ETYKA, POLITYKA I CHOROBY RZADKIE

Zbigniew Szawarski
Komitet Bioetyki przy Prezydium PAN
Narodowy Instytut Zdrowia Publicznego – PZH
z.szawarski@uw.edu.pl

Innowacje w leczeniu chorób rzadkich, leki sieroce – ocena dostępności w Polsce.
Warszawa, 12.IV.2013

Struktura wystąpienia

- Perspektywa etyki
- Perspektywa polityki
- Perspektywa lekarza
- Perspektywa pacjenta
- Choroby rzadkie
- Podstawowy dylemat moralny
- Próba rozwiązania
- Wnioski

Perspektywa etyczna

- Tradycja moralna – przypowieść o dobrym Samarytaninie → Obowiązek pomocy (*the rule of rescue*)
- Jeśli **konkretny człowiek** znajduje się w sytuacji bezpośredniego zagrożenia życia lub zdrowia, to mamy moralny obowiązek pomocy **bez względu na koszty**.
- Ofiary katastrof, nieszczęśliwych wypadków – w górach, na morzu, w lesie itd. „Kursk”.

Problem etyczny

- Czy zasada pomocy **jest** stosowana w systemie zdrowia i opieki społecznej?

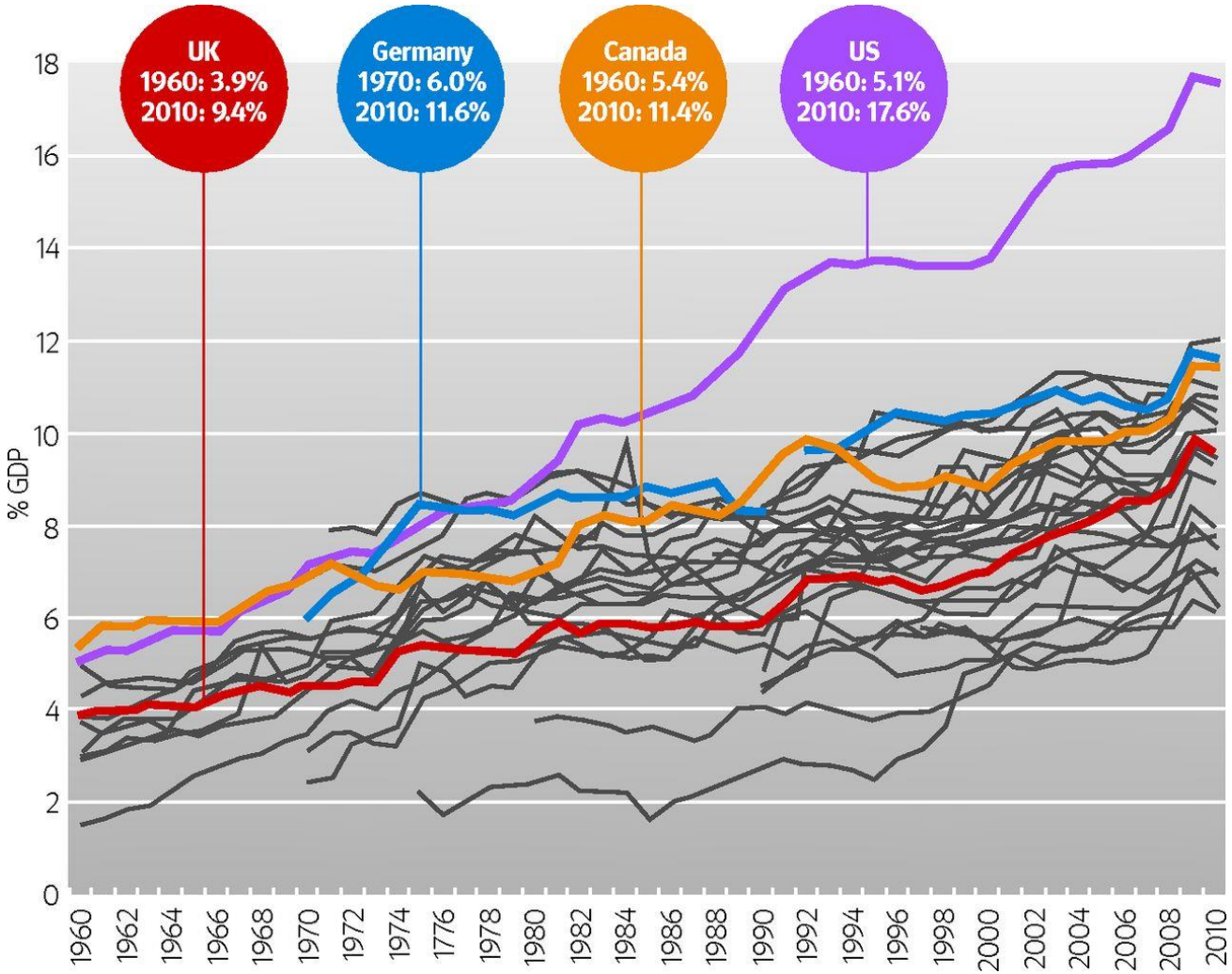
- Czy zasada pomocy **powinna być** stosowana w systemie zdrowia i opieki społecznej?

- **Czy zawsze powinniśmy ratować każde życie i jednakowo troszczyć się o zdrowie każdej istoty ludzkiej bez względu na koszty**?

Perspektywa polityka

- **Na czym nam najbardziej zależy? Cele**
- **Jak to osiągnąć? Środki**
- **Ile to będzie kosztować?**

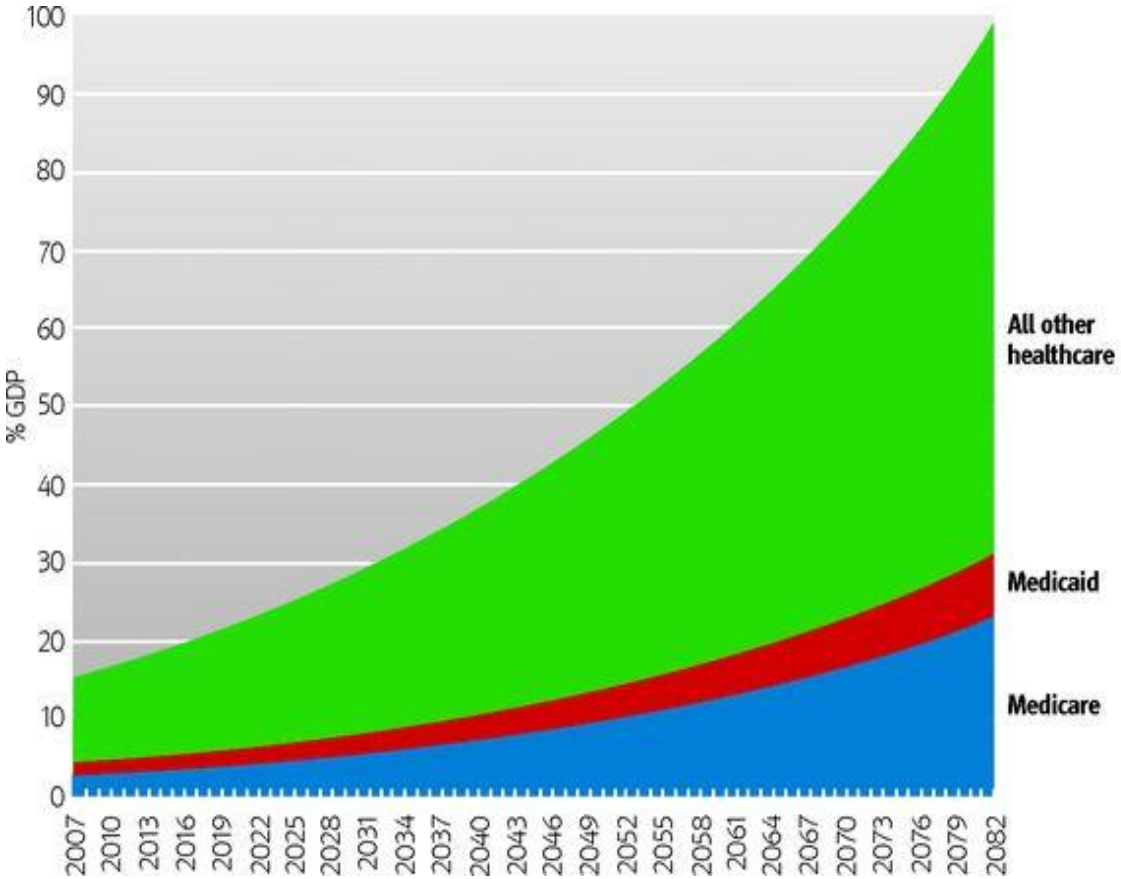
Fig 1 Total (public plus private) health spending as a percentage of GDP in OECD countries, 1960-2010.



Appleby J BMJ 2012;345:bmj.e7127

©2012 by British Medical Journal Publishing Group

Fig 2 US healthcare spending projections to 2082: "Excess cost" rate continues at historical averages.



Appleby J BMJ 2012;345:bmj.e7127

©2012 by British Medical Journal Publishing Group

PRZYCZYNY

- **Wzrost populacji**
- **Wzrost dochodu**
- **Rozwój technologii medycznych**
- **Wzrost kosztów leczenia**
- **Polityka wzrostu dostępności do opieki zdrowotnej**
  - Prawo do opieki zdrowotnej = prawo do zaspokojenia *wszelkich* (!!???) potrzeb zdrowotnych bez względu na koszt

Perspektywa lekarza

- Jeśli **pacjent** znajduje się w sytuacji wymagającej interwencji lekarskiej (zagrożenie życia, choroba, opieka terminalna) i **istnieją możliwości pomocy pacjentowi**, to mamy moralny obowiązek pomocy
- **Kto pokrywa koszty leczenia i opieki?**
- **Kto i na jakiej podstawie proponuje reguły dystrybucji ograniczonych środków zdrowotnych?**

Perspektywa pacjenta

- Moje życie i zdrowie są dla mnie najważniejsze: jako obywatel, podatnik i człowiek **mam prawo** oczekiwać pomocy ze strony państwa

Ważna anomalia psychologiczna

- Im bardziej konkretna, im bardziej znana jest zagrożona utratą życia lub śmiertelną chorobą osoba, tym silniejsza jest nasza reakcja spontanicznej pomocy bez względu na koszty
- Im bardziej anonimowy jest potrzebujący pomocy pacjent, tym większą obojętność budzi jego los. (Umierające z głodu dzieci. Demencja)
- Pacjent: moje dziecko jest najważniejsze na świecie.
- Polityk: powinien reprezentować interesy wszystkich dzieci

Por. C.Fried, *An Anatomy of Values: Problems of Personal and Social Choices*, Mass. Harvard University Press 1970

Klasyfikacja chorób ze względu na częstość występowania

- Choroby pospolite (*common diseases*), powszechnie występujące w danym regionie
- Choroby rzadkie (*orphan diseases*) 5:10 000 [EU];
- Choroby ultrarzadkie (*ultra-orphan diseases*) – 1:50 000 [UK]

Choroby rzadkie

- 6000-7000 chorób rzadkich rozpoznanych i opisanych - http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php
- Każdego tygodnia pojawia się ok. 5 nowych jednostek chorobowych
- Leki sieroce (*orphan drugs*) stosowane w leczeniu chorób rzadkich niezwykle drogie (wysokie koszta wytwarzania, mały rynek zbytu)

Kilka przykładów – koszty roczne dla jednego pacjenta

- IVACAFTOR - Mukowiscydoza (G551D genetic mutation) - 182 000 GBP
  ECULIZUMAB - Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria - PNH – 250 000 GBP
- IMIGLUCERASE – choroba Gauchera - 200 000 $
- FACTOR VIII - profilaktyka hemofilii – 300 000 $.

KOSZTY LECZENIA CHORÓB ULTRARZADKICH W POLSCE w roku 2010

CHOROBA	Liczba osób	Zawarte kontrakty
Choroba Gauchera	56	
Choroba Hurlera	15	
Choroba Pompego	17	
Mukopolisacharydoza II	31	
Mukopolisacharydoza VI	4	
	123	**138 000 000**

Źródło: MZ

Najdrożsi pacjenci NFZ

Magdalena Kowalska 18 marca 2013 07:00

- „Pacjentem, którego roczne koszty leczenia były najwyższe i wyniosły 3 390 449 zł, była osoba chora na mukopolisacharydozę typu II. To bardzo rzadko występująca choroba przemiany materii, dziedziczna i bardzo trudna do zdiagnozowania. To jedna z prawie **czternastu tysięcy osób**, których leczenie przekroczyło w ubiegłym roku koszt 100 tys. złotych. Tę właśnie kwotę NZF uznał w swoim raporcie za graniczną. **Łączne koszty leczenia dla tej grupy wyniosły 2 185 289 176 zł,** co stanowiło **4,45 proc. kwoty kosztów świadczeń opieki zdrowotnej ogółem**. Za jednego pacjenta z grupy „najdroższych” NFZ płaci średnio sto razy więcej niż za jednego przeciętnego ubezpieczonego”.

http://www.medexpress.pl/start/najdrozsi-pacjenci-nfz/?utm_source=INIS&utm_medium=email&utm_campaign=Show-biznes%2C+kariera+i+%C5%9Bmiertelny+na%C5%82%C3%B3g

KRYTERIA OCENY LEKU

- Kryteria kliniczne
- Kryteria ekonomiczne
- Kryteria etyczne

UTYLITARYZM

- Czyn jest słuszny wtedy, gdy przyczynia się do zwiększenia sumy dobra ogółu (użyteczność).

- QALY jako miara użyteczności w ekonomice zdrowia. Próg NICE: 3 x PKB per capita. PL – ok 100 tys.

  – Nie da się moralnie usprawiedliwić leczenia wielu chorób rzadkich, a zwłaszcza ultrarzadkich.

  – Rachunek ekonomiczny nie pozostawia miejsca na współczucie.

ETYKA PRAW MORALNYCH

- Każdy ma prawo do minimum opieki zdrowotnej
  - Co stanowi minimum opieki zdrowotnej w przypadku chorób rzadkich i ultrarzadkich?
  - Kto ma obowiązek respektowania tego prawa?
  - Jak należy postępować w sytuacji konfliktu różnych praw moralnych?
  - Retoryka praw moralnych jest retoryką konfliktu.

ETYKA SOLIDARNOŚCI

- Przypowieść o Dobrym Samarytaninie. Mamy moralny obowiązek pomocy tym, którzy są w potrzebie (zagrożenie życia i zdrowia)
  - Kto jednak i w jakiej mierze ma ten obowiązek wobec osób cierpiących na choroby rzadkie i ultrarzadkie?
  - Jak stosować zasadę solidarności w praktyce?
- SOLIDARNOŚĆ? TAK. Ale przede wszystkim z kim?

ETYKA - KONKLUZJE

ŻADEN SYSTEM MORALNY NIE DOSTARCZA ROZWIĄZANIA ZGODNEGO Z NASZYM **POCZUCIEM SPRAWIEDLIWOŚCI**

NIEPEWNOŚĆ MORALNA

- **UTYLITARYZM**: mogliśmy pomóc 123 osobom i nie pomogliśmy. Wyrzuty sumienia. Poczucie zawinionego zła. Poczucie niepewności moralnej.

- **ETYKA PRAW I ETYKA SOLIDARNOŚCI**: pomogliśmy 123 osobom, ale czyim kosztem? Ile istnień ludzkich, ile cudzego bólu i cierpienia poświęcilismy? *Opportunity costs!* Ale czy mieliśmy inne wyjście? Poczucie niepewności moralnej.

NIEPEWNOŚĆ MORALNA JEST INTEGRALNĄ CECHĄ KONDYCJI CZŁOWIECZEJ

Ale można ją minimalizować

Rozwiązanie prowizoryczne

- Fundusz chorób rzadkich w celu finansowania leków sierocych spoza koszyka
- Każdy pacjent z chorobą rzadką ma prawo do korzystania z funduszu, jeśli spełnia określone warunki
- Rejestr pacjentów, komisja, reguły dystrybucji

Casus - Szkocja

- **Medicines Fund**
- 14/01/2013
- The Scottish Government is launching a fund to cover the cost of medicines for individual patients with rare conditions, which are not available for routine prescription.
- £21 million will be invested to pay for the cost of medicines known as “orphan drugs”. These are medicines for illnesses which affect fewer than 1 in 2,000 people.
- Only those medicines not recommended for routine use by the Scottish Medicines Consortium will be covered by the fund.

http://www.scotland.gov.uk/News/Releases/2013/01/medicines-fund14012013

Wnioski

1. Im bardziej ograniczone są zasoby finansowe systemu, tym większe znaczenia ma zasada kosztów alternatywnych (*opportunity costs*). Radykalne zwiększenie nakładów na leczenie chorób rzadkich, zawsze dokona się kosztem interesów innych grup pacjentów. Narusza to zasadę równości praw

2. Jeśli decydujemy się finansować leczenie chorób rzadkich w sytuacji, gdy nie jest to kosztowo efektywne (powyżej progu 3 PKB/c), musimy to jednoznaczenie uzasadnić i stworzyć taki mechanizm ich finansowania, który wyłączy leki pewne sieroce z koszyka świadczeń NFZ. Należy utworzyć Fundusz Chorób Rzadkich.

3. Nie jest możliwe rozwiązanie problemu dostępności leków sierocych bez całościowej, strategicznej refleksji dotyczącej elementarnych zasad sprawiedliwości w polskim systemie zdrowia i opieki społecznej w warunkach zmieniającego się paradygmatu medycyny. Nowe technologie medyczne + medycyna osobista (*personalised medicine*) oznaczają w przyszłości lawinowy wzrost liczby chorób rzadkich. Fundusz chorób rzadkich jest z natury rozwiązaniem prowizorycznym.