



Обращение к компетентным органам государств-членов ЕС по вопросам установления цен и возмещения расходов на разработку и производство медицинских препаратов с призывом о поддержке следующих инициатив:

- 1. Организация переговорной группы по согласованию цен на медицинские препараты в государствах-членах ЕС**
- 2. Форсирование процесса реализации пилотных проектов по более раннему началу диалога между финансирующими организациями и разработчиками**

Мы обращаемся к Вам от имени и по поручению **EURORDIS** ⁽¹⁾ (**Европейской организации по редким заболеваниям**) и **EPF** ⁽²⁾ (**Европейского форума пациентов**) для привлечения Вашего внимания к проблеме необходимости создания новых механизмов повышения доступности медицинских препаратов для пациентов в разных странах Европы и решения проблем, связанных с обеспечением устойчивого развития национальных систем здравоохранения ⁽³⁾.

Обсуждения, которые в течение последних лет проводились с участием заинтересованных сторон в рамках заседаний Рабочей группы «Повышение доступности орфанных медицинских препаратов» (ОМП), для пациентов в Европе на Фармацевтическом форуме ЕС ⁽⁴⁾, а так же Высшей Европейской группы по корпоративной ответственности в области Фармацевтики(ОМП), а именно Рабочей группы по оптимизации механизмов скоординированного доступа к орфанным препаратам (MoCA) ⁽⁵⁾ способствовали возникновению новой культуры диалога. Ход процесса по формированию механизма скоординированного доступа к орфанным медицинским препаратам (MoCA) дает надежду на реальность решения задачи по повышению доступности ОМП.

⁽¹⁾ www.eurordis.org

⁽²⁾ <http://www.eu-patient.eu/>

⁽³⁾ Shining a light in the black box of orphan drug pricing (Некоторые секреты формирования цен на орфанные препараты) Picavet E, Morel T, Cassiman D, Simoens S. Orphanet J Rare Dis. 2014 Apr 27;9:62. doi: 10.1186/1750-1172-9-62.

Market watch: Are orphan drug companies the pick of the pharmaceutical industry? (Анализ рынка: являются ли компании, производящие орфанные препараты, элитой фармацевтической промышленности?) Morel T, Pora C, Simoens S. Nat Rev Drug Discov. 2014 Jan;13(1):10. doi: 10.1038/nrd4205. Тезисы не представлены.

Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries. (Как увязать неопределенность в отношении расходов и результатов с необходимостью обеспечения доступности орфанных медицинских препаратов: сопоставительный анализ соглашений об управляемом выводе препаратов на рынок в семи европейских странах) Morel T, Arickx F, Befrits G, Siviero P, van der Meijden C, Hoxi E, Simoens S. Orphanet J Rare Dis. 2013 Dec 24;8:198.

Cost-effectiveness assessment of orphan drugs: a scientific and political conundrum. (Оценка эффективности затрат на производство орфанных препаратов: научный и политический парадокс) Simoens S, Picavet E, Dooms M, Cassiman D, Morel T. Appl Health Econ Health Policy. 2013 Feb;11(1):1-3. doi: 10.1007/s40258-012-0004-y. Тезисы не представлены.

⁽⁴⁾ http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/pharmaforum_final_conclusions_en.pdf

⁽⁵⁾ http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/orphans_report_en.pdf

У орфанных препаратов есть особенности, объединяющие их со средствами для генной и клеточной терапии (лекарственными средствами современной терапии), лекарствами для детей, препаратами направленного действия и инновационными и подчас, дорогостоящими медицинскими продуктами. Все они, как правило, предназначены для малочисленных популяций пациентов, их применение осуществляется под строгим врачебным контролем в стационарных лечебных учреждениях, и поэтому они попадают к пациентам только через узкопрофильных специалистов занимающихся лечением конкретного вида заболевания. Сегодня практически во всех странах ЕС наблюдается тенденция к созданию крупных специализированных медицинских центров. В результате **сбор данных, получаемых как в ходе клинических испытаний новых препаратов, так и постмаркетинговых исследований, проводится одними и теми же специалистами, работающими в таких центрах.**

Принимая во внимание ускоряющийся темп научно-технического прогресса, повышение культуры диалога и появление новых платформ для проведения дискуссии по важнейшим вопросам здравоохранения с участием медиков, пациентов, политиков, представителей фармацевтической промышленности, Европейского агентства по лекарственным средствам, органов, занимающихся оценкой медицинских технологий (ОМТ) и финансирующих организаций, мы обращаемся к соответствующим компетентным национальным органам с призывом поддержать две изложенные ниже инициативы.

Данные инициативы направлены на развитие сотрудничества между компетентными национальными органами, занимающимися вопросами установления справедливой цены и возмещения расходов на разработку и производство медицинских препаратов, с одной стороны, и другими заинтересованными сторонами, с другой стороны, путем осуществления между ними конструктивного диалога. Основной целью такого сотрудничества, наряду с развитием внутреннего рынка фармацевтической продукции, является достижение оптимального баланса между сдерживанием расходов, освоением выпуска инновационных медицинских препаратов и повышением доступности лекарств для пациентов ⁽⁶⁾.

1. Организация инициативной «переговорной группы» по согласованию цен на медицинские препараты из представителей государств-членов ЕС, изъявивших желание войти в ее состав:

Расширение возможностей по использованию результатов научных исследований для разработки новых лекарств, способных удовлетворить нереализованные медицинские потребности пациентов, открывает **отличные перспективы для вывода здравоохранения на качественно новый уровень**. Инновационные медицинские препараты для лечения тяжелых заболеваний, которые до последнего времени считались неизлечимыми, уже начинают появляться на рынке лекарственных препаратов.

Пока бюджетных средств, выделяемых национальным системам здравоохранения, хватает на их приобретение, однако уже сейчас многие страны испытывают **нарастающие трудности, связанные как с высокой стоимостью лечения в пересчете на одного пациента, так и с возросшей нагрузкой на бюджет в целом**. В результате доступность новых препаратов в разных государствах Европы значительно различается. По оценкам специалистов, около 30%

⁽⁶⁾ http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/competitiveness/pricing-reimbursement/index_en.htm

пациентов в странах ЕС лишены возможности приобретать жизненно необходимые орфанные препараты ⁽⁷⁾.

Задача по созданию устойчивых национальных систем здравоохранения во всех странах ЕС требует немедленного решения. Необходимо разработать новую модель организации здравоохранения, которая даст обществу возможность оплачивать стоимость и обеспечивать доступность лекарств, улучшающих состояние пациентов и позволяющих добиваться благоприятных клинических результатов.

Исходя из вышеизложенных фактов, мы призываем компетентные национальные органы создать на уровне ЕС группу для проведения переговоров по согласованию цен на новые лекарства на основании оценки их терапевтической ценности, объема выпуска и анализа данных постмаркетинговых исследований. Работа в рамках такой «переговорной группы» будет способствовать укреплению сотрудничества между фармацевтическими компаниями и финансирующими организациями, что позволит решить задачу по повышению устойчивости национальных систем здравоохранения, а в конечном итоге обеспечить доступность лекарств для пациентов с одновременным повышением результативности лечения. На начальном этапе достаточно будет сформировать инициативную группу из представителей «государств-членов ЕС, изъявивших желание войти в ее состав», и постепенно расширять ее по мере подключения к обсуждению других стран, заинтересованных в выпуске конкретных медицинских препаратов.

Успешная реализация этой новой модели имеет особое значение для достижения прогресса в области лечения редких заболеваний по двум основным причинам:

- Данная модель в первую очередь призвана стимулировать создание препаратов, предназначенных для лечения конкретных заболеваний, поражающих небольшой процент населения, а именно к этой группе относятся орфанные медицинские препараты, лекарства для детей и препараты направленного действия;
- Получение предварительной (условной) регистрации связано с высоким уровнем неопределенности в отношении получения постоянного регистрационного свидетельства, что ставит перед финансирующими организациями ряд проблем.

На сегодняшний день несколько государств-членов ЕС уже сформировали «коалицию желающих», участники которой выразили готовность развивать более тесное сотрудничество в области согласования цен на медицинские препараты с привлечением пациентов, представителей фармацевтической промышленности, компетентных национальных органов, финансирующих организаций и органов, занимающихся оценкой медицинских технологий. По нашим сведениям, пять стран ЕС (Бельгия, выступившая инициатором этой идеи в 2010 году, Нидерланды, Австрия, Италия и Португалия) могли бы войти в состав первоначальной инициативной группы. А затем, по мере появления новых продуктов, к участию в работе «переговорной группы» можно будет привлекать все страны ЕС, заинтересованные в их выпуске. Такой подход означает, что количество и состав участников переговоров будут изменяться в зависимости от обсуждаемых препаратов при постоянном присутствии стран, вошедших в инициативную группу. Это позволит постепенно усовершенствовать переговорные процессы, создать общую культуру диалога и повысить уровень взаимного доверия.

По результатам двусторонних обсуждений, проведенных представителями EURORDIS с руководителями ведущих фармацевтических компаний, мы пришли к выводу, что большинство

⁽⁷⁾ <http://www.eurordis.org/content/survey-patients%E2%80%99-access-orphan-drugs-europe>

компаний заинтересованы в устойчивом производстве продукции для общеевропейского рынка, а не в выпуске небольших партий лекарств на национальном уровне, причем особенно четко эта тенденция проявляется в отношении выпуска орфанных медицинских препаратов. Основным стимулом для производства орфанных препаратов, предусмотренным для фармацевтических компаний в рамках Регламента ЕС по орфанным препаратам, является предоставление им статуса эксклюзивного поставщика на период от 10 до 12 лет, однако при этом **Европейская комиссия не разработала для них механизмов обеспечения реального доступа на общеевропейский рынок**. Большинство переговоров по согласованию цен на медицинские препараты и возмещению расходов на их разработку и производство на уровне отдельных стран ЕС длятся гораздо дольше 180 дней, отведенных на этот процесс в Директиве о прозрачности мер по регулированию цен на продукты медицинского назначения ⁽⁸⁾.

Осуществляемое в рамках ЕС сотрудничество в области согласования цен и вывода препаратов на рынок ускорит их появление в продаже и сделает доступными для пациентов. Это позволит производителям быстрее получать прибыль и окупать свои расходы; обеспечит выпуск определенного объема необходимых лекарств; усилит эффект от их выхода на рынок; а также снизит административные барьеры и упростит структуру переговорного процесса, что приведет к определенному снижению цен. Кроме того, ускорение выхода препаратов на рынок ускорит и оптимизирует проведение постмаркетинговых исследований и позволит раньше выполнить повторную оценку терапевтической ценности препарата.

Реализация данного подхода возможна только при условии признания всеми принимающими участие в переговорном процессе сторонами следующих двух принципов:

- 1) **Обсуждение цен на препараты должно основываться на результатах оценки их терапевтической ценности с обязательным проведением постмаркетингового исследования.** Неукоснительное соблюдение этого принципа имеет особое значение в тех случаях, когда речь идет о лекарствах, предназначенных для применения в регионах с небольшими популяциями пациентов при отсутствии уверенности в отношении долгосрочного эффекта от их использования;
- 2) Все стороны, принимающие участие в переговорном процессе, должны быть готовы к **возможным колебаниям цен** в течение довольно продолжительного периода. Это означает, что после согласования первоначальной цены она может периодически снижаться или вырастать.

2. Обеспечение более раннего начала диалога между финансирующими организациями и производителями

а) путем реализации пилотных проектов MoCA:

Уже более пяти лет назад, в 2010 году, когда Бельгия председательствовала в Европейском Совете, была создана и провела свое первое заседание Рабочая группа (РГ) по оптимизации механизмов скоординированного доступа к орфанным препаратам (MoCA). Группа, появившаяся в рамках реализации Проекта по повышению корпоративной ответственности в области производства лекарственных препаратов, собрала внушительный состав, в который впервые вошли представители органов, занимающихся оценкой медицинских технологий и финансирующих организаций. С тех пор ее заседания проводятся на регулярной основе для рассмотрения и разработки предложений по путям развития добровольного

⁽⁸⁾ http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/transpadir_finalprop01032012_en.pdf

общеввропейского сотрудничества с целью повышения доступности орфанных медицинских препаратов. Два года назад, в апреле 2013 года, Рабочая группа МоСА опубликовала итоговый отчет, в котором прозвучал вывод о том, что усиление сотрудничества и координация усилий обеспечат повышение доступности орфанных препаратов для пациентов. Кроме того, в отчете отмечалось, что определение (добавленной) ценности новых орфанных препаратов является важным условием для повышения их доступности.

Для достижения этой цели Рабочая группа МоСА предложила создать **Прозрачную европейскую структуру для определения ценности медицинских препаратов** в качестве основы для сотрудничества в области **проведения совместной оценки терапевтической ценности орфанных медицинских препаратов** между государствами-членами ЕС и другими заинтересованными лицами. При этом авторы доклада отмечали, что оценка может изменяться с учетом информации, собираемой в течение всего жизненного цикла лекарства.

С самого начала процесс создания МоСА воспринимался как процесс осуществления «раннего диалога», ведущегося на основе добровольного сотрудничества, взаимопонимания и постоянно возрастающего взаимного доверия участвующих в нем сторон. Этот диалог осуществлялся в рамках существующего правового поля и не накладывал на участников юридических обязательств. Предполагалось, что раннее начало диалога в сочетании с расширением сотрудничества должно было способствовать оперативному решению вопросов, связанных с обеспечением дорогостоящих, но жизненно необходимых лекарств для небольших популяций пациентов, остро нуждающихся в лечении при отсутствии уверенности в его благоприятном исходе.

Сегодня все участники процесса формирования механизма скоординированного доступа к орфанным медицинским препаратам считают, что настало время для осуществления новой серии пилотных проектов, на этот раз более структурированных и обеспеченных более надежной поддержкой. Они надеются, что их реализация позволит добиться конкретных результатов и извлечь полезные уроки из полученного опыта. Согласие, достигнутое по основным аспектам создания МоСА, и сформировавшийся зрелый подход нуждаются в подкреплении и развитии за счет осуществления конкретизированных пилотных проектов.

В связи с вышесказанным мы призываем компетентные национальные органы оказать более широкую открытую и гибкую поддержку пилотным проектам, направленным на дальнейшее развитие МоСА, в рамках MEDEV (Группы по оценке лекарственных средств) в соответствии с изначально одобренным планом действий.

б) путем участия представителя финансирующих организаций в параллельных научных консультациях, проводимых ЕМА и органами, занимающимися ОМТ, а также в Раннем общеввропейском диалоге по научным аспектам проведения ОМТ, проходящем в рамках европейской сети ОМТ – EUnetHTA:

Пилотные проекты по проведению параллельных научных консультаций, осуществляемые Европейским агентством по лекарственным средствам ЕМА и органами, занимающимися вопросами оценки медицинских технологий (ОМТ), были впервые запущены в 2010 году. Всего

на текущий момент осуществлено 55 таких проектов. Сегодня они прочно вошли в повседневную практику ⁽⁹⁾. Их инициаторам удалось преодолеть скептическое отношение, сопротивление и недоверие со стороны ведущих игроков, а так же завоевать широкую поддержку ЕМА, Европейской комиссии, всех агентств по оценке медицинских технологий и фармацевтической отрасли в целом. Следующим логическим шагом будет проведение параллельных научных консультаций в рамках ЕМА-EUnetHTA – европейской сети ОМТ, то есть между различными организациями общеевропейского уровня.

Начиная с 2014 года координацией Раннего общеевропейского диалога по научным аспектам проведения ОМТ (SEED) ¹⁰ в рамках сети EUnetHTA занимается HAS (Французский национальный совет по здравоохранению). За год ему удалось осуществить более 20 проектов. Сама сеть EUnetHTA выступила организатором внескольких проектов. Следует отметить, что следующая Программа совместных действий EUnetHTA Joint Action, стартующая в 2016 году, предусматривает ежемесячное осуществление нескольких проектов SEED ⁽¹¹⁾ с участием разработчиков фармацевтической продукции.

К сожалению, представители финансирующих организаций не принимают участия в этих инновационных и успешных ранних диалогах с разработчиками фармацевтической продукции, что в определенной степени ограничивает сферу их воздействия.

Мы призываем компетентные национальные органы принять активное участие в параллельных научных консультациях, осуществляемых Европейским агентством по лекарственным средствам ЕМА и органами, занимающимися вопросами ОМТ, а также присоединиться к Раннему общеевропейскому диалогу по научным аспектам проведения ОМТ, проходящему в рамках европейской сети EUnetHTA. Финансирующие организации могли бы принять в нем участие в рамках MEDEV или инициативной переговорной группы.

В целом, от раннего начала диалога между финансирующими организациями и разработчиками лекарственных препаратов выиграют все стороны. Уже сам факт участия в диалоге даст представителям финансирующих организаций возможность заранее получить широкий спектр информации о разрабатываемом продукте. Они смогут подробнее познакомиться с болезнью, для лечения которой разрабатывается новый препарат, с его характеристиками и показаниями к применению, а также со стратегией компании в отношении составления программы клинических исследований и получения регистрационного свидетельства. Они смогут задать разработчикам все интересующие их вопросы и заблаговременно донести до них свои опасения и ожидания, например, связанные с согласованием приемлемого уровня неопределенности результатов, необходимостью ведения реестра, необходимостью изучения повседневных проблем и потребностей пациентов, оценкой экономической эффективности нового препарата и так далее. Разработчики, в свою очередь, смогут заранее заняться поиском решений, параллельно минимизируя опасения финансовых фондов и позволяющих им предупредить возникновение проблем при проведении клинических испытаний, а также оптимизировать распределение ресурсов.

⁽⁹⁾ http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2014/05/WC500166228.pdf

⁽⁹⁾ <http://www.earlydialogues.eu>

Такой подход является обязательным, когда компания стоит перед необходимостью в конце второго этапа - представить на рынок инновационные продукты, терапевтическая ценность которых подкреплена убедительными, но ограниченными по количеству данными, а долгосрочный эффект не поддается точному определению; он также является неизбежным, когда продукт подлежит предварительной (условной) регистрации, или когда компания регистрирует средство генной или клеточной терапии, для использования которого требуется высокотехнологичное медицинское оборудование, имеющееся всего в нескольких странах. В последнем случае возникает необходимость расчета экономической модели вывода препарата на рынок и определения путей обеспечения его доступности для пациентов.

3. Основные элементы, изучаемые с использованием различных платформ общеевропейского уровня, которые необходимо включить в новую модель:

1) Нужно признать, что в процессе создания лекарств для немногочисленных популяций пациентов сбор данных, подтверждающих их эффективность, происходит постоянно на протяжении всего жизненного цикла препарата. Фактически, данные, собранные в ходе проведения клинических испытаний с участием однородной группы пациентов, отобранных по определенным общим критериям, не отражают реалии использования лекарств в условиях повседневной медицинской практики. В связи с этим возникает необходимость как можно раньше выпустить продукт на рынок (который по определению носит ограниченный характер), то есть сразу же после получения более-менее удовлетворительных доказательств его эффективности на примере хотя бы одной узкой целевой группы пациентов, а затем собирать данные по его применению в повседневной практике для проведения повторной оценки его безопасности/эффективности, выявления более широкой целевой группы пациентов и определения его места в общей стратегии лечения. Все эти шаги помогут определить оптимальную практику его использования.

2) На данном этапе очень важно поддержать подход, основанный на поиске адаптивных путей обеспечения доступности лекарств для пациентов (MAPPs), причем не только на уровне ЕМА (научные консультации и адаптивное лицензирование) и органов, отвечающих за проведение оценки медицинских технологий (НТА) (ранний диалог, составление досье адаптированной базовой ценности лекарств и отчет о проведении совместной оценки государствами-членами ЕС), но и на уровне финансирующих организаций. «Только пациенты имеют законное право определять степень риска или ущерба для здоровья, которую они готовы принять в обмен на конкретное преимущество, предлагаемое новым препаратом. Пациенты лучше всех знают, на какие компромиссы они готовы пойти и чем они готовы рискнуть ради получения предлагаемого лечения» ⁽¹²⁾. Именно поэтому при проведении оценки соотношения рисков и преимуществ, выполняемой Комитетом по лекарственным препаратам для человека (CHMP), необходимо учитывать позицию пациентов в случае неопределенности в отношении долгосрочного эффекта применения того или иного лекарственного средства. Такой подход поможет финансирующим организациям принять информированное решение.

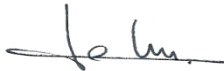
3) Опыт, полученный в процессе работы над созданием механизма скоординированного доступа к орфанным медицинским препаратам, необходимо развить с учетом наблюдаемой в последнее время тенденции по поиску адаптивных путей обеспечения доступности лекарств

⁽¹²⁾ http://static.correofarmaceutico.com/docs/2015/05/05/informe_anual_2014_ema.pdf

для пациентов. В этом контексте **необходимо подчеркнуть важность связи между созданием Группы по согласованию цен на медицинские препараты и сбором посмаркетинговых данных о их эффективности и безопасности. Переговоры по определению справедливой цены на новые препараты, проходящие между финансирующими организациями и производителями при участии экспертов и представителей пациентов, должны проводиться на основании оценки терапевтической ценности** препарата, полученной с использованием таких инструментов, как Европейский отчет по оценке лекарственных препаратов (EPAR), отчеты по оценке медицинских технологий и Прозрачная европейская структура для определения ценности медицинских препаратов. Их участники должны обеспечивать **необходимую степень прозрачности цен** и при принятии решения учитывать предварительную оценку **количества проживающих в Европе пациентов**. При этом решение, принимаемое Переговорной группой, **подлежит последующей корректировке по итогам анализа данных постмаркетингового исследования**. Таким образом, цена на новые препараты в значительной степени зависит от результатов постмаркетингового исследования, а это означает, что она может колебаться после каждой переоценки терапевтической ценности препарата, несколько раз проводимой на протяжении его жизненного цикла. Такой подход требует установления тесного сотрудничества с ЕМА и органами, занимающимися вопросами оценки медицинских технологий, для приведения цены в соответствие с требованиями, вытекающими из результатов постмаркетингового исследования.

Надеюсь, что Вы откликнитесь на наш призыв!

С уважением,



Ианн Ле Кам (Yann Le Cam)
Главный исполнительный директор
EURORDIS – Европейской организации
по редким заболеваниям



Никола Бедлингтон (Nicola Bedlington)
Исполнительный директор
EPF – Европейский форум пациентов