

18 marca 2024 r.
2024-01

Rozporządzenie wykonawcze

**ROZPORZĄDZENIE WYKONAWCZE DOTYCZĄCE ZWIĘKSZENIA NAKŁADÓW
FINANSOWYCH I DOSTĘPU DO
LECZENIA NIEDOKRWISTOŚCI SIERPOWATOKRWINKOWEJ ORAZ INNYCH
WYSOKOKOSZTOWYCH LEKÓW
I TERAPII W STANIE ILLINOIS**

ZWAŻYWSZY, że niedokrwistość sierpowatokrwinkowa to grupa dziedzicznych i utrzymujących się przez całe życie chorób krwi, na które cierpi ponad 100 000 osób w Stanach Zjednoczonych i ponad 5 000 mieszkańców stanu Illinois; oraz

ZWAŻYWSZY, że niedokrwistość sierpowatokrwinkowa w nieproporcjonalny sposób dotyka osoby o innym kolorze skóry, w szczególności czarnoskórych Amerykanów. Szacuje się, że niedokrwistość sierpowatokrwinkowa dotyka 1 na 365 czarnoskórych Amerykanów i 1 na 16 300 Latynosów, oraz

ZWAŻYWSZY, że objawy i komplikacje zdrowotne wynikające z niedokrwistości sierpowatokrwinkowej pojawiają się już w wieku pięciu miesięcy i pogłębiają się przez całe życie. Osoby cierpiące na niedokrwistość sierpowatokrwinkową żyją średnio o ponad 20 lat krócej niż ogół populacji i są bardziej narażone na astmę, zespół ostrej niewydolności oddechowej, przewlekły ból i zmęczenie, depresję, uszkodzenie i niewydolność narządów, udar mózgu oraz inne długotrwałe i zagrażające życiu schorzenia; oraz

ZWAŻYWSZY, że przyczyna niedokrwistości sierpowatokrwinkowej jest znana od prawie 70 lat, ale postęp w badaniach nad tą chorobą był utrudniony ze względu na brak środków przeznaczanych na finansowanie badań i leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej wynikający z dyskryminacji rasowej, oraz

ZWAŻYWSZY, że osoby cierpiące na niedokrwistość sierpowatokrwinkową często napotykają bariery w dostępie do niezbędnego leczenia w celu poprawy jakości ich życia, takie jak ograniczenia w lokalnym dostępie do opieki, wysokie koszty leczenia, duże uzależnienie od pomocy doraźnej oraz ograniczona liczba świadczeniodawców opieki zdrowotnej posiadających wiedzę specjalistyczną w zakresie kompleksowego leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej. Bariery te dodatkowo pogłębiają utrzymujące się systemowe nierówności w opiece zdrowotnej, które nieproporcjonalnie wpływają na społeczności o odmiennym kolorze skóry; oraz

ZWAŻYWSZY, że koszty leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej są ogromne, a szacowany średni koszt opieki zdrowotnej w ciągu całego życia wynosi od 1,26 do 2,1 miliona USD, z czego pacjenci ponoszą średnio od 34 000 do 53 000 USD z własnych środków. Dane wskazują, że całkowity koszt opieki zdrowotnej dla osób najbardziej dotkniętych niedokrwistością sierpowatokrwinkową wynosi od 4 do 6 milionów USD; oraz

ZWAŻYWSZY, że ponad 40% mieszkańców stanu Illinois zmagających się z niedokrwistością sierpowatokrwinkową otrzymuje ubezpieczenie zdrowotne finansowane ze środków publicznych

za pośrednictwem Medicaid, przy czym szacuje się, że 49% klientów Medicaid z niedokrwistością sierpowatokrwinkową ma ciężką postać choroby; oraz

ZWAŻYWSZY, że zgodnie z ustawą publiczną 102-0004 Departament Zdrowia Publicznego stanu Illinois (Illinois Department of Public Health) przeznacza środki finansowe na organizacje, które tworzą i rozwijają innowacyjne projekty mające na celu poprawę stanu zdrowia mieszkańców stanu Illinois zmagających się z niedokrwistością sierpowatokrwinkową, w tym na programy edukacyjne i wspierające, których celem jest zapewnienie osobom cierpiącym na niedokrwistość sierpowatokrwinkową, ich rodzinom, dostawcom usług medycznych, pracownikom ochrony zdrowia, lokalnej ochronie zdrowia publicznego, usługodawcom, edukatorom i społeczności dokładnych, aktualnych i przekazywanych na czas informacji; oraz

ZWAŻYWSZY, że 8 grudnia 2023 r. Amerykańska Agencja ds. Żywności i Leków (FDA) zatwierdziła dwie przełomowe terapie genowe w leczeniu i potencjalnym wyleczeniu niedokrwistości sierpowatokrwinkowej; oraz

ZWAŻYWSZY, że terapie genowe są wysoce kosztowne, co stwarza obawy o równy dostęp, ryzyko ograniczeń w ubezpieczeniu zdrowotnym i potencjalne wyzwania budżetowe dla publicznych programów ubezpieczeń zdrowotnych. Pomimo tego, że ostateczny koszt netto i to, na jaką skalę leczenie będzie dostępne, zostanie dopiero ustalone, biorąc pod uwagę niedawne zatwierdzenie przez FDA, znaczenie równego dostępu do nowych terapii dla wcześniej niedostatecznie wspieranych grup społecznych jest oczywiste; oraz

ZWAŻYWSZY, że Amerykański Departament Zdrowia i Opieki Społecznej oraz Centra Usług Medicare i Medicaid (CMS), uznając znaczenie i pilną potrzebę wspierania stanów w ponoszeniu wysokich kosztów tych przełomowych terapii genowych, ogłosiły uruchomienie nowego modelu dostępu do terapii komórkowych i genowych (CGT). CMS zdecydowały, że niedokrwistość sierpowatokrwinkowa będzie pierwszym obszarem objętym modelem dostępu do CGT; oraz

ZWAŻYWSZY, że model dostępu do CGT zapewni lepszą pozycję negocjacyjną z producentami leków poprzez wspólne, obejmujące wiele stanów postępowanie negocjacyjne, które umożliwi CMS zawieranie z producentami leków umów opartych na wynikach i ich realizację w imieniu uczestniczących stanów. Umowy oparte na wynikach będą przewidywały liczne możliwości uzyskania przez stan oszczędności na terapiach komórkowych i genowych, w tym oszczędności powiązane z wynikami badań pacjenta; oraz

ZWAŻYWSZY, że stany mogą ubiegać się o przystąpienie do modelu dostępu do CGT latem 2024 r., z możliwością rozpoczęcia uczestnictwa już w styczniu 2025 r. Stany mogą pomóc w negocjacjach CMS z biorącymi udział w programie producentami leków, przedstawiając swoje priorytety w niewiążącym liście intencyjnym i podczas spotkań z CMS; oraz

ZWAŻYWSZY, że rynek terapii komórkowych i genowych gwałtownie się rozszerzył, w tym terapii komórkowych i genowych dla pacjentów pediatrycznych, dla których Medicaid będzie głównym płatnikiem. FDA zatwierdziła kilka nowych terapii komórkowych i genowych w ciągu ostatniego roku i przewiduje gwałtowny wzrost liczby zatwierdzeń w nadchodzących latach; oraz

ZWAŻYWSZY, że FDA coraz częściej zatwierdza również inne nowatorskie i wysokokosztowe specjalistyczne leki i terapie w ramach przyspieszonej ścieżki zatwierdzania. Leki dopuszczone do stosowania w ramach przyspieszonej ścieżki są zatwierdzane w oparciu o punkt końcowy, który z dużym prawdopodobieństwem pozwala przewidzieć korzyści kliniczne. Wiele z tych leków ma wysokie ceny katalogowe i niższe rabaty w porównaniu z innymi produktami leczniczymi, a niektóre z nich nie mają zweryfikowanych korzyści klinicznych od co najmniej dziesięciu lat; oraz

ZWAŻYWSZY, że federalny program Medicaid Drug Rebate zapewnia federalne rabaty dla stanów w oparciu o najniższą lub najlepszą cenę producenta, ale stanowe programy Medicaid są w zamian zobowiązane do pokrycia kosztów praktycznie wszystkich leków zatwierdzonych przez FDA, w tym leków objętych przyspieszoną ścieżką zatwierdzania; oraz

ZWAŻYWSZY, że tendencje wzrostu wydatków Medicaid na leki są w coraz większym stopniu powodowane przez wysokokosztowe leki i terapie. W latach 2018-2021 średni koszt leku z zarejestrowanym znakiem towarowym wzrósł o prawie 50 procent, co jest związane z wprowadzeniem nowych, wysokokosztowych leków specjalistycznych i terapii, oraz

ZWAŻYWSZY, że nowe terapie komórkowe i genowe oraz inne wysokokosztowe leki specjalistyczne oraz leczenie rzadkich i ciężkich chorób dotykających niewielką część populacji powodują niepewność co do liczby osób, które mogą wymagać leczenia w danym roku oraz potencjalne wahania budżetu pomiędzy poszczególnymi latami. Zatwierdzenie każdego nowego wysokokosztowego leku i terapii może zwiększyć wydatki i obciążyć budżet Medicaid, oraz

ZWAŻYWSZY, że Departament Opieki Zdrowotnej i Usług Rodzinnych stanu Illinois (HFS) aktywnie współpracuje z CMS w celu zatwierdzenia poprawki do planu stanowego Medicaid, która pozwoli HFS na zawieranie umów opartych na wynikach z producentami leków i negocjowanie dodatkowych rabatów stanowych na leki i terapie wymagające dużych nakładów finansowych. HFS jest na wczesnym etapie wdrażania zakupów opartych na wynikach, z możliwością ustalenia najlepszych praktyk poprzez testowanie różnych podejść do realizacji umów opartych na wynikach zawieranych z producentami leków; oraz

ZWAŻYWSZY, że jest to wielka szansa na wdrożenie innowacyjnego i trwałego rozwiązania, które sprawi, że nowe, rewolucyjne terapie genowe oraz specjalistyczne leki staną się przystępne cenowo a zarazem dostępne dla mieszkańców stanu Illinois cierpiących na niedokrwistość sierpowatokrwinkową i inne schorzenia. Dziedzictwem stanu Illinois dla przyszłych pokoleń jest wdrażanie rozwiązań, które pokazują jak wielką wagę przywiązujemy do prawa każdej osoby do dostępu do opieki zdrowotnej o wysokiej jakości i w przystępnej cenie; oraz

ZWAŻYWSZY, że utworzenie Komitetu Doradczego jest ważnym i skutecznym narzędziem w rozszerzaniu dostępu do nowych metod leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej oraz innych wysokokosztowych leków i terapii, łącząc zasoby stanowe dla tego wspólnego celu, czerpiąc z głębokiej wiedzy oraz doświadczenia krajowych i stanowych rzeczników dostawców i konsumentów oraz nadając pierwszeństwo głosom pacjentów i partnerstwom różnych społeczności w opracowywaniu i wdrażaniu rozwiązań,

W ZWIĄZKU Z TYM, Ja, JB Pritzker, Gubernator stanu Illinois, na mocy władzy wykonawczej nadanej mi na podstawie art. V Konstytucji Stanu Illinois (Constitution of the State of Illinois), niniejszym zarządzam, co następuje:

1. Zadaniem HFS jest kierowanie działaniami stanu na rzecz ustanowienia modeli płatności i struktur finansowania, które wspierają dostęp do nowych metod leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej oraz innych wysokokosztowych leków i terapii w ramach programu Medicaid w stanie Illinois.
2. Komitet Doradczy ds. Finansowania i Dostępu do Leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej oraz innych wysokokosztowych leków i terapii („Komitet Doradczy”) zostaje powołany w celu doradzania HFS na etapie opracowywania modeli płatności i struktur finansowania leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej oraz innych wysokokosztowych leków i terapii, które zapewniają równy dostęp i przyczyniają się do wysiłków na szczeblu krajowym zmierzających do wypracowania odpowiednich rozwiązań.
3. Komitet Doradczy zbierze się co najmniej cztery razy, by:
 - a. Zaangażować się w szeroko zakrojone działania, które uwzględniają wkład ekspertów merytorycznych, świadczeniodawców, ubezpieczycieli, producentów leków i klientów Medicaid chorujących na niedokrwistość sierpowatokrwinkową lub inne schorzenia wymagające dostępu do wysokokosztowych leków i terapii.
 - b. Przeprowadzić analizę innowacyjnych rozwiązań ustanawiających zrównoważone modele płatności i struktury finansowania wysokokosztowych leków i terapii, ze szczególnym uwzględnieniem modeli opartych na wartości i wynikach.
 - c. Dokonać oceny skuteczności i wyzwań wynikających z różnych rozwiązań w zakresie płatności opartych na wartości i wynikach, wdrożonych w innych stanach.
 - d. Opracować zalecenia dotyczące metod finansowania, które mogłyby zostać przyjęte w stanie Illinois i/lub na szczeblu krajowym przy wsparciu CMS.
 - e. Określić wszelkie zmiany w polityce stanowej i federalnej, zmiany prawne, regulacyjne oraz zmiany zasobów niezbędne do pomyślnego wdrożenia zaleceń Komitetu Doradczego.

- f. Przewodzić i współdziałać z osobami pracującymi nad zapewnieniem dostępności leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej oraz innych wysokokosztowych leków i terapii.
 - g. Wspierać skuteczną współpracę między agencjami i uwzględniać podobne działania na szczeblu federalnym i w innych stanach podczas opracowywania różnych wariantów związanych z finansowaniem, z naciskiem na zapewnienie równego dostępu do leczenia niedokrwistości sierpowatokrwinkowej i innych wysokokosztowych leków i terapii w ramach programu Medicaid w stanie Illinois.
4. Komitet Doradczy opracuje raport, który zostanie przedstawiony Gubernatorowi i Zgromadzeniu Ogólnemu do dnia 31 grudnia 2024 r. Raport dokona oceny możliwości finansowania nowych terapii komórkowych i genowych oraz innych wysokokosztowych leków i terapii oraz monitorowania wyników pacjentów w ramach programu Medicaid, a także sformułuje zalecenia dotyczące strategii zapewniających równy dostęp do nowych terapii w ramach programu.
5. W skład Komitetu Doradczego wejdą różne zainteresowane strony reprezentujące cele i grupy opisane w niniejszym rozporządzeniu wykonawczym, które zostaną powołane przez Gubernatora. Członkowie Komitetu powinni być zróżnicowani pod względem miejsca zamieszkania, tak aby mogli reprezentować potrzeby społeczności miejskich, podmiejskich i wiejskich w całym stanie Illinois. Członkami Komitetu powinni być stanowi eksperci merytoryczni, ale mogą również być eksperci krajowi. HFS może wyznaczyć z urzędu pracowników agencji stanowej, których udział uzna za niezbędny, jako pełnoprawnych członków Komitetu Doradczego.
6. W skład Komitetu Doradczego, powołanego przez Gubernatora, wchodzi:
 - a. Dyrektor HFS lub wyznaczony przez niego pracownik, który pełni funkcję przewodniczącego.
 - b. Jedna osoba reprezentująca Departament Zdrowia Publicznego stanu Illinois (Illinois Department of Public Health).
 - c. Jedna osoba reprezentująca Departament Ubezpieczeń stanu Illinois (Illinois Department of Insurance).
 - d. Jedna osoba reprezentująca Biuro Zarządzania i Budżetu Gubernatora.
 - e. Jedna osoba chorująca na niedokrwistość sierpowatokrwinkową.
 - f. Jedna osoba cierpiąca na chorobę wymagającą dostępu do najnowszych, innowacyjnych leków lub terapii.
 - g. Jedna osoba reprezentująca świadczeniodawców leczących pacjentów z niedokrwistością sierpowatokrwinkową.
 - h. Jedna osoba reprezentująca świadczeniodawców leczących pacjentów z innym schorzeniem wymagającym dostępu do najnowszych, innowacyjnych leków lub terapii.
 - i. Dwie osoby z doświadczeniem w negocjacjach rabatów na leki na receptę i umów opartych na wynikach.
 - j. Dwie osoby posiadające opublikowane badania dotyczące finansowania najnowszych, innowacyjnych leków i terapii w ramach publicznych programów ubezpieczeń zdrowotnych.
 - k. Dwie osoby z wykształceniem w zakresie ekonomiki zdrowia lub aktuariatu.
 - l. Jedna osoba reprezentująca organizacje wspierające osoby cierpiące na niedokrwistość sierpowatokrwinkową.
 - m. Jedna osoba reprezentująca organizacje wspierające osoby cierpiące na schorzenia wymagające dostępu do najnowszych, innowacyjnych leków i terapii.
 - n. Dwie osoby reprezentujące sektor ubezpieczeń zdrowotnych.
 - o. Dwie osoby z prawem głosu, które mogą, ale nie muszą spełniać wymagań kwalifikacyjnych obowiązujących pozostałych członków.
7. Dwóch członków posiadających specjalistyczną wiedzę może otrzymać honorarium stanowiące rekompensatę za poświęcony czas, nieprzekraczające 250 USD za posiedzenie.
8. Komitet Doradczy będzie dążył do osiągnięcia porozumienia; jednakże, o ile na posiedzeniu jest kworum, może on zatwierdzać środki i wydawać zalecenia na podstawie pozytywnego wyniku głosowania większości obecnych członków.

9. Członkowie Komitetu Doradczego pełnią swoje funkcje zgodnie z decyzją Gubernatora. W przypadku wystąpienia wakatu z jakiegokolwiek powodu, Gubernator powołuje nowego członka, a jego decyzja wchodzi w życie ze skutkiem natychmiastowym. Komitet Doradczy rozwiązuje się z dniem 31 grudnia 2024 r.
10. Niezależnie od wszelkich regulaminów, zasad lub procedur, które mogą zostać przyjęte, wszystkie działania Komitetu Doradczego będą podlegać przepisom ustawy o wolności informacji stanu Illinois (Illinois Freedom of Information Act, 5 ILCS 140/1 i nast.) oraz ustawy o otwartych spotkaniach stanu Illinois (Illinois Open Meetings Act, 5 ILCS 120/1 i nast.). Zapis ten nie może być interpretowany jako wykluczający zastosowanie innych ustaw do Komitetu Doradczego i jego działalności.
11. HFS zapewni Komitetowi Doradczemu wsparcie administracyjne.
12. Żadne z postanowień niniejszego rozporządzenia wykonawczego nie może być interpretowane jako sprzeczne z jakimkolwiek federalnym lub stanowym prawem lub regulacją. O ile w niniejszym rozporządzeniu nie ma wyraźnej informacji na ten temat, żadne postanowienie niniejszego rozporządzenia nie narusza ani nie zmienia istniejących uprawnień ustawowych jakiegokolwiek agencji stanowej, ani nie może być interpretowane jako zmiana lub reorganizacja takiej agencji.
13. Niniejsze rozporządzenie wykonawcze zastępuje wszelkie sprzeczne postanowienia jakiegokolwiek wcześniejszego rozporządzenia wykonawczego.
14. Jeśli jakakolwiek część niniejszego rozporządzenia wykonawczego zostanie uznana za nieważną przez właściwy sąd, pozostałe postanowienia zachowają pełną moc prawną. Przepisy niniejszego rozporządzenia wykonawczego są rozdzielne.
15. Niniejsze rozporządzenie wykonawcze wchodzi w życie natychmiast po jego złożeniu u Sekretarza Stanu i pozostaje w mocy do czasu jego uchylecia.

Gubernator JB Pritzker

Wydane przez Gubernatora: 18 marca 2024 r.
Złożono do Sekretarza Stanu: 18 marca 2024 r.