

Особенности оценки генной терапии

Толкачева Дарья

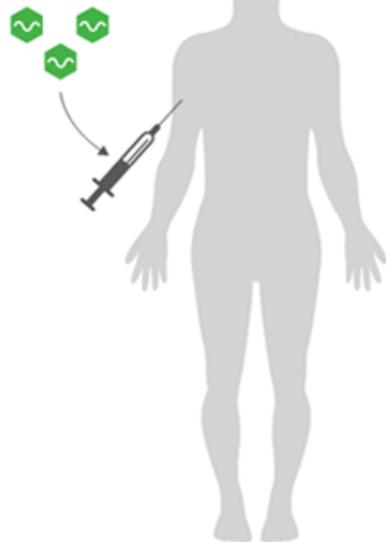
Руководитель направления экономики здравоохранения и работы с регионами

19 апреля 2018 года

Генная терапия: базовые подходы

in vivo генная терапия

препарат на основе вектора
с терапевтическим
трансгеном



Лекарственные
препараты

ex vivo генная терапия

препарат на основе вектора
с терапевтическим
трансгеном



Биомедицинские
клеточные продукты

Генотерапевтические ЛП

лекарственные препараты, фармацевтическая субстанция которых является рекомбинантной нуклеиновой кислотой или включает в себя рекомбинантную нуклеиновую кислоту, позволяющую осуществлять регулирование, репарацию, замену, добавление или удаление генетической последовательности

Федеральный закон "Об обращении лекарственных средств" от 12.04.2010 N 61-ФЗ

Генная терапия – совокупность генноинженерных (биотехнологических) и медицинских методов, направленных на внесение изменений в генетический аппарат соматических клеток человека с в целях лечения заболевания

Федеральный закон "О государственном регулировании в области генно-инженерной деятельности" от 05.07.1996 N 86-ФЗ



- Июнь 2017 г
- Спинальная мышечная атрофия
- \$750 000 (1й год)



- Декабрь 2017 г
- Наследственная потеря зрения
- \$850 000

Особенности оценки генотерапевтических ЛП

- Узкая популяция пациентов
- Эффект легко показать
- Часто отсутствие альтернативной терапии



Высокая стоимость



Необходимость более высокого порога
готовности платить и методологии
оценки

Биомедицинские клеточные продукты

Комплекс, состоящий из клеточной линии (клеточных линий) и вспомогательных веществ либо из клеточной линии (клеточных линий) и вспомогательных веществ в сочетании с прошедшими государственную регистрацию лекарственными препаратами для медицинского применения (далее - лекарственные препараты) и (или) медицинскими изделиями

Федеральный закон "О биомедицинских клеточных продуктах" от 23.06.2016 N 180-ФЗ

CAR-T клеточная терапия

Kymriah

Yescarta

ОЛЛ, DLBCL лимфома

Август 2017
400+ пациентов

Октябрь 2017
150+ пациентов

\$475 000

\$373 000

+стоимость госпитализации
+стоимость процедур
+лечение тяжелых НР

\$0,8-1,3 млн

\$0,6-1 млн

Отличие БМКП от ЛП

- 1 введение
- Потенциальный излечивающий эффект
- Ограниченная доказательная база (по времени наблюдения)
- Потенциально широкий спектр показаний с узкой популяцией
- Персонализированный характер (в данный момент)
- Особенности производства
- Необходимость создания инфраструктуры
- Очень высокая стоимость
- Необходимость новых механизмов оплаты/возмещения

Особенности оценки БМКП

- Дисконтирование
- Дополнительные модели для учета высокого уровня неопределенности
- Другой порог готовности платить
- Новые механизмы оплаты: lifetime leasing, managed access
- Ценообразование по показаниям к применению

Коллизии нормативной базы РФ

180-ФЗ регулирует основы применения БМКП

НО

БМКП ≠ ЛП

- Как включить в систему здравоохранения и государственных закупок?
- ЖНВЛП только для ЛП
- Механизм регистрации цены только для ЛП

Предлагаем составить дорожную карту по приведению нормативной базы в соответствие

Выводы

Биомедицинские клеточные продукты

- Обладают высокой эффективностью и стоимостью,
- Требуют корректировки методологии оценки,
- Создания новых механизмов оплаты и включения БМКП в систему здравоохранения
- И приведения в соответствие нормативной базы

Спасибо за внимание!