

MEDIA STATEMENT

For Immediate Release

IDEAS Launches Paper on Sustainable Financing for High-Cost Therapies in the Malaysian Health System

Kuala Lumpur, 27 January 2026: The Institute for Democracy and Economic Affairs (IDEAS) today launched its latest policy paper exploring how Malaysia can sustainably finance high-cost therapies for rare diseases amid rapid medical advances and growing fiscal pressure on public health.

The paper, titled '**Advancing Equitable Access to Spinal Muscular Atrophy (SMA) Gene Therapy: Recommendations for Outcomes-Based Financing and Sustainable Procurement**' is authored by Durrah Sharifah Ahmad Azlan, Senior Research Executive at IDEAS, Nimitraa Youganesparan, Research Executive at IDEAS, Dr Stewart Nixon, Director of Research at IDEAS, and Dr Tae Sok Kun, Head of the Medical Genetics Unit, Universiti Malaya Medical Centre. It examines how financing and procurement approaches can improve access to equitable treatment in Malaysia.

Despite breakthroughs such as gene therapy, many Malaysians with rare diseases continue to struggle with high up-front costs and delayed diagnosis. These challenges are aggravated by limited government health budgets. As the National Policy on Rare Diseases 2025 signals greater intent to improve the lives of persons with rare diseases, this paper highlights how better health financing mechanisms, procurement systems, and clinical depth can support this.

Using Spinal Muscular Atrophy (SMA) as a case study, the paper assesses whether outcomes-based payment models (OBPM) can be adapted within Malaysia's health system to manage financial risk while expanding access to high-cost therapies. It identifies three priority areas for reform:

- **Clinical Readiness and Patient-Centric Outcomes** — Clear and clinically agreed eligibility criteria are needed, prioritising pre-symptomatic and early-diagnosed patients while ensuring pathways for those diagnosed later. Outcomes assessment should go beyond survival to include quality of life, caregiver wellbeing and disease stabilisation. System readiness must also be strengthened through newborn screening and a National Rare Disease Registry.
- **Procurement and Financing Innovation** — Outcomes-based payment models can help manage uncertainty for high-cost, high-impact therapies. For treatments with more well-established and predictable outcomes, a pure financial payment model may be more appropriate.
- **Systemic and Ethical Governance** — Sustainable reform requires stronger coordination across health, financial and ethical systems. Key steps include establishing a dedicated process for assessing and publishing the comprehensive financial profile (total costs, patient numbers, long-term burden) of emerging treatments, developing mature risk pooling systems for treatment financing, long-term deepening of insurance

markets and coverage, and ethical governance to reduce financial and emotional toll on patients and families.

With the launch of this paper, IDEAS hopes to establish recommendations that demonstrate the fiscal feasibility of sustainable access to transformative, high-cost treatments like SMA gene therapy through strategic procurement and financial innovation.

“There are no silver bullets, but fresh approaches inspired by innovative financing models can bring more emerging treatments to Malaysians. An ambitious medium-term vision to advance patient screening, create deeper specialist ecosystems, fill critical information gaps, and grow financing pools is needed; one befitting the passion of rare disease stakeholders,” said Dr Stewart Nixon, Director of Research at IDEAS and co-author of the paper.

“Patients and families must remain at the centre of any discussion on high-cost therapies. Sustainable access will require greater cross-sector collaboration, ensuring health policy decisions are guided by public interest and protected by strong institutional safeguards,” said Durrah Sharifah Ahmad Azlan, Senior Research Executive at IDEAS and co-author of the paper.

For more information, please download the [full paper on our website](#).

For enquiries, please contact:

Ryan Panicker

Manager, Advocacy and Events

ryannesh@ideas.org.my

About IDEAS

The Institute for Democracy and Economic Affairs (IDEAS) is a nonprofit research institute, dedicated to promoting solutions to public policy challenges, focussing on three overarching missions – advancing a competitive economy, ensuring trust in institutions and promoting an inclusive Malaysia. IDEAS is Malaysia’s first independent think tank, free of personal interests and partisan influences.

For more information,
visit www.ideas.org.my

KENYATAAN MEDIA

Untuk Siaran Segera

IDEAS Lancar Laporan Mengenai Pembiayaan Mampan Untuk Terapi Berkos Tinggi Dalam Sistem Kesihatan Malaysia

Kuala Lumpur, 27 Januari 2027: Institut Demokrasi dan Hal Ehwal Ekonomi (IDEAS) hari ini melancarkan kertas kajian dasar terbaharu yang meneroka bagaimana Malaysia boleh membiayai terapi berkos tinggi bagi penyakit jarang jumpa secara mampan, dalam konteks kemajuan perubatan yang pesat serta tekanan fiskal yang semakin meningkat ke atas sistem kesihatan awam.

Kertas kajian dasar bertajuk “**Memperkasa Akses Saksama kepada Terapi Gen Atrofi Otot Spina (SMA): Syor bagi Pembiayaan Berasaskan Hasil dan Perolehan Mampan**” ini ditulis oleh Durrah Sharifah Ahmad Azlan, Eksekutif Kanan Penyelidikan IDEAS; Nimitraa Youganesparan, Eksekutif Penyelidikan IDEAS; Dr Stewart Nixon, Pengarah Penyelidikan IDEAS; serta Dr Tae Sok Kun, Ketua Unit Genetik Perubatan, Pusat Perubatan Universiti Malaya. Kertas kajian ini meneliti bagaimana pendekatan pembiayaan dan perolehan dapat meningkatkan akses kepada rawatan yang saksama di Malaysia.

Walaupun terdapat kejayaan besar seperti terapi gen, ramai rakyat Malaysia yang menghidap penyakit jarang jumpa masih berdepan kos permulaan yang tinggi serta kelewatan dalam diagnosis. Cabaran ini diburukkan lagi oleh kekangan belanjawan kesihatan kerajaan. Seiring dengan Dasar Kebangsaan Penyakit Jarang Jumpa 2025 yang menandakan komitmen lebih besar untuk memperbaiki kehidupan golongan ini, kertas kajian dasar ini menekankan bagaimana mekanisme pembiayaan kesihatan, sistem perolehan dan kedalaman klinikal yang lebih baik dapat menyokong usaha tersebut.

Menggunakan Atrofi Otot Spina (SMA) sebagai kajian kes, kertas kajian ini menilai sama ada model pembayaran berasaskan hasil (outcomes-based payment models, OBPM) boleh disesuaikan dalam sistem kesihatan Malaysia bagi mengurus risiko kewangan sambil memperluas akses kepada terapi berkos tinggi. Ia mengenal pasti tiga bidang keutamaan untuk pembaharuan:

- **Kesiapsiagaan Klinikal dan Hasil Berteraskan Pesakit** — Kriteria kelayakan yang jelas dan dipersetujui secara klinikal diperlukan, dengan keutamaan diberikan kepada pesakit pra-simptomatik dan yang didiagnosis awal, di samping memastikan laluan rawatan bagi mereka yang didiagnosis lewat. Penilaian hasil perlu melangkaui kadar kelangsungan hidup untuk merangkumi kualiti hidup, kesejahteraan penjaga serta penstabilan penyakit. Kesiapsiagaan sistem juga perlu diperkukuh melalui saringan bayi baru lahir dan penubuhan Pangkalan Data Kebangsaan Penyakit Jarang Jumpa.
- **Inovasi Perolehan dan Pembiayaan** — Model pembayaran berasaskan hasil boleh membantu mengurus ketidakpastian bagi terapi berimpak dan berkos tinggi. Model pembayaran kewangan penuh mungkin lebih sesuai untuk rawatan yang mempunyai hasil yang lebih mantap dan boleh diramal.
- **Tadbir Urus Sistemik dan Etika** — Pembaharuan mampan memerlukan penyelarasan yang lebih kukuh merentasi sistem kesihatan, kewangan dan etika. Langkah utama termasuk mewujudkan proses khusus untuk menilai dan menerbitkan profil kewangan menyeluruh rawatan baharu (jumlah kos, bilangan pesakit, beban jangka panjang), membangunkan sistem perkongsian risiko yang lebih matang untuk pembiayaan rawatan, memperdalam pasaran dan liputan insurans dalam jangka panjang, serta

memperkukuh tadbir urus etika bagi mengurangkan beban kewangan dan emosi terhadap pesakit serta keluarga.

Melalui pelancaran kertas kajian dasar ini, IDEAS berharap dapat mengemukakan syor yang menunjukkan kebolehlaksanaan fiskal bagi akses mampan kepada rawatan transformatif berkos tinggi seperti terapi gen SMA melalui perolehan strategik dan inovasi kewangan.

“Tiada penyelesaian mudah, namun pendekatan baharu yang diinspirasikan oleh model pembiayaan inovatif boleh membawa lebih banyak rawatan baharu kepada rakyat Malaysia. Satu visi jangka sederhana yang berani diperlukan untuk memajukan saringan pesakit, membina ekosistem kepakaran yang lebih mendalam, mengisi jurang maklumat kritikal dan memperluas kumpulan pembiayaan; selari dengan semangat para pemegang taruh penyakit jarang jumpa,” kata Dr Stewart Nixon, Pengarah Penyelidikan IDEAS dan penulis bersama kertas kajian ini.

Pesakit dan keluarga mesti kekal menjadi teras dalam setiap perbincangan mengenai terapi berkos tinggi. Akses yang mampan memerlukan kerjasama merentas sektor yang lebih kukuh, bagi memastikan keputusan dasar kesihatan dipandu oleh kepentingan awam serta dilindungi oleh kerangka institusi yang mantap,” kata Durrah Sharifah Ahmad Azlan, Eksekutif Kanan Penyelidikan di IDEAS dan penulis bersama kertas kajian tersebut

Muat turun kertas kajian ini di [laman web ideas.org.my](http://laman.web.ideas.org.my) untuk maklumat lanjut.

Untuk pertanyaan, sila hubungi:

Ryan Panicker

Pengurus, Advokasi dan Program

ryannesh@ideas.org.my

Tentang IDEAS

Institut Demokrasi dan Hal Ehwal Ekonomi (IDEAS) merupakan sebuah institut penyelidikan bebas dan bukan berasaskan keuntungan. Fokus IDEAS ialah mempromosikan penyelesaian terhadap cabaran dasar awam yang bertumpu kepada tiga misi menyeluruh - memajukan sebuah ekonomi yang berdaya saing, memastikan keyakinan terhadap institusi, dan Malaysia sebagai negara yang merangkumi semua. Untuk maklumat lanjut, layari www.ideas.org.my