

Att prissätta botande läkemedel och genterapier; hemofili, cystisk fibros, Hepatit C?

Ulf Persson

VD IHE

IHE Forum

2017-09-08, Lund



Genterapi

- Genterapi är en experimentell Teknik som använder gener för att behandla eller förebygga
- Sjukdomar som kan var intressanta för genterapi är: ALS, ALD (adrenoleukodystrophy), cancer, cystisk fibros, epilepsi, hemofili, muskulär dystrofi, Parkinson, transfusionsberoende β -thalassemie (TDT), etc.
- Det är ofta sällsynta sjukdomar (orphan diseases) eller så är målpopulationen en delmängd av de som lider av sjukdomen
- Om genterapin fungerar så kan den leda till "bot" för de som svarar på behandlingen och det är ofta en kort behandlingstid.

Genterapi och ekonomi

- Kort behandlingstid som ger nytta/besparing under lång tid kommer att innebära att betalaren står inför en engångskostnad och samtidigt måste förhålla sig till budgetrestriktioner.
- I konkurrensutsatta system finns det en risk att nyttan/besparingen kommer andra försäkringsgivare tillgodo.
- Antalet patienter är ofta litet för ”botande” behandlingar. Om utvecklingskostnaderna ska slås ut på dessa så får vi höga kostnadseffektkvoter som betalare kanske inte accepterar.

The Economics of Gene Therapy

- “Small patient numbers, and long-lived therapeutic effects may lead to suboptimal levels of commercial research”

- Source: Danzon P & Towse A, Value in Health (2002).

Behandling till bot: 1^{sta} exemplet Sverige

- Nya läkemedel för behandling av **hepatit C** är exempel på behandling till bot och de betraktas som kostnadseffektiva
- Budgetbarriärer - läkemedelsbudgeten skulle dubblerats om vi behandlat alla till eliminering (eradication) av hepatit C.
- Staten tillsammans med landstingen kom överens om extra resurser till läkemedel för att reducera budgetbarriären (1 500 Mkr varje år).
- NT-rådet och TLV ingick överenskommelser med industrin om betalningsmodeller.

Behandling till “bot”: 2^{ndra} exemplet från Sverige

- Alemtuzumab (Lemtrada) vid MS behandling –“en korttids behandling som ger en långtidseffekt”
- Budget barriär för korttidsbehandlingen
- Lemtradas första års behandling är prissatt tre gånger så högt som första linjens behandling för MS och 50 % högre än Natalizumab som är jämförelsebehandling i andra linjen.

Nuvarande betalningsmodell

Läkemedelskostnad (SEK) per patient och år för natalizumab, fingolimod och alemtuzumab

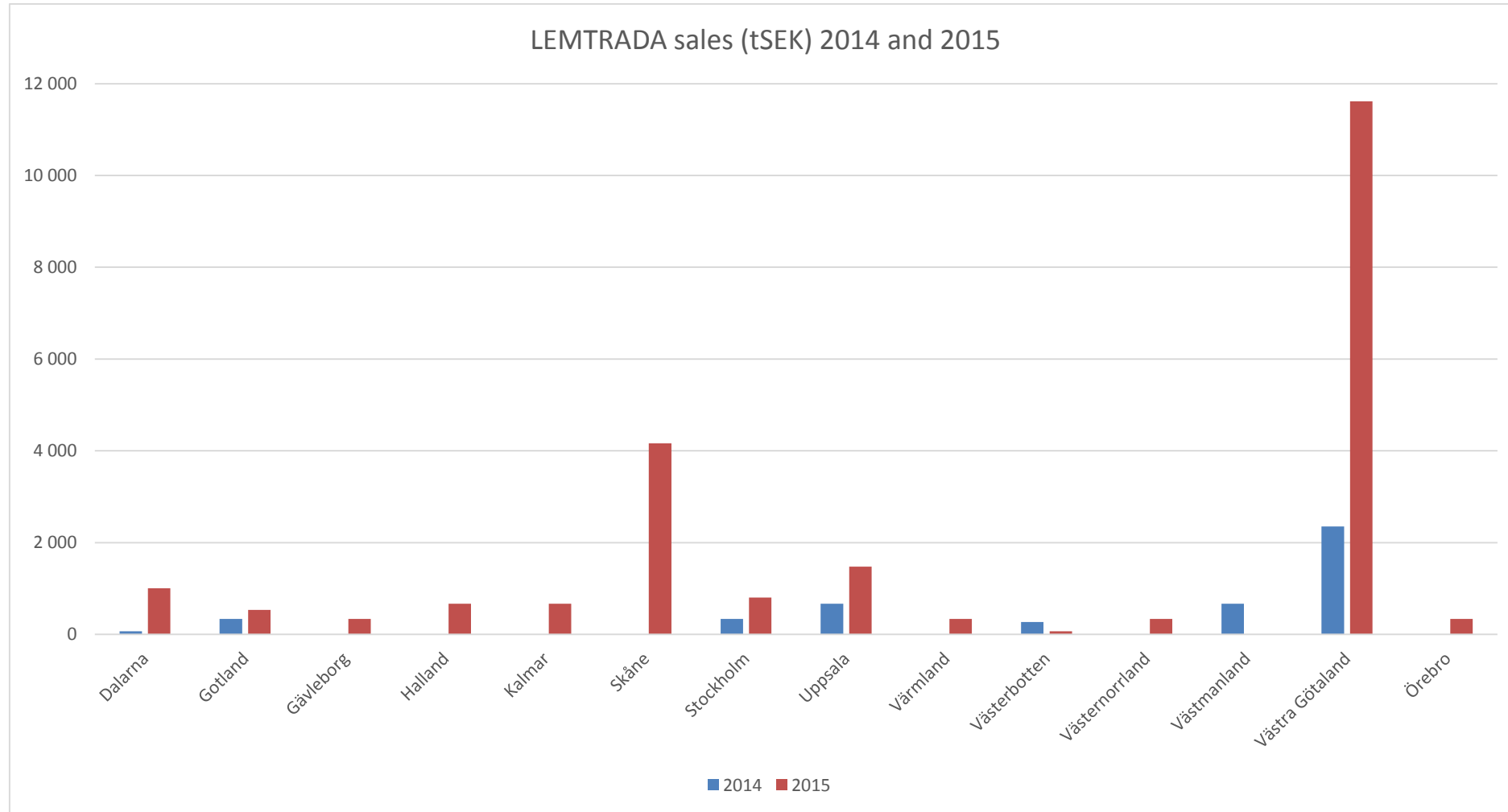
	År 1	År 2	År 3	År 4	År 5	Total
Natalizumab	204 000	204 000	204 000	204 000	204 000	1 020 000
Fingolimod	204 000	204 000	204 000	204 000	204 000	1 020 000
Alemtuzumab	337 000	202 000	36 000*	36 000*	36 000*	647 000 < 1 020 000

* Enligt socialstyrelsens riktlinjearbete

A. Nuvarande betalningsmodell

- Hög initial kostnad skapar budget barriär för landsting/regioner
- Lemtrada är restriktivt använd i Sverige utom i Västra Götaland som använder ett "flexibelt" budgetsysteem där man kan tillåta en temporär budgetförstärkning för nya innovativa läkemedel givet att de kan visa att de är kostnadseffektiva över längre tid

Lemtrada sales in different regions in Sweden, years 2014 and 2015



Alternativ B.

Amorteringsmodell med mätning av hälsoutfall

”Coverage with evidence payment”

Risken för återbehandlingar delas genom rabatt på återbehandlingar

Hel betalning endast vid full effekt

Ex. sjukvården betalar 50% vid återbehandling

Hälsoutfallsdata behövs och dessa behöver länkas till faktisk utbetalning

Två variabler att variera i ett avtal

- Längden på kontraktstiden
- Priset på ev. återbehandling

Alternativ C.

Amorteringsmodell utan mätning av hälsoutfall

- Betalaren får Lemtrada men...
- Betalar istället *årligen* samma pris (a) (eller eventuellt rabatterat pris (b)) som det relevanta alternativet på marknaden
- Betalning även efter år 2 (andra Lemtrada infusionen) så länge som inte byte sker

Amorteringsmodell utan mätning av hälsoutfall

	År 1	År 2	År 3	År 4	År 5	Total
Natalizumab	204 000	204 000	204 000	204 000	204 000	1 020 000
Alemtuzumab	337 000	202 000	?	?	?	< 1 020 000
<i>Alemtuzumab (a)</i>	204 000	204 000	204 000	204 000	204 000	1 020 000
<i>Alemtuzumab (b)</i>	180 000	180 000	180 000	180 000	180 000	900 000

Fördelar och nackdelar med modellerna

	+	-
Nuvarande modell		<ul style="list-style-type: none">• Skapar budgetbarriär• Betalaren bär hela risken
Amorteringsmodell <u>med</u> effektmätning	<ul style="list-style-type: none">• Risk-sharing• Budget kontroll• Hel betalning endast vid full effekt	<ul style="list-style-type: none">• Effektdata behövs• Dessa behöver länkas till faktisk utbetalning
Amorteringsmodell <u>utan</u> effektmätning	<ul style="list-style-type: none">• Risk-sharing• Budgetkontroll• Ingen effektdata behövs	<ul style="list-style-type: none">• Hur hantera ev. "dubbel effekt" vid switch?

Om genterapierna är "särsläkemedel"

- Hög utvecklingskostnad och få patienter (särsläkemedel)
- Nya finansieringsmodeller:
 - Skattefinansierad landstings/regional försäkring
 - Skattefinansierad statlig öronmärkt tilläggsfinansiering
 - Egenfinansiering privat försäkring
 - "Särsläkemedelspeng" ny ersättningsmodell via upphandling som "antibiotikapeng"

Ny prioritering av sÄrläkemedel i Sverige

- NT-rådet och TLV har nyligen ändrat sitt sätt att bedöma pris, subvention och prioritering så att vid svåra tillstånd kommer sällsynthet att tilldelas ett värde i sig.
- TLV accepterade två gånger så hög kostnad per enhet vunnen hälsa jämfört med vanliga sjukdomstillstånd d v s (2 Mkr) per QALY jämfört med 1 Mkr SEK per QALY för Cerezyme och Vpriv för behandling av Gauchers sjukdom.
- Ny hälsoekonomisk evidens behövs:
 - Hur värderas bot ?
 - Hur värderas minskad risk för hälsoförlust vid sällsynt sjukdom?
 - Hur värderas "stor svårighetsgrad"?

Genterapier och andra ”botande behandlingar”

- Kort behandlingstid och osäkerhet om de långsiktiga vinsterna
- Nya betalningsmodeller:
 - Flexibelt budgetsystem (t ex som vid Hepatit C eller som i Västra Götaland)
 - Betalning efter effektmätning (NOR-SWITCH och BIO-SWITCH är uppföljning för bio-simularer, liknande studier för botande behandlingar?)
 - Betalning per år med amortering (licens, abonnemang) utan effektmätning

Ulf Persson

Telefon: 046-32 91 00

E-post: up@ihe.se

www.ihe.se