kolejnym parametrem, który ma prawdopodobnie największy wpływ na poziom wydatków na świadczenia w programie lekowym ma tryb udzielanych świadczeń w ramach podania/wydania leku. Jeśli większość świadczeń stanowią hospitalizacje jednodniowe wtedy wydatki na świadczenia będą nawet trzykrotnie większe niż gdy większość tych świadczeń odbywać się będzie w ramach przyjęcia pacjenta w trybie ambulatoryjnym. Większość województw ma bardzo wysoki odsetek hospitalizacji jednodniowych (90-100%) a ich wysokość kontraktu na świadczenia stanowi 10-18%. (Wykres 4)

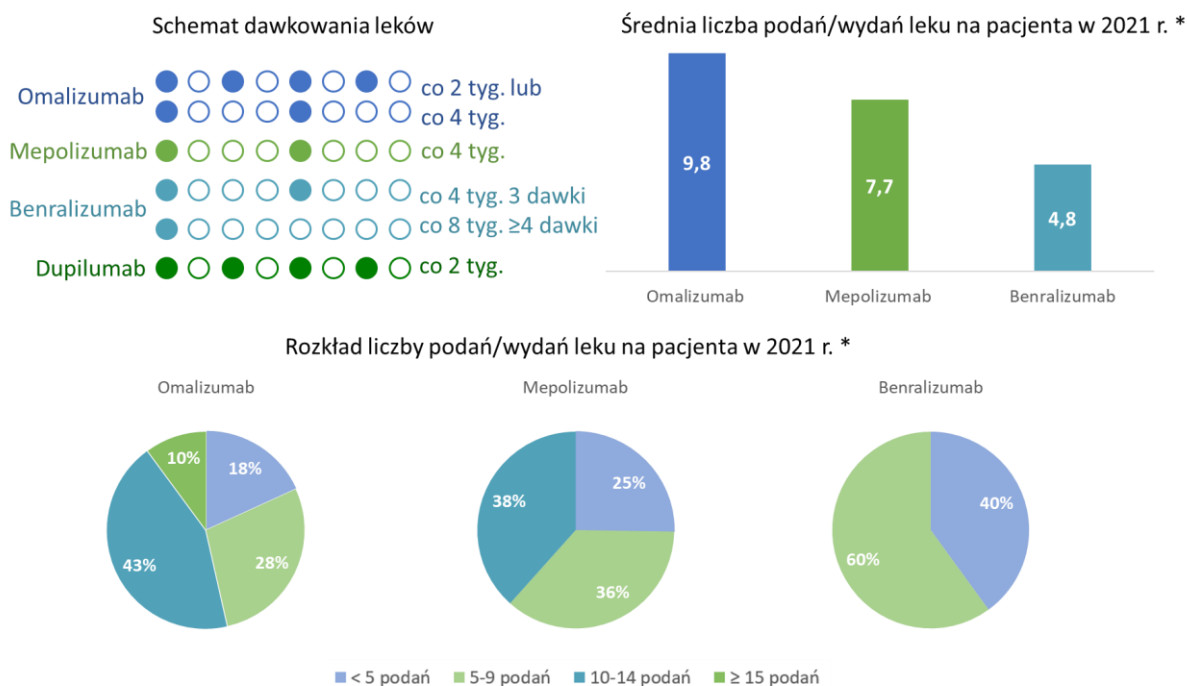
Wykres 4. Zależność pomiędzy odsetkiem hospitalizacji a wysokością kontraktu na świadczenia



Ostatnim elementem wpływającym na wysokość wydatków na świadczenia jest częstota wizyt pacjenta w placówce, a ta może wynikać ze schematu dawkowania leku (który różni się pomiędzy substancjami czynnymi w programie lekowym), faktu czy lek wydawany jest pacjentom do samodzielnego podania w domu oraz rozplanowaniem podań leków i wizyt związanych z diagnostyką przewidzianą w opisie programu lekowego B.44. Rozkład liczby zrealizowanych świadczeń związanych z podaniem lub wydaniem leku w 2021 roku [43] wskazywać może, że w większości przypadków podanie leków w ramach programu lekowego leczenia ciężkiej postaci astmy odbywa się w placówce medycznej – świadczy o tym proporcjonalnie wysoka liczba podań/wydań na pacjenta – zbliżona do rocznej liczby podań. Należy mieć na uwadze, że część pacjentów leczona jest krócej niż rok, np. ze względu na wyłączenie z programu, pacjenci nowo kwalifikowani do programu oraz chorzy, u których zawieszono terapię zgodnie z zapisami programu. Nie są jeszcze dostępne dane dla substancji czynnej dupilumab, której podanie odbywa się wyłącznie w schemacie co dwa tygodnie. Natomiast dla omalizumabu, który może być stosowany co 2 tygodnie, w 2021 roku ok. 8% pacjentów miało co najmniej 20 podań/wydań leku co najprawdopodobniej oznacza, że pacjent w takim schemacie musi pojawić się w ośrodku blisko 2 razy na miesiąc. (Rysunek 8)

³ Stan na lipiec 2023 roku

Rysunek 8. Rozkład podań / wydań leków w programie lekowym B.44 w 2021 r.



* W 2021 r. w programie B.44 były dostępne 3 substancje czynne (bez dupilumabu).

Na podstawie danych NFZ [43]

Z danych wynika, że zdecydowana większość podań leków odbywa się stacjonarnie i wymaga, aby pacjent przybył do podmiotu leczniczego. Nie są dostępne jeszcze najnowsze szczegółowe dane NFZ, ale zbiorcze dane za 2022 rok (Rysunek 6) nie wskazują na znaczne obniżenie liczby świadczeń towarzyszących w zakresie hospitalizacji na pacjenta, co wskazuje na brak zmiany podejścia świadczeniodawców w zakresie sposobu podania leków biologicznych u pacjentów z ciężką postacią astmy w Polsce.

Podsumowując, wyniki analizy wskazują na rosnące wydatki na leczenie ciężkiej astmy w ramach programu lekowego B.44. Różnice regionalne i efektywność wykorzystania środków finansowych wymagają stałego monitorowania i dostosowywania programu, aby zapewnić odpowiednią opiekę pacjentom w całej Polsce. Wdrażanie bardziej skutecznych i zrównoważonych strategii zarządzania programem lekowym może pomóc w optymalizacji kosztów leczenia, jednocześnie zapewniając pacjentom odpowiednią terapię i wsparcie.

Rozdział 9.

ROZMIESZCZENIE OŚRODKÓW REALIZUJĄCYCH PROGRAM B.44

ROZMIESZCZENIE PLACÓWEK A DOSTĘP DO LECZENIA

Realizacja programów lekowych odbywa się głównie w większych ośrodkach medycznych, zazwyczaj w miastach wojewódzkich. Wydaje się, że największe problemy w zapewnieniu równego dostępu do leczenia mają województwa wschodnie (jeden dominujący ośrodek), natomiast pacjenci z Polski centralnej mogą korzystać z dodatkowo z leczenia w województwach ościennych.

Zaledwie w sześciu miastach w Polsce (Łódź, Warszawa, Poznań, Kraków, Katowice, Lublin) prowadzonych jest ponad 40% chorych w ramach programu lekowego ciężkiej postaci astmy. Realizacja programu w co najmniej trzech lokalizacjach odbywa się w województwach śląskim (4 miasta), małopolskim (3 miasta), dolnośląskim (3 miasta) oraz warmińsko-mazurskie (3 miasta).

Dla pacjentów z ciężką postacią astmy odległość i dostępność placówki medycznej realizującej program lekowy B.44 może mieć duże znaczenie. Regularne uczestniczenie w wizytach w ośrodku medycznym wymaga od pacjentów organizacji czasu wolnego oraz niekiedy czasu pracy, a także nakładu dodatkowych kosztów. Dla niektórych osób może to być trudne lub niemożliwe do zrealizowania, co wpływa niekorzystnie na dostępność i skuteczność leczenia.

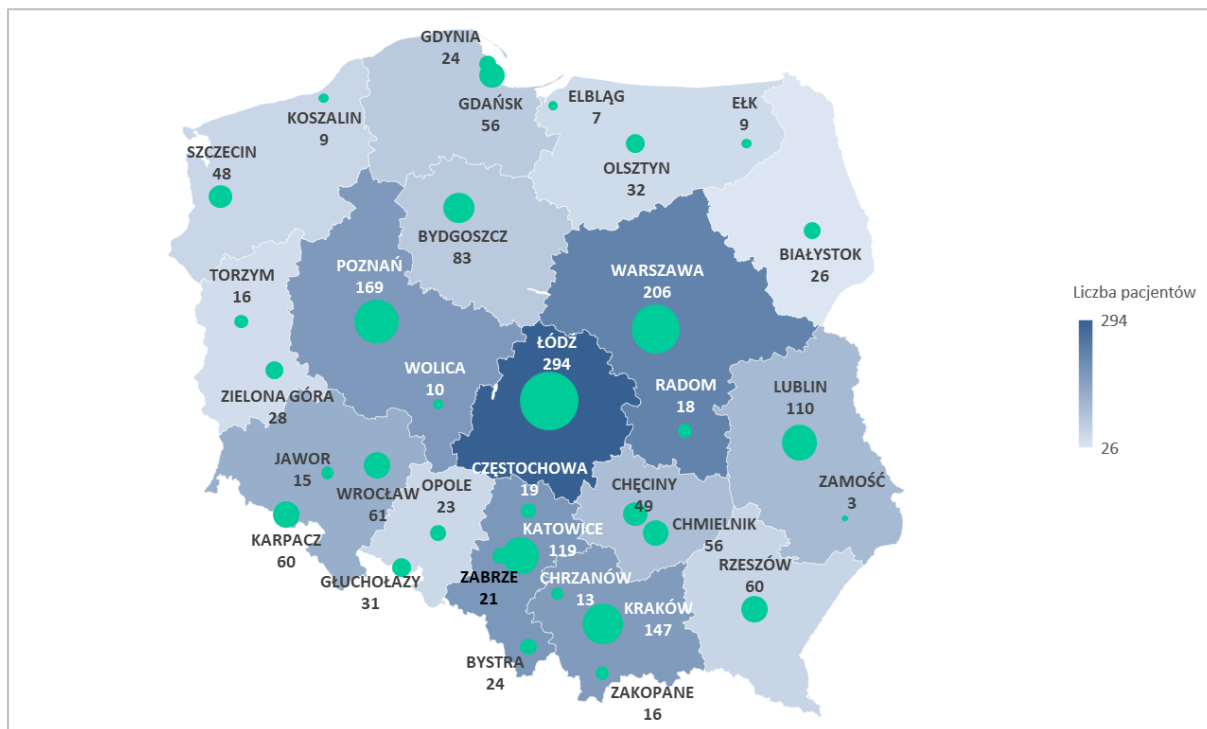
Kluczowe w programach lekowych jest uwzględnienie potrzeby pacjentów, zwłaszcza tych mieszkających w bardziej odległych regionach i podejmowanie działań mających na celu ułatwienie dostępu do leczenia, np. poprzez lepsze rozmieszczenie placówek medycznych realizujących program lekowy. Wpłynęłoby to na skuteczne korzystanie z terapii i jednocześnie poprawiło jakość opieki medycznej nad osobami z ciężką postacią astmy.

Programy lekowe są najczęściej realizowane w większych ośrodkach medycznych, zlokalizowanych zazwyczaj w miastach wojewódzkich. Gdy leki w ramach programów lekowych mają postać doustną lub pacjenci mogą je samodzielnie podawać poprzez wstrzyknięcie podskórne, nie wymaga to częstych wizyt w placówkach medycznych, co ułatwia pacjentom dostęp do leczenia.

Jednakże, w przypadku programu lekowego B.44, w którym podawanie leków jak na razie odbywa się przede wszystkim w warunkach szpitalnych (co wynika z danych NFZ), a terapia ciężkiej postaci astmy wymaga częstych wizyt, dojazd do ośrodka medycznego może stanowić wyzwanie. Pacjenci z ciężką postacią astmy muszą odwiedzać placówki medyczne od 2 razy w miesiącu do 1 razu co 2 miesiące, a terapia jest długotrwała, z okresami zawieszenia leczenia. Dla wielu pacjentów, szczególnie tych mieszkających w odległych miejscowościach, podróż kilkaset kilometrów do ośrodka może być znacznym utrudnieniem (Rysunek 9).

W przypadku programu lekowego B.44 rozmieszczenie geograficzne wskazuje na dość powszechny schemat – jedno miasto (najczęściej stolica województwa) obejmuje opieką prawie wszystkich pacjentów, natomiast w innych miastach prowadzeni są pojedynczy pacjenci. Wyjątkiem są woj. lubuskie, dolnośląskie, opolskie i świętokrzyskie, gdzie dwie miejscowości leczą większe grupy pacjentów, co wprowadza większe zróżnicowanie geograficzne i zmniejsza konieczność podróży do odleglejszych ośrodków (Rysunek 9).

Rysunek 9. Rozmieszczenie ośrodków realizujących program lekowym B.44 (2021 r.)



Powyższe pokazuje, że dla pacjentów uczestniczących w programie B.44, odległość i dostępność placówki medycznej może mieć duże znaczenie. Pacjenci mogą potrzebować zorganizowania dodatkowego czasu, poniesienia dodatkowych kosztów i wysiłku, aby regularnie uczestniczyć w wizytach w ośrodku medycznym. Dla niektórych osób może to być trudne lub niemożliwe do zrealizowania, co wpływa na dostępność i skuteczność leczenia.

W celu zapewnienia lepszej dostępności do leczenia pacjentom z ciężką postacią astmy, należałoby uprościć procedury związane ze staraniem się ośrodków o dostęp do udzielania świadczeń w ramach programu lekowego. Obecnie przeprowadzane są postępowania na udzielanie świadczeń w programach lekowych, co przyczynia się do niepotrzebnego opóźnienia (które może trwać nawet kilka miesięcy [34]), a także często do ograniczenia dostępności pacjentów do świadczeń gwarantowanych. Należałoby się zastanowić nad uproszczeniem tych procedur lub stworzeniem nowego mechanizmu, który z jednej strony spowodowałby poprawę dostępu do świadczeń, a z drugiej wprowadzałby konkurencję pomiędzy ośrodkami.

Dlatego ważne jest, aby w takich programach uwzględniać potrzeby pacjentów, zwłaszcza tych mieszkających w bardziej odległych regionach i podejmować działania mające na celu ułatwienie dostępu do leczenia, np. poprzez lepsze rozmieszczenie placówek medycznych realizujących program lekowy. To pozwoli pacjentom skuteczniej korzystać z terapii i poprawi jakość opieki medycznej dla osób z ciężką postacią astmy.

Rozdział 10.

OCENA KOSZTÓW ŚWIADCZENIODAWCÓW

NIEADEKWATNA WYCENA ŚWIADCZEŃ

W ramach raportu przeprowadzono badanie ankietowe, które obejmowało 219 pacjentów, leczonych w programie lekowym B.44 w trzech szpitalach. Ze względu na różnice w danych pomiędzy placówkami, przygotowano dwa warianty analizy – wariant 1 uwzględniający dane wejściowe oszacowane jako średnia ważona liczbą pacjentów w danej placówce oraz wariant 2 – dane wejściowe oszacowane jako mediana wartości.

Wyniki ankiety wskazują na:

- znacznie wyższe koszty w pierwszym roku leczenia poniesione w obszarze diagnostyki przez świadczeniodawcę w porównaniu do wyceny NFZ: 110-135% w przypadku wariantu 1 i o 15-42% – w przypadku wariantu 2,
- wyższe koszty w drugim i kolejnych latach ponoszone na diagnostykę w wariantcie 1 (31%);
- wyższe wydatki świadczeniodawcy w obszarze podania leków w porównaniu z wyceną NFZ, odpowiednio o: 115% dla trybu podania w ramach hospitalizacji jednodniowej oraz o 20% dla trybu podania w ramach wizyty ambulatoryjnej – w wariantcie 1, natomiast w wariantcie 2 wartości te wynoszą odpowiednio: 92% (hospitalizacja jednodniowa) i 20% (podanie ambulatoryjne),
- wyższy koszt świadczeniodawcy w obszarze wydania leku (w ramach wizyty ambulatoryjnej) o 40% od kosztów z perspektywy NFZ (dla obu wariantów analizy),
- a także wyższy koszt pojedynczego wydania leku pacjentowi ponoszony przez świadczeniodawcę w porównaniu z kosztem 1 podania leku w trybie ambulatoryjnym (212,50 zł vs 181,93 zł).

Wyniki dla obydwu wariantów wskazują niedoszacowanie kosztów szpitali ponoszonych na prowadzenie programu lekowego B.44. Wskazana byłaby zmiana w finansowaniu poprzez efektywne zarządzanie środkami finansowymi w ramach programu lekowego B.44, w celu zoptymalizowania dostępności leczenia dla pacjentów z ciężką postacią astmy oraz zapewnienia zrównoważonego budżetu dla szpitali realizujących ten program.

Przeprowadzono badanie kwestionariuszowe w trzech szpitalach, które w ciągu ostatniego roku leczyły łącznie 219 pacjentów w ramach programu lekowego B.44 *Leczenia chorych z ciężką postacią astmy*. W ramach ankiety zadano pytania dotyczące zużycia zasobów oraz kosztów związanych z realizacją programu B.44. Pytania ankietowe dotyczyły zarówno kosztów badań, świadczeń, jak i diagnostycznych procedur wykonywanych przy kwalifikacji, monitorowaniu i kontroli pacjenta.

Wyniki badania kwestionariuszowego, w postaci kosztów z perspektywy podmiotu leczniczego, porównano z kosztami ponoszonymi przez NFZ na finansowanie świadczeń w ramach przedmiotowego programu. Z uwagi na zróżnicowany tryb podania/wydania leku zdecydowano się na porównanie kosztów poszczególnych świadczeń:

- Diagnostyka w programie lekowym leczenia ciężkiej postaci astmy (koszt roczny)
- Podanie leku – hospitalizacja jednego dnia (koszt jednego świadczenia),
- Podanie / wydanie leku – porada w trybie ambulatoryjnym (koszt jednego świadczenia).

Oszacowanie kosztów przeprowadzono w programie MS Excel® budując prosty model decyzyjny. W modelu uwzględniono tylko koszty pozalekowe (Rysunek 10). Koszty z perspektywy świadczeniodawcy obejmowały koszty: badań, zaangażowania personelu medycznego (lekarza, pielęgniarki, farmaceuty), porady ambulatoryjnej i hospitalizacji.

Ze względu na duży rozrzut w danych przedstawionych przez szpitale, postanowiono uwzględnić dwa warianty: jako koszt danej procedury/zaangażowania personelu z perspektywy świadczeniodawcy w wariantcie 1 przyjęto średnią ważoną (liczbą leczonych pacjentów w poszczególnych ośrodkach), natomiast w wariantcie 2 uwzględniono medianę wartości.

Koszty z perspektywy NFZ przedstawiono uwzględniając wycenę świadczeń w programie lekowym B.44 określoną w *Zarządzeniu Prezesa NFZ z dnia 26 maja 2023 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe*. Dodatkowo przyjęto aktualną, średnią wycenę punktu: 1 punkt = 1,40 zł.

Wyniki modelu dotyczyły porównania kosztów pozalekowych poniesionych przez świadczeniodawcę z ich wyceną NFZ. Ponadto w analizie porównano koszty podania leku w dwóch wariantach: w ramach hospitalizacji w trybie jednodniowym oraz w ramach przyjęcia w trybie ambulatoryjnym. (Rysunek 10)

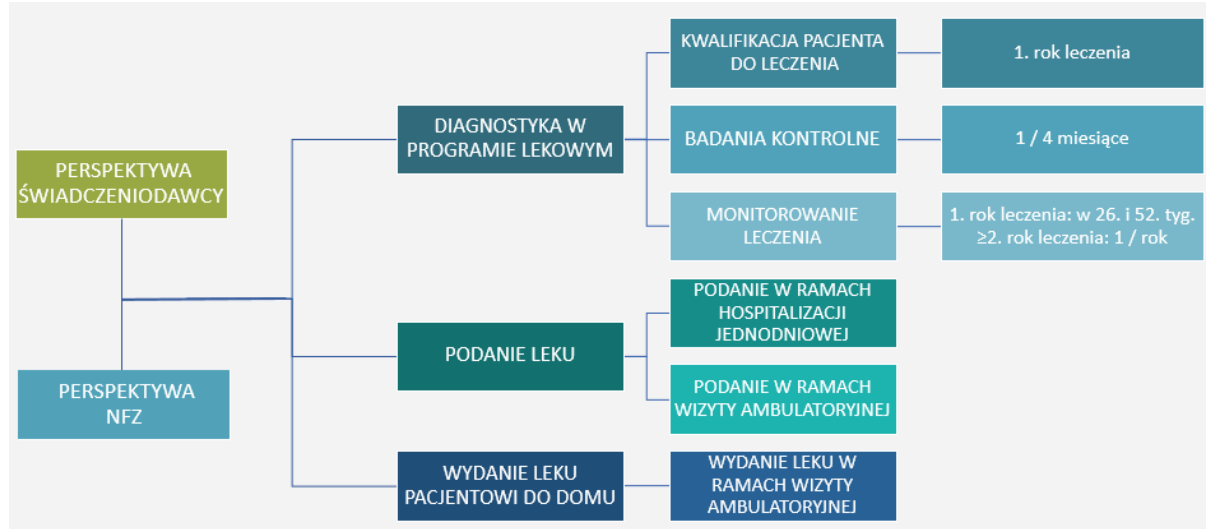
Rysunek 10. Koszty z perspektywy świadczeniodawcy i NFZ uwzględnione w modelu oraz wyniki modelu



Struktura modelu

Model leczenia uwzględniał obszary: diagnostyka w programie, podanie leku oraz wydanie leku pacjentowi do domu. (Rysunek 11)

Rysunek 11. Struktura modelu



Diagnostyka w programie lekowym (zgodnie z opisem programu lekowego B.44) obejmuje kwalifikację do leczenia, badania kontrolne oraz monitorowanie leczenia. Częstość wykonywania badań diagnostycznych zaczerpnięto z opisu programu lekowego. W modelu uwzględniono koszty badań diagnostycznych i koszt zaangażowania personelu (lekarza, pielęgniarki).

Wyniki badania ankietowego wskazują, że zaangażowanie personelu w podanie leku było identyczne dla wszystkich substancji czynnych, dlatego wyniki przedstawiono bez rozróżnienia na substancje a jedynie uzależniono od trybu podania. W koszcie podania odbywającego się w ramach hospitalizacji jednodniowej uwzględniono średni koszt osobodnia na oddziale uwzględniający koszt zaangażowania personelu. W analizie kosztów podania leku w ramach wizyty ambulatoryjnej uwzględniono koszt porady ambulatoryjnej oraz koszt zaangażowania personelu (lekarza, pielęgniarki, farmaceuty). Dodatkowo w analizie porównano koszt zaangażowania personelu w obu wariantach podania.

Koszt wydania leku pacjentowi do domu obejmował koszt zaangażowania personelu (lekarza, pielęgniarki, farmaceuty) oraz koszt porady ambulatoryjnej.

Wyniki modelu

Diagnostyka w programie lekowym

Badania uwzględnione w obszarze diagnostyki, zgodnie z opisem programu lekowego, różnią się w zależności od substancji czynnej. Wyjątek stanowią substancje czynne mepolizumab i benralizumab, dla których zakres badań diagnostycznych jest identyczny.

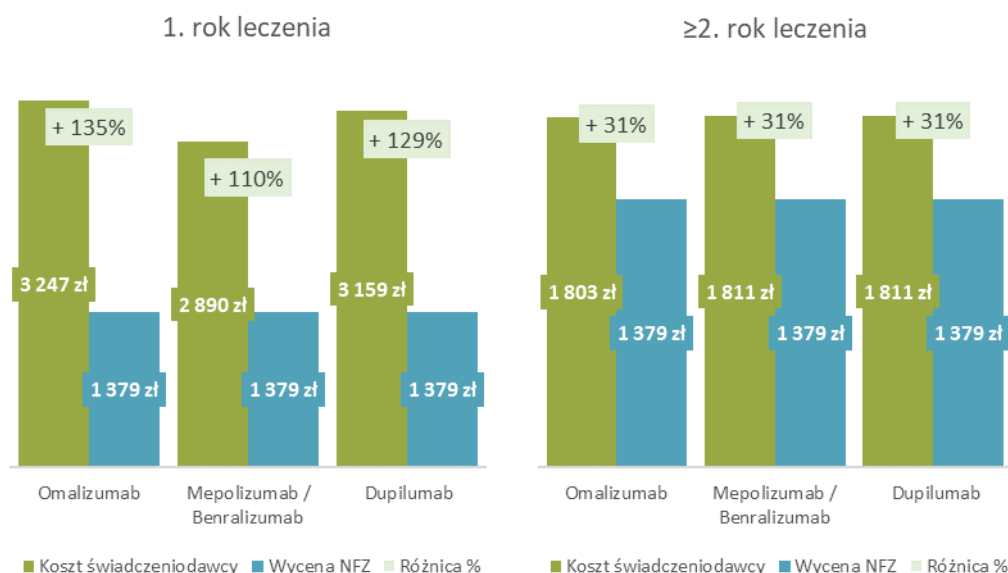
Kwalifikacja do leczenia omalizumabem obejmuje najszerszy zakres badań, przez co jej koszt dla świadczeniodawcy jest największy. Koszt badań dla wszystkich substancji czynnych jest na tym samym poziomie, ponieważ niezależnie od leku badania wykonywane są z taką samą częstością oraz obejmują jednakowy zakres badań. Na etapie monitorowania leczenia koszt poniesiony przez świadczeniodawcę jest identyczny dla 3 substancji czynnych: mepolizumabu, benralizumabu i dupilumabu oraz delikatnie niższy dla omalizumabu (wymagany inny rodzaj badania morfologicznego). (Tabela 3)

Tabela 3. Koszt diagnostyki z perspektywy świadczeniodawcy w podziale na etapy leczenia

Etap leczenia	Omalizumab	Mepolizumab / Benralizumab	Dupilumab
Wariant 1 (średnia ważona)			
Kwalifikacja do programu	949,99 zł	576,19 zł	845,35 zł
Badania kontrolne	436,11 zł	436,11 zł	436,11 zł
Monitorowanie leczenia	494,25 zł	502,81 zł	502,81 zł
Wariant 2 (mediana)			
Kwalifikacja do programu	719,54 zł	356,82 zł	578,74 zł
Badania kontrolne	244,18 zł	244,18 zł	244,18 zł
Monitorowanie leczenia	249,46 zł	248,97 zł	248,97 zł

W wariantcie 1, koszt diagnostyki poniesiony przez świadczeniodawcę w pierwszym roku leczenia przewyższa koszt z perspektywy NFZ. Najwyższa różnica pomiędzy kosztami świadczeniodawcy a wyceną NFZ występuje dla leczenia substancją czynną omalizumab (1 868 zł), dla pozostałych substancji różnica ta wynosi 1 511 zł (dla mepolizumabu i benralizumabu) i 1 781 zł (dla dupilumabu). W kolejnych latach leczenia koszty diagnostyki ponoszone przez świadczeniodawcę także przewyższają koszty NFZ o 424 zł dla leczenia substancją czynną omalizumab oraz 432 zł dla pozostałych substancji czynnych. (Wykres 5)

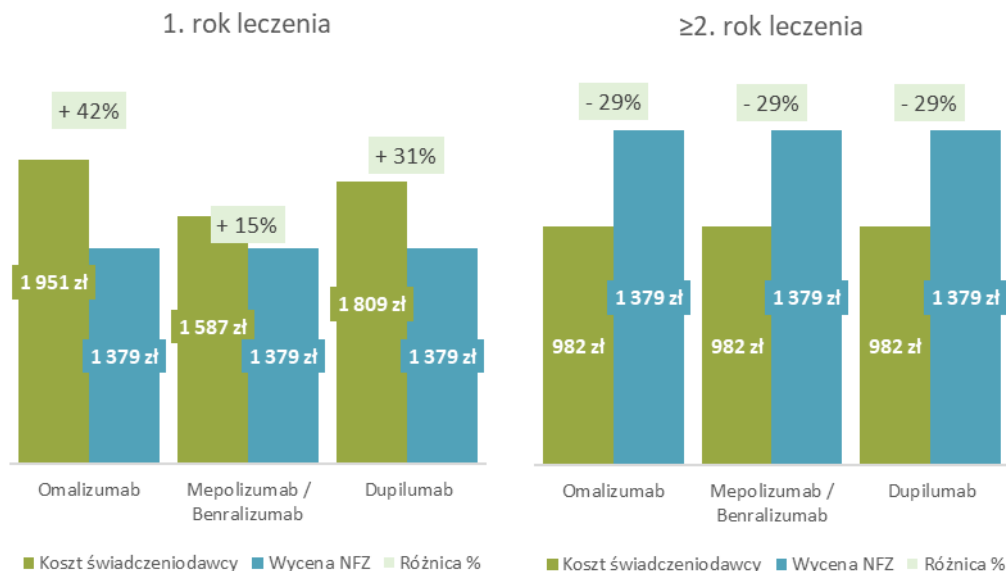
Wykres 5. Porównanie kosztów z perspektywy świadczeniodawcy i NFZ w obszarze diagnostyki w programie lekowym B.44 – wariant 1



W wariantcie 2, koszt diagnostyki poniesiony przez świadczeniodawcę również w pierwszym roku leczenia przewyższa koszt z perspektywy NFZ. Najwyższa różnica pomiędzy kosztami świadczeniodawcy a wyceną NFZ występuje dla leczenia substancją czynną omalizumab (572 zł), dla pozostałych substancji różnica ta wynosi 209 zł (dla mepolizumabu i benralizumabu) i 431 zł (dla

dupilumabu). Natomiast w kolejnych latach leczenia koszty diagnostyki ponoszone przez świadczeniodawcę pokrywane są w pełni z wyceny NFZ. (Wykres 6)

Wykres 6. Porównanie kosztów z perspektywy świadczeniodawcy i NFZ w obszarze diagnostyki w programie lekowym B.44 – wariant 2



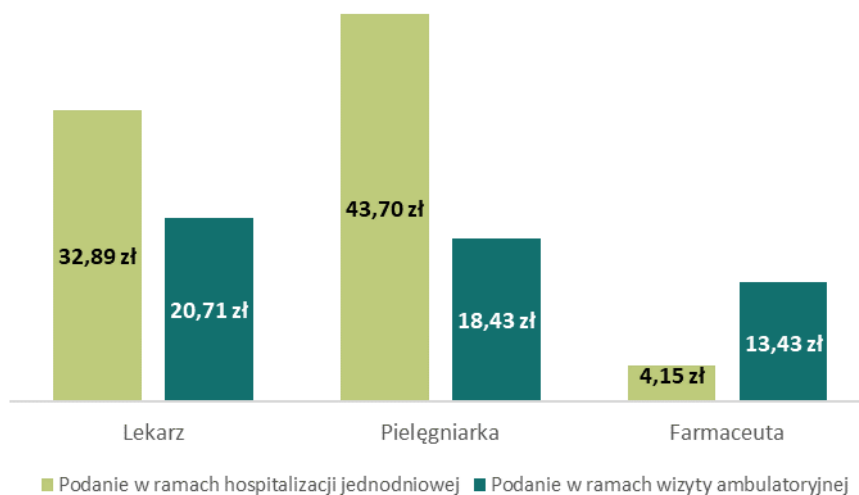
Z uwagi na wprowadzenie do programu dupilumabu w maju 2022 roku spodziewany jest wzrost liczby pacjentów nowo włączonych do programu. Wiąże się to ze wzrostem kosztów ponoszonych przez świadczeniodawcę wynikających z większej liczby pacjentów w pierwszym roku leczenia.

Podanie leku

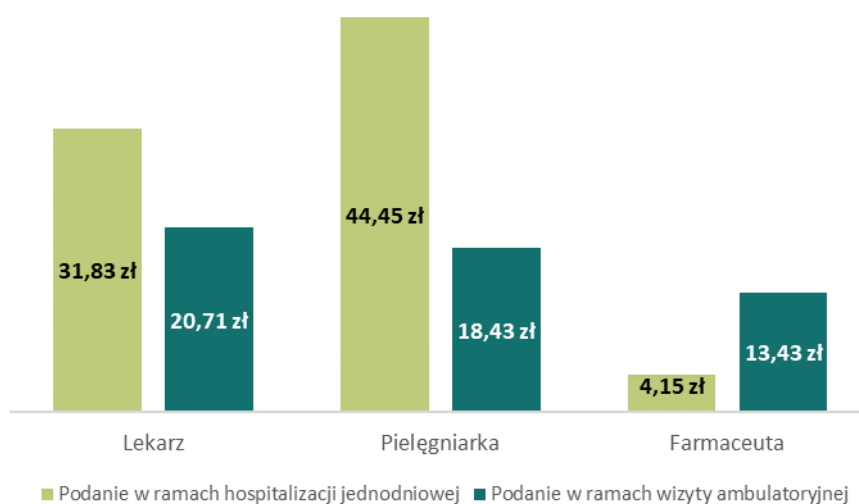
W modelu koszt podania leku z perspektywy świadczeniodawcy obejmował koszt zaangażowania personelu medycznego oraz koszt przebywania pacjenta w ośrodku (w związku z podaniem leku).

Koszt zaangażowania personelu w podanie leku w ramach hospitalizacji jednodniowej jest wyższy niż przy podaniu w ramach wizyty ambulatoryjnej: dla wariantu 1 wynoszą one odpowiednio 80,73 zł i 52,56 zł (Wykres 7), a dla wariantu 2 - 80,46 zł i 52,56 zł (Wykres 8).

Wykres 7. Koszt zaangażowania personelu w perspektywie świadczeniodawcy – wariant 1

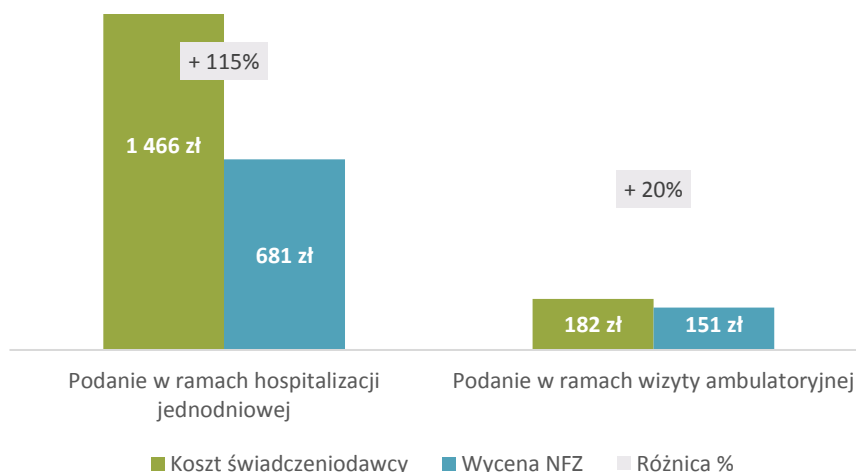


Wykres 8. Koszt zaangażowania personelu w perspektywie świadczeniodawcy – wariant 2



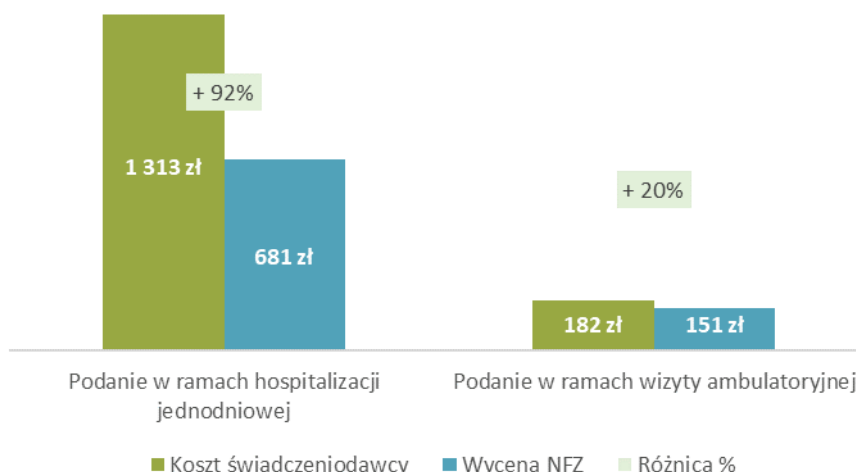
Dla wariantu 1, koszty podania leku z perspektywy świadczeniodawcy (Wykres 9) dla obu trybów podania są wyższe niż wycena NFZ. Dla podania w ramach hospitalizacji jednodniowej koszty poniesione przez świadczeniodawcę są wyższe o 784 zł w porównaniu do wyceny NFZ, natomiast dla podania leku w ramach wizyty ambulatoryjnej różnica ta jest równa 31 zł.

Wykres 9. Porównanie kosztów podania leku z perspektywy świadczeniodawcy i NFZ – wariant 1



Podobnie dla wariantu 2, koszty podania leku z perspektywy świadczeniodawcy (Wykres 10) dla obu trybów podania także są wyższe niż wycena NFZ. Dla podania w ramach hospitalizacji jednodniowej koszty poniesione przez świadczeniodawcę są wyższe o 632 zł w porównaniu do wyceny NFZ, natomiast dla podania leku w ramach wizyty ambulatoryjnej różnica ta jest równa 31 zł.

Wykres 10. Porównanie kosztów podania leku z perspektywy świadczeniodawcy i NFZ – wariant 2



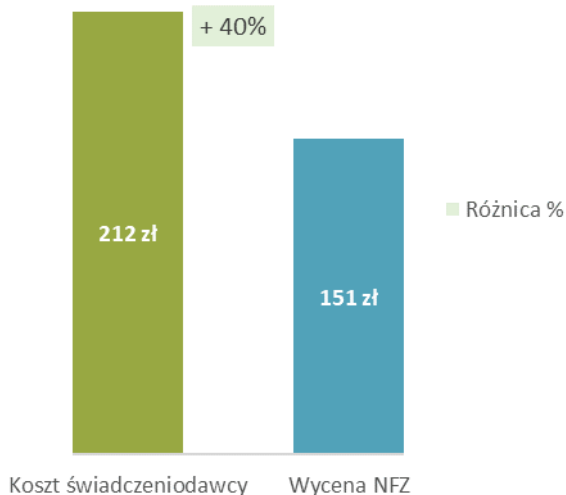
Koszt podania leku w ramach hospitalizacji jednodniowej ponoszony przez świadczeniodawcę jest ponad 8-krotnie (wariant 1) lub 7-krotnie (wariant 2) wyższy od kosztu podania w ramach wizyty ambulatoryjnej. Różnica ta wynika nie tylko z większego kosztu pobytu pacjenta w ośrodku (koszt osobodnia na oddziale vs koszt porady ambulatoryjnej), ale również z większego kosztu zaangażowania personelu. Podanie leku w ramach hospitalizacji jednodniowej jest również związane z wyższymi wydatkami świadczeniodawcy nieskompensowanymi przez wycenę NFZ (różnica procentowa = 115% i 92% odpowiednio dla wariantu 1 i 2).

Wydanie leku pacjentowi do domu

Koszt wydania leku z perspektywy świadczeniodawcy obejmował koszt zaangażowania personelu w wydanie leku oraz koszt porady ambulatoryjnej, natomiast koszt z perspektywy NFZ jest równy przyjęciu pacjenta w trybie ambulatoryjnym związanym z wykonaniem programu.

Koszt wydania leku pacjentowi do domu (Wykres 11) z perspektywy świadczeniodawcy jest wyższy o 61 zł od kosztów perspektywy NFZ (identyczne dla obu wariantów analizy)

Wykres 11. Koszt wydania leku do domu z perspektywy świadczeniodawcy i NFZ – wariant 1 i 2



Koszt wydania leku pacjentowi do domu w ramach wizyty ambulatoryjnej jest wyższy od kosztu podania leku w ramach wizyty ambulatoryjnej (212 zł vs. 182 zł), ponieważ wydanie leku wiąże się z wyższymi kosztami zaangażowania personelu: pacjent lub jego opiekun, według opisu programu lekowego powinni być odpowiednio poinstruowani przez personel medyczny w zakresie podania leku. Należy podkreślić, że jest to perspektywa pojedynczego wydania/podania leku, w dłuższej perspektywie (np. wydania leku do domu na 3 podania) koszt wydania leku będzie niższy niż koszt podać leku w tym okresie.

Podsumowanie

Z wyników badania ankietowego przeprowadzonego w trzech szpitalach, które łącznie leczyły 219 pacjentów w ramach programu lekowego B.44 Leczenia chorych z ciężką postacią astmy, można wyciągnąć kilka ważnych wniosków:

1. Diagnostyka w programie lekowym

W obszarze diagnostyki koszty poniesione przez świadczeniodawcę dla pierwszego roku leczenia były wyższe od wyceny NFZ o 110-135% (wariant 1) i 15-42% (wariant 2), natomiast dla kolejnych lat leczenia koszt z perspektywy świadczeniodawcy był wyższy od wyceny NFZ o 31% dla wariantu 1 i niższy od wyceny NFZ dla wariantu 2. Wyższe koszty świadczeniodawcy w pierwszym roku leczenia w porównaniu do kolejnych lat leczenia wynikają z wysokich kosztów badań kwalifikujących do programu oraz większej liczby badań monitorujących (2 badania w 1. roku leczenia i 1 badanie w kolejnych latach). Mając na uwadze wprowadzenie nowej substancji (dupilumabu) do programu w maju 2022 spodziewany jest wzrost liczby pacjentów nowo włączonych do programu. Będzie to związane z wyższymi kosztami ponoszonymi przez świadczeniodawców (więcej pacjentów w 1. roku leczenia).

2. Podanie leku

Wydatki świadczeniodawcy w obszarze podania leku są wyższe od wyceny NFZ, odpowiednio o 115% (wariant 1) i 92% (wariant 2) dla trybu podania w ramach hospitalizacji jednodniowej oraz o 20% dla trybu podania w ramach wizyty ambulatoryjnej (oba warianty). Podanie leku w ramach hospitalizacji jest ponad 8-krotnie droższe niż podanie leku w ramach wizyty ambulatoryjnej (1 466 zł vs. 182 zł) w wariantcie 1, natomiast w wariantcie 2 – ponad 7 krotnie (1 313 zł vs. 182 zł). Wynika to nie tylko z wyższych kosztów hospitalizacji niż porady ambulatoryjnej, ale również z wyższych kosztów zaangażowania personelu w podanie w ramach hospitalizacji jednodniowej, niż w ramach wizyty ambulatoryjnej.

3. Wydanie leku pacjentowi do domu

W obszarze wydania leku (w ramach wizyty ambulatoryjnej) koszt świadczeniodawcy był wyższy o 40% od kosztów z perspektywy NFZ. Koszt pojedynczego wydania leku pacjentowi ponoszony przez świadczeniodawcę był również wyższy niż koszt 1 podania leku w trybie ambulatoryjnym (212,50 zł vs 181,93 zł). Wynika to z większego zaangażowania personelu medycznego (pacjent lub jego opiekun, według opisu programu lekowego powinni być odpowiednio poinstruowani przez personel medyczny w zakresie podania leku). Koszt wydania leku pacjentowi do domu może być niższy od kosztu podania leku w dłuższej perspektywie (np. wydanie leku na kilka podań). Wówczas koszt pojedynczego wydania leku byłby niższy od kosztu kilku podań leku w ramach wizyt ambulatoryjnych. Wydanie leku pacjentowi do domu jest również korzystne z perspektywy pacjenta – oszczędność czasu, wynikająca z minimalizacji wizyt w ośrodku.

Wnioski te wskazują na potrzebę zmiany finansowania a także monitorowania kosztów i efektywnego zarządzania środkami finansowymi w ramach programu lekowego B.44, aby zoptymalizować dostępność leczenia dla pacjentów z ciężką postacią astmy oraz zapewnić zrównoważony budżet dla szpitali realizujących ten program. Koszty ponoszone przez świadczeniodawców nie są w pełni pokrywane przez wycenę płatnika publicznego, co powoduje konieczność wykonywania innych świadczeń z lepszą wyceną aby zrekompensować ponoszone straty przez szpitale. Wpływa to na odbiór programów lekowych jako nieopłacalnych świadczeń przez szpitale i przekłada się na mniejszą liczbę pacjentów leczonych w ich ramach. Bez zmian w finansowaniu tego rodzaju świadczenia, wzrost liczby chorych z ciężką postacią astmy będzie niewielki.

Rozdział 11.

PROPOZYCJE ZMIAN W FINANSOWANIU PROGRAMU B.44

W ramach analizy zidentyfikowano dwie możliwości zmiany finansowania świadczeń w ramach programu lekowego B.44, które mogą zostać wprowadzone:

- 1) **Możliwość rozliczania nowego świadczenia związanego z wykonaniem programu** – w innych programach lekowych oferujących leki biologiczne (PL B.33, B.35, B.36, B.47, B.82 i B.135) dostępne jest świadczenie o kodzie 5.08.07.0000026: „przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu”. Jest ono rozliczane raz na 3 miesiące u pacjentów, u których po kompleksowej ocenie stanu zdrowia możliwe jest wyznaczenie kolejnego terminu wizyty za 3 m-ce. Wycena NFZ tego świadczenia jest równa 324,48 punktów. Świadczenie to mogłoby obejmować pacjentów z programu B.44, którzy mieliby wydawany lek do domu.
- 2) **Zmiana wyceny punktu rozliczeniowego** – dopiero w II kwartale 2022 roku płatnik publiczny zwiększył wycenę punktu (w latach 2017-2021 pozostawał on na niezmiennym poziomie 1 zł), jednak jego wycena nadal jest niewystarczająca, aby zrekompensować koszty świadczeń związanych z programem lekowym ponoszone przez świadczeniodawców. Z tego powodu, przeprowadzona została analiza wskazująca na konsekwencje zwiększenia wyceny punktu rozliczeniowego w kilku wariantach.

W celu określenia konsekwencji wprowadzenia proponowanych rozwiązań, przeprowadzona została analiza całkowitych kosztów NFZ i świadczeniodawców podania leków w programie lekowym B.44

W analizie uwzględniono najnowsze dane: liczbę pacjentów, u których wykonano świadczenia „hospitalizacja jednodniowa związana z wykonaniem programu” i „przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu” oraz liczbę świadczeń przypadających na pacjenta [2022 r.], aktualną wycenę świadczeń oraz aktualną cenę za punkt rozliczeniowy [2023 r.].

Tabela 4. Prognozowane koszty podania leku poniesione przez NFZ i świadczeniodawców w 2023 roku

Tryb podania leku	Liczba pacjentów	Wycena świadczenia NFZ [punkty]	Koszt 1 punktu	Średnia liczba rozliczonych jednostek/pacjenta	Koszt NFZ	Koszt świadczeniodawców
Wariant 1 (dane świadczeniodawcy oszacowane na podstawie średniej ważonej)						
Wizyta ambulatoryjna	562	108,16	1,40 zł	5	438 978 zł	527 420 zł
Hospitalizacja jednodniowa	2 103	486,72	1,40 zł	7	10 050 087 zł	21 615 581 zł

Tryb podania leku	Liczba pacjentów	Wycena świadczenia NFZ [punkty]	Koszt 1 punktu	Średnia liczba rozliczonych jednostek/pacjenta	Koszt NFZ	Koszt świadczeniodawców
Wariant 2 (dane świadczeniodawcy oszacowane na podstawie mediany)						
Wizyta ambulatoryjna	562	108,16	1,40 zł	5	438 978 zł	527 420 zł
Hospitalizacja jednodniowa	2 103	486,72	1,40 zł	7	10 050 087 zł	19 371 632 zł

Zakładając liczbę pacjentów jak w 2022 roku, całkowite prognozowane koszty podania leku poniesione przez świadczeniodawców w 2023 wynoszą 22,1 mln zł w wariantcie 1 oraz 19,9 mln zł w wariantcie 2, natomiast koszty NFZ są równe 10,5 mln zł. Oznacza to, że wydatki świadczeniodawców są wyższe od kosztów refundacji aż o 11,7 mln zł – w wariantcie 1 oraz o 9,4 mln zł w wariantcie 2.

Nieskompensowane wydatki wynikają głównie z wyższych kosztów podania w ramach hospitalizacji jednodniowej. Koszt pojedynczego podania leku w ramach hospitalizacji jednodniowej ponoszony przez świadczeniodawcę jest równy 1 466 zł w wariantcie 1 i 1 313 zł w wariantcie 2, natomiast wycena NFZ tego świadczenia wynosi tylko 681 zł (różnica 785-632 zł). W przypadku podania leku w ramach wizyty ambulatoryjnej różnica ta jest znacznie mniejsza i wynosi 31 zł.

Obecnie w Polsce 79% pacjentów leczonych w programie B.44 ma podawane leki w ramach hospitalizacji jednodniowej, a tylko 21% pacjentów w ramach wizyty ambulatoryjnej. Natomiast w dwóch województwach odsetek pacjentów otrzymujących lek w ramach wizyty ambulatoryjnej jest znacznie wyższy – w województwie małopolskim odsetek ten równy jest 80%. Natomiast wyniki ankiet pokazały, że 45% pacjentów ma podawany lek w ramach wizyty ambulatoryjnej, natomiast 55% korzysta z podania w ramach hospitalizacji jednodniowej.

W ramach tego programu możliwe jest również wydanie leku pacjentowi do domu. W jednym ze szpitali biorącym udział w badaniu ankietowym, który podaje lek w ramach wizyty ambulatoryjnej, ok. 50% pacjentów ma wydawany lek do domu na 3 miesiące. W tej sytuacji świadczeniodawca również ponosi wyższe koszty niż wycena świadczenia przez NFZ (różnica 61 zł).

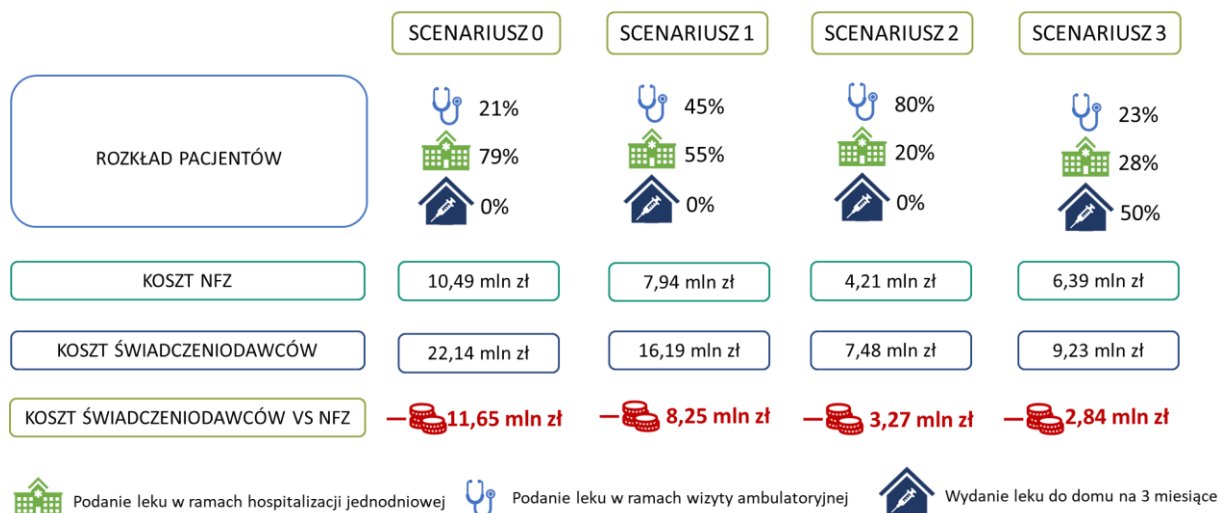
Natomiast, aktualnie nie ma możliwości rozliczenia świadczenia „przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu” w ramach programu lekowego B.44 (koszt świadczenia to 324,48 pkt. x 1,40 zł/pkt = 454,00 zł).

W celu oszacowania kosztów ponoszonych przez NFZ i świadczeniodawców przy różnym rozkładzie pacjentów ze względu na tryb podania leku wykonano analizę 4 scenariuszy. We wszystkich scenariuszach całkowita liczba pacjentów była równa 2 665, a koszt 1 punktu wynosił 1,40 zł. Przyjęto następujące założenia:

- scenariusz 0 – zastosowano obecny rozkład pacjentów (21% ma podanie w ramach wizyty ambulatoryjnej a 79% w ramach hospitalizacji);
- scenariusz 1 – przyjęto rozkład wyznaczony na podstawie wyników ankiet (45% ma podanie w ramach wizyty ambulatoryjnej a 55% w ramach hospitalizacji);
- scenariusz 2 – przyjęto rozkład pacjentów jak w województwie małopolskim (80% ma podanie w ramach wizyty ambulatoryjnej a 20% w ramach hospitalizacji);
- scenariusz 3 – uwzględniono możliwość wydania leku pacjentowi do domu na 3 miesiące w ramach świadczenia „przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu” – u 50% pacjentów zgodnie z wynikami ankiety (23% ma podanie

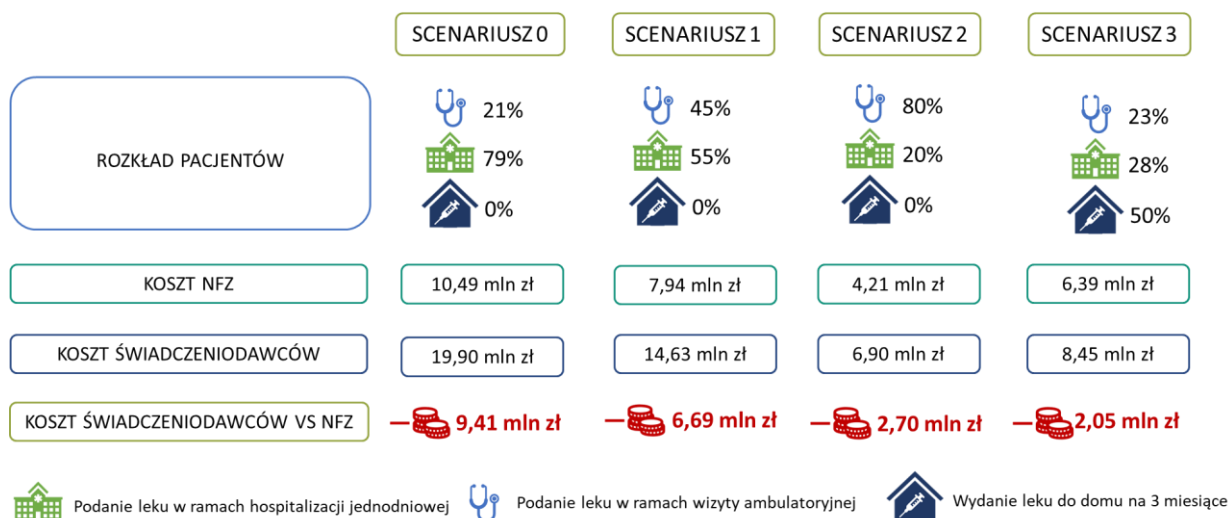
w ramach wizyty ambulatoryjnej i 28% w ramach hospitalizacji), a pozostałe 50% chorych ma wydawany lek do domu.

Rysunek 12. Koszty ponoszone przez NFZ i świadczeniodawców – analiza scenariuszy (wariant 1)



Przy obecnym koszcie punktu (1,40 zł) wydatki świadczeniodawców w wariantcie 1 nie są skompensowane przez NFZ. Jednakże, im większy odsetek pacjentów, którym lek jest podawany w ramach wizyty ambulatoryjnej, tym mniejsze są straty świadczeniodawców. Najbardziej korzystny dla świadczeniodawców jest scenariusz 3, który uwzględnia możliwość wydania leku do domu oraz rozliczenie świadczenia „przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu”, generujący najmniejszą stratę dla placówek medycznych na poziomie 2,84 mln zł.

Rysunek 13. Koszty ponoszone przez NFZ i świadczeniodawców – analiza scenariuszy (wariant 2)



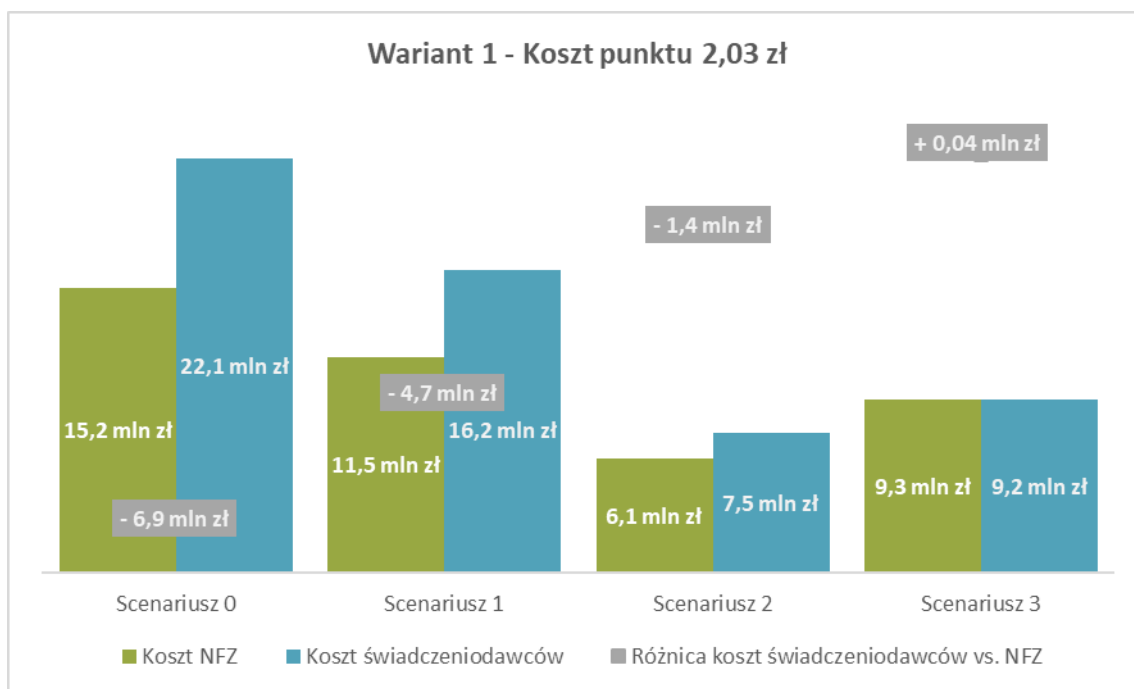
Podobnie ma się sytuacja w wariantcie 2 (Rysunek 13) – także wydatki świadczeniodawców przewyższają wpływy od płatnika publicznego. W tym wariantcie są one nieznacznie niższe, jednakże nadal w najbardziej korzystnym scenariuszu 3 wynoszą ponad 2 mln zł straty.

W celu skompensowania dodatkowych kosztów ponoszonych przez świadczeniodawców w ramach wariantu 1 wyznaczono optymalny koszt 1 punktu i różnicę w stosunku do obecnego kosztu:

- scenariusz 0: 2,96 zł – wzrost o 111%;
- scenariusz 1: 2,86 zł – wzrost o 104%;
- scenariusz 2: 2,49 zł – wzrost o 78%;
- scenariusz 3: 2,03 zł – wzrost o 45%;

Wzrost kosztu punktu do wartości optymalnej wiąże się również ze zwiększeniem kosztów ponoszonych przez NFZ. W scenariuszu 3, przy podniesieniu koszu 1 punktu do 2,03 zł koszty świadczeniodawcy będą skompensowane przez wycenę NFZ, natomiast dla pozostałych scenariuszy analizy straty świadczeniodawcy znacznie się zmniejszą (wariant 1).

Wykres 12. Całkowite koszty podania leku w scenariuszach analizy przy koszcie 1 punkt = 2,03 zł – wariant 1

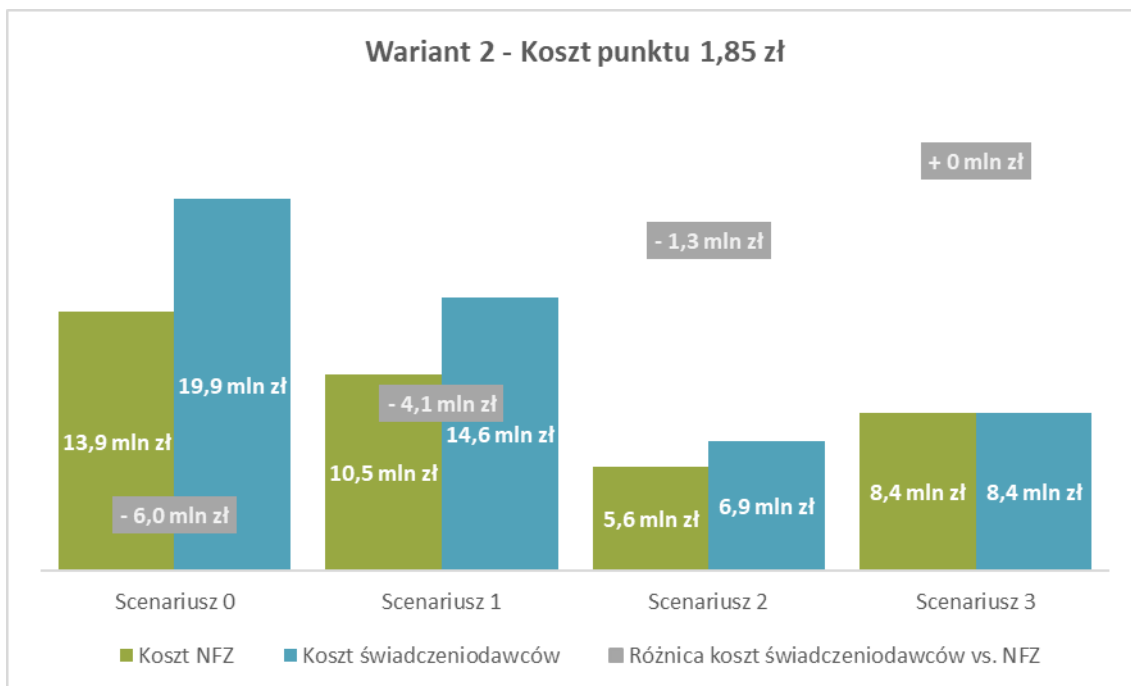


Także dla wariantu 2 wyznaczono optymalny koszt 1 punktu oraz różnicę w stosunku do obecnego kosztu w celu skompensowania dodatkowych kosztów ponoszonych przez świadczeniodawców:

- scenariusz 0: 2,66 zł – wzrost o 90%;
- scenariusz 1: 2,58 zł – wzrost o 84%;
- scenariusz 2: 2,30 zł – wzrost o 64%;
- scenariusz 3: 1,85 zł – wzrost o 32%;

Dla wariantu 2, w przypadku najbardziej korzystnego scenariusza 3, przy podniesieniu 1 punktu do 1,85 zł koszty świadczeniodawcy będą skompensowane przez wycenę NFZ, natomiast dla pozostałych scenariuszy analizy straty świadczeniodawcy znacznie się zmniejszą.

Wykres 13. Całkowite koszty podania leku w scenariuszach analizy przy koszcie 1 punkt = 1,85 zł – wariant 2



Podsumowanie

Aby zminimalizować koszty ponoszone zarówno przez NFZ, jak i przez świadczeniodawców związane z podaniem leku rekomenduje się umożliwienie rozliczania świadczenia „przyjęcie pacjenta raz na 3 miesiące w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu” w ramach programu lekowego B.44. Wprowadzenie tego świadczenia w programie lekowym B.44 zachęci świadczeniodawców do wydawania leku pacjentowi do domu. Oprócz zmniejszenia kosztów NFZ i świadczeniodawców wydawanie leku pacjentowi do domu przyczyni się również do zmniejszenia liczby wizyt pacjenta w ośrodku, co wpłynie na poprawę jakości życia chorych oraz poprawi przepustowość szpitali.

Ponadto, zwiększenie liczby pacjentów, którym podaje się lek w ramach wizyt ambulatoryjnych przyczynia się do zmniejszenia strat świadczeniodawców z powodu realizacji świadczeń związanych z wykonaniem programu lekowego B.44.

Drugim proponowanym rozwiązaniem jest zwiększenie kosztu 1 punktu w celu skompensowania wydatków świadczeniodawców. W przypadku najbardziej korzystnego scenariusza 3, wzrost kosztu punktu do poziomu 2,03 zł (wariant 1) lub 1,85 zł (wariant 2) powoduje pokrycie w całości wydatków świadczeniodawców poprzez NFZ, jednak wiąże się to z dodatkowymi wydatkami płatnika – 2,84 mln zł dla wariantu 1 i 2,05 mln zł dla wariantu 2.

Rozdział 12.

WNIOSKI I REKOMENDACJE

Programy lekowe stanowią ważne narzędzie w systemie opieki zdrowotnej, umożliwiając pacjentom dostęp do innowacyjnych i kosztownych leków, których nie byłoby w stanie samodzielnie sfinansować. Wskazuje się jednak wiele ograniczeń, które wpływają na funkcjonowanie programów lekowych w Polsce. Do głównych barier należy zaliczyć niewystarczającą wycenę świadczeń związanych z wykonaniem programu, które są jedynym realnym przychodem podmiotów leczniczych decydujących się na realizację przedmiotowej formy leczenia pacjentów o najcięższym przebiegu choroby, nowoczesnymi i jednocześnie jednymi z najbardziej kosztochłonnych produktów leczniczych.

Barierami organizacyjnymi prowadzenia programów lekowych oraz systemu finansowania leków w tychże programach powodują, że zwiększa się czas oczekiwania na kwalifikację do programu lekowego. Przeprowadzanie konkursów na realizację programów lekowych, publikacja zarządzeń Prezesa NFZ regulujących działanie programów lekowych z dużym opóźnieniem w stosunku do wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej skutkują nawet trzymiesięcznym odroczeniem kwalifikacji do nowego programu bądź nowej substancji czynnej w istniejącym już programie lekowym. Limitowanie świadczeń towarzyszących⁴ wykonaniu programu i finansowanie „nadwykonań” nawet do pół roku po ich wykonaniu, może w znacznym stopniu ograniczyć gotowość świadczeniodawców do leczenia większej liczby pacjentów niżby to wynikało z kwoty zawartego kontraktu.

Program lekowy B.44 stanowi ważne wsparcie dla pacjentów z ciężką postacią astmy, umożliwiając im dostęp do nowoczesnych i kosztownych leków, które mogą znacząco poprawić jakość życia i kontrolę nad chorobą. Jednakże jak pokazuje niniejsza analiza leczenie pacjentów z ciężką postacią astmy w Polsce nadal wymaga optymalizacji.

Poniżej zestawiono główne wnioski wynikające z analizy kluczowych elementów wpływających na realizację programu lekowego *B.44 Leczenia pacjentów z ciężką postacią astmy* oraz podjęto próbę przedstawienia rekomendacji, których wdrożenie ma na celu poprawę dostępności pacjentów do programu lekowego B.44, uatrakcyjnienie prowadzenia przedmiotowego programu poprzez zaproponowanie wycen świadczeń na poziomie odpowiadającym kosztom ponoszonym przez świadczeniodawców oraz zaproponowanie rozwiązań mających na celu minimalizację wydatków NFZ, poprzez promocję podania leków biologicznych w warunkach domowych lub ambulatoryjnie.

1. Pacjenci nie mają równego dostępu do leczenia lub mają ten dostęp utrudniony.

W celu poprawy dostępu do terapii oraz zoptymalizowania kosztów NFZ, warto rozwijać w sposób kontrolowany możliwość samodzielnego podawania terapii w domu pacjenta. Jeżeli natomiast podanie w warunkach domowych nie jest wskazane (brak zgody pacjenta lub lekarza prowadzącego) należy zaproponować odpowiednią wycenę, aby realizacja świadczeń towarzyszących w trybie ambulatoryjnym była bardziej opłacalna dla placówek medycznych niż hospitalizacja.

⁴ Hospitalizacja lub hospitalizacja jednego dnia związana z wykonaniem programu lekowego, oraz przyjęcia pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu, diagnostyka w programie leczenia ciężkiej postaci astmy

Dla pacjentów, którzy w porozumieniu z lekarzem prowadzącym zdecydują się na kontynuację leczenia w warunkach domowych rekomenduje się utworzenie nowego świadczenia na wzór świadczenia dla chorób autoimmunologicznych. Do dyskusji pozostaje ustalenie na jaki okres lek byłby wydawany i czy zależałoby to od stosowanej substancji czynnej. Jeśli nie byłoby przeciwwskazań to docelowo częstość wizyt w ośrodku ustalić można zgodnie z wizytami kontrolnymi – co 4 miesiące. Dodatkowym wsparciem dla pacjentów, zwłaszcza w początkowym okresie wdrażania podawania leku w warunkach domowych, byłoby zapewne możliwość kontaktu on-line z lekarzem prowadzącym. Zachętą dla świadczeniodawcy byłoby utworzenie świadczenia, w ramach którego byłaby możliwość rozliczenia porady on-line z ograniczeniem czasu jej realizacji do pierwszego roku terapii. Zakładając, że ten okres byłby wystarczający do przeszkolenia pacjenta w samodzielnym podaniu leku oraz zapewniałby odpowiednią opiekę na chorym, wzmocnił pewność siebie pacjentów a lekarzom dawałby kontrolę nad przestrzeganiem schematu dawkowania i ewentualnymi działaniami niepożądanymi.

Przy decyzji o podaniu leków biologicznych w ośrodku oraz gdy nie ma wskazań do hospitalizacji pacjenta (np. wystąpiły u niego działania niepożądane podczas wcześniejszych aplikacji leku) rekomenduje się utworzenie nowego świadczenia przypisanego dla programu B.44 i wycenionego wyżej niż standardowe świadczenie: przyjęcia pacjenta w trybie ambulatoryjnym związanego z wykonaniem programu. Przewiduje się, że większa wycena a co za tym idzie minimalizacja ewentualnych strat ekonomicznych zmotywują placówki medyczne do realizacji świadczeń w trybie ambulatoryjnym zamiast hospitalizacji. Realizacja świadczeń w trybie ambulatoryjnym powinna być rozwiązaniem promowanym zarówno przez świadczeniodawcę, jak i płatnika publicznego, aby w przyszłości stać się podstawowym świadczeniem udzielanym w ramach programów lekowych.

2. Aktualna wycena NFZ niewspółmierna z kosztami świadczeniodawcy może obecnie działać w sposób zniechęcający do prowadzenia programu lekowego oraz kwalifikacji nowych pacjentów.

Aby zapewnić pacjentom lepszy dostęp do leczenia należy zachęcić szpitale do realizacji programu lekowego B.44 poprzez wprowadzenie nowego świadczenia, które zmniejszy liczbę wizyt pacjenta w placówce, natomiast płatnik powinien utrzymać podnoszenie wyceny punktu rozliczeniowego.

W związku z nieskompensowanymi wydatkami świadczeniodawcy związanymi z wykonywaniem programu lekowego B.44, ważne jest aby punkt rozliczeniowy, od którego zależy wysokość rekompensaty za udzielane świadczenia nadal rósł, gdyż obecnie nie pozwala on na pokrycie całkowitych kosztów ponoszonych przez świadczeniodawców.

Z przeprowadzonej analizy wynika, że częstsze podawanie leku w ramach wizyt ambulatoryjnych przekłada się na mniejszą stratę finansową szpitala realizującego program B.44. Natomiast najbardziej korzystne rozwiązanie to wprowadzenie świadczenia podania leku w ramach wizyty ambulatoryjnej raz na 3 miesiące, która jest lepiej wyceniona niż zwykła wizyta ambulatoryjna i przekłada się na najmniejsze straty świadczeniodawców, jednak nadal nie pokrywa w całości wydatków na świadczenia związane z wykonaniem programu.

3. Pomimo funkcjonowania programu lekowego od 2012 r. nadal większość pacjentów pozostaje nieleczonych. Jest to z jednej strony spowodowane problemami w diagnozowaniu astmy, a z drugiej strony wąskimi kryteriami włączenia do programu.

Aby poprawić dostępność do leczenia w programie lekowym B.44 należy rozważyć zmianę modelu organizacji ochrony zdrowia w Polsce.

Rekomenduje się zorganizowanie leczenia astmy na poziomie krajowym, a także wdrożenie rozwiązań informatycznych, które będą wsparciem w zarządzaniu chorobą zgodnie z wytycznymi GINA. Rekomenduje się również zwiększenie wiedzy i świadomości na temat leczenia biologicznego u chorych z ciężką postacią astmy wśród lekarzy POZ, aby mogli odpowiednio wcześniej skierować pacjenta z rozpoznaniem choroby do specjalisty (alergologa, pulmonologa).

4. *Obecnie kobiety w ciąży nie mają możliwości kontynuacji leczenia w ramach programu lekowego.*

Proponuje się przyjęcie większej elastyczności w zapisach programu lekowego, pozwalających w uzasadnionych przypadkach dopuszczenie kontynuacji terapii u pacjentek leczonych przed zajściem w ciążę.

Zgodnie z globalnymi wytycznymi postępowania w astmie decyzja o ewentualnym kontynuowaniu terapii powinna być każdorazowo podejmowana indywidualnie po rozmowie z pacjentką i ocenie przewagi potencjalnego ryzyka wynikającego z leczenia biologicznego w trakcie ciąży nad ryzykiem pogorszenia stanu zdrowia matki lub dziecka spowodowanego ciężką postacią astmy.

Podsumowując, program lekowy B.44 przynosi korzyści pacjentom z ciężką astmą, ale wymaga skutecznego zarządzania kosztami i efektywnością leczenia. Dla pacjentów jest to szansa na lepszą kontrolę nad chorobą i poprawę jakości życia a dla świadczeniodawców (szpitali) i NFZ istotnym aspektem jest optymalizacja procesów oraz zapewnienie dostępności skutecznej terapii dla pacjentów.

Rozdział 13.

BIBLIOGRAFIA

1. Obwieszczenia Ministra Zdrowia - lista leków refundowanych. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekow-refundowanych> (dostęp 20.07.2023)
2. Uchwały Rady NFZ w sprawie przyjęcia rocznego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia. <https://www.nfz.gov.pl/zarządzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/> (dostęp 12.07.2023)
3. Raport refundacyjny. Wielkość kwoty refundacji i pozostałych parametrów określonych w ustawie leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych za styczeń–grudzień 2022 r. <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8350.html> (dostęp 21.07.2023)
4. Zarządzenie nr 53/2017/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 19 lipca 2017 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe).
5. I. Kupryś-Lipińska, P. Majak, J. Molinska, P. Kuna, Effectiveness of the Polish program for the treatment of severe allergic asthma with omalizumab: a single-center experience. *BMC Pulmonary Medicine* (2016)
6. A. Kucharczyk, E. Więsik-Szewczyk, A. Poznańska, K. Jahnz-Różyk, Clinical Determinants of Successful Omalizumab Therapy in Severe Allergic Asthma Patients: 4-Year- Long, Real-Life Observation. *Journal of Asthma and Allergy*, , 659-668
7. MacDonald KM, Kavati A, Ortiz B, Alhossan A, Lee CS, Abraham I. Short- and long-term real-world effectiveness of omalizumab in severe allergic asthma: systematic review of 42 studies published 2008-2018. *Expert Rev Clin Immunol*. 2019;15(5):553–569
8. Główny Urząd Statystyczny. Rocznik Demograficzny 2022. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2022,3,16.html> (dostęp 21.07.2023).
9. NFZ o zdrowiu. Astma. Dane NFZ. <https://ezdrowie.gov.pl/portal/home/badania-i-dane/zdrowe-dane/raporty/nfz-o-zdrowiu-astma> (dostęp 03.08.2023).
10. Dąbrowiecki P, Gałązka-Sobotka M, Gierczyński J, Gryglewicz J, Karczewicz E, Kuna P, Kupczyk M, Zalewska H. (2021) Astma oskrzelowa - nowy model zarządzania chorobą nakierowany na wzrost wartości zdrowotnej. Instytut Zarządzania w Ochronie Zdrowia.
11. Astma – właściwa kontrola i opieka nad chorymi to wciąż wyzwanie. <https://www.pap.pl/mediaroom/1566816%2Castma-wlasciwa-kontrola-i-opieka-nad-chorymi-wciaz-wyzwanie.html> (dostęp 21.07.2023).
12. Global Strategy for Asthma Management and Prevention (2023 update).
13. Wang E, MD, MPH, Michael E. Wechsler, et al. Characterization of Severe Asthma Worldwide. *Chest*. 2020 Apr;157(4):790-804.
14. Jacson D, Busby J, Pfeffer E P, et al. Characterisation of patients with severe asthma in the UK Severe Asthma Registry in the biologic era. *Thorax*. 2021 Mar;76(3):220-227.
15. Charriot J, Maravic M, Vachier I, et al. "Real-life" management of patients with severe asthma in the biologics era: Can we do better? *World Allergy Organ J*. 2021 Mar 18;14(4):100528.
16. Domingo C, Sicras-Mainar A, Sicras-Navarro A, et al. Prevalence, T2-biomarkers and cost of severe asthma in the era of biologics: The BRAVO-1 study. *J Investig Allergol Clin Immunol*. 2022 Nov 22;0.
17. Stajszczyk M, Obarska I, Dostępność terapii i świadczeń w programach lekowych w chorobach autoimmunologicznych. Healthcare system Navigator Sp. Z o.o., Warszawa, wrzesień 2021 r.
18. Portal poradnikzdrowie.pl (2020): Leczenie biologiczne astmy ciężkiej - szansa dla chorych. <https://www.poradnikzdrowie.pl/zdrowie/uklad-oddechowy/leczenie-biologiczne-astmy-ciezkiej-szansa-dla-chorych-aa-C6DE-AJoR-XaTR.html> (dostęp 21.09.2023)
19. Portal cowzdrowiu.pl (2022). Prof. M.Kupczyk: personalizacja leczenia-klucz do kontrolowania astmy. <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/prof-mkupczyk-personalizacja-leczenia-klucz-do-kontrolowania-astmy> (dostęp 21.09.2023)

20. Portal Termedia (2013). Program lekowy dla chorych na ciężką astmę alergiczną dostępny dla pacjentów w 38 ośrodkach w Polsce. <https://www.termedia.pl/mz/Program-lekowy-dla-chorych-na-naciezka-astme-alergiczna-dostepny-dla-pacjentow-w-38-osrodkach-w-Polsce,9485.html> (dostęp 21.09.2023)
21. Rogala B, Kupczyk M, Bochenek G, Śliwiński P, et al., Terapia biologiczna astmy – stanowisko Polskiego Towarzystwa Alergologicznego (PTA) i Polskiego Towarzystwa Chorób Płuc (PTChP). *Alergologia Polska – Polish Journal of Allergology* 2020; 7, 2: 64–80
22. Charakterystyka Produktu Leczniczego Nucala (mepolizumab).
23. Damiński P., Podolska D., Kuna P., Kupczyk M., Clinical profiles of patients referred for biological therapy and major limitations in the qualification paths in a specialist asthma centre. *Postępy Dermatol Alergol.* 2023 Feb; 40(1):93-101.
24. Dorscheid Delbert R., Lee Jason K., Ramesh Warren, Greenwald Mark, Del Caprio Jaime, Guidance for Administering Biologics for Severe Asthma and Allergic Conditions. *Canadian Respiratory Journal*, Volume 2022
25. Rynek Zdrowia.pl (2022). Astma. "Co z tego, że mamy nowoczesne leki, jeśli nie umiemy z nich korzystać". <https://www.rynekzdrowia.pl/Serwis-Choroby-Pluc/Astma-Co-z-tego-ze-mamy-nowoczesne-leki-jesli-nie-umiemy-z-nich-korzystac,233440,1022.html> (dostęp 21.07.2023).
26. Frix A-N, Heaney LG, Dahlén B, et al. Heterogeneity in the use of biologics for severe asthma in Europe: a SHARP ERS study. *ERJ Open Res* 2022; 8: 00273-2022.
27. Rekomendacja nr 99/2018 z dnia 24 października 2018 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie objęcia refundacją produktów leczniczych: Cinqero (reslizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 10 mg/ml, 1 fiol. 10 ml; Cinqero (reslizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 10 mg/ml, 1 fiol. 2,5 ml, w ramach programu lekowego: „Leczenie reslizumabem ciężkiej eozynofilowej astmy u dorosłych (ICD-10 J.82)”.
28. Portal Prawo.pl Szpitale podają leki i się zadłużają. <https://www.prawo.pl/zdrowie/program-lekowy-a-plynnosc-finansowa-szpitali,289572.html> (dostęp 20.07.2023)
29. Portal CowZdrowiu.pl (2023). Programy lekowe: koncentracja czy dekoncentracja? <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/programy-lekowe-koncentracja-czy-dekoncentracja> (dostęp 10.07.2023)
30. Portal IBSzdrowie.pl (2019). Eksperti: programy lekowe są niedoszacowane. <https://www.isbzdrowie.pl/2019/09/eksperti-programy-lekowe-sa-niedoszacowane/> (dostęp 10.07.2023)
31. Portal Medexpress.pl (2018). SM: Jak to jest z pieniędzmi na programy lekowe? <https://www.medexpress.pl/tv/sm-jak-to-jest-z-pieniedzmi-na-programy-lekowe-72443/> (dostęp 10.07.2023)
32. Portal Medexpress.pl (2019). Pozorne programy lekowe. <https://www.medexpress.pl/blogosfera/pozorne-programy-lekowe-73521/> (dostęp 10.07.2023)
33. Portal Puls Medycyny (2020). Czy programy lekowe są skuteczne? Eksperti wskazują kierunki zmian. <https://pulsmedycyny.pl/czy-programy-lekowe-sa-skuteczne-eksperti-wskazuja-kierunki-zmian-1168934> (dostęp 02.08.2023)
34. Portal CowZdrowiu.pl (2020). A. Fałek: Nie potrzebujemy konkursów na programy lekowe. <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/a-falek-nie-potrzebujemy-konkursow-na-programy-lekowe> (dostęp 10.07.2023)
35. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych. Dz. U. 2004 Nr 210 poz. 2135 z późn. zm.
36. Termedia (2023). O dostępie do programów lekowych nie może decydować kod pocztowy; <https://www.termedia.pl/mz/O-dostepie-do-programow-lekowych-nie-moze-decydowac-kod-pocztowy,52294.html> (dostęp 02.08.2023)
37. Rekomendacje skrócenia procesu udostępniania leku pacjentom w programach lekowych od chwili decyzji administracyjnej do faktycznego zastosowania produktu leczniczego; dr hab. n. o zdr. prof. Uczelni Andrzej Śliwczyński
38. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 21 października 2020 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 listopada 2020 r.

39. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 czerwca 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2023 r.
40. Guarneri G, Caminati M, Achille A, Vaia R, Chieco Bianchi F, Senna G, Vianello A. Severe Asthma, Telemedicine, and Self-Administered Therapy: Listening First to the Patient *J. Clin. Med.* 2022, 11(4), 960. <https://www.mdpi.com/2077-0383/11/4/960/htm> (dostęp 20.07.2023)
41. Sousa S, Tenda A, Farinha I, Carvalho A, Chaves Loureiro C. Home administration of biological treatment in severe asthma in real-life experience: impact on asthma control and quality of life; Doi 10.23822/EurAnnACI.1764-1489.248 <http://www.eurannallergyimm.com/cont/journals-articles/1173/volume-home-administration-biological-treatment-severe-5120allasp1.pdf> (dostęp 20.07.2023)
42. Flokstra-de Blok B, Kocks J, Wouters H, Arling C, Chatelier J, Douglass J, Heaney L. G, Holmes J, Humbert M, Kolanowski M, Landsman J. J. A, Lugogo N, Malpass A, Meijer J, Metz B, de Mul B, Postma F, Leving M. Perceptions on Home-Administration of Biologics in the Context of Severe Asthma: An International Qualitative Study; https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2213219822003634?ref=pdf_download&fr=RR-2&rr=7e9aaf8a0f37fc63 (dostęp 20.07.2023)
43. Mapy potrzeb zdrowotnych. Analizy. Programy lekowe. <https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/programy-lekowe/> (dostęp 20.07.2023)