Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich
Orphan

Member of EURORDIS Rare Diseases Europe

Warszawa, 22 marca 2016 - Mirosław Zieliński

WATCHHEALTHCARE

LEKI SIEROCE

Dostępność w Polsce
i
innych krajach UE

Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich
Orphan

Member of EURORDIS Rare Diseases Europe

Warszawa, 22 marca 2016 - Mirosław Zieliński

WATCHHEALTHCARE

LEKI SIEROCE

Dostępność, ograniczenia i wyzwania dla Polski

LEKI SIEROCE – RZADKIE CHOROBY

Rzadka choroba - Rozporządzenie UE 141/2000 art. 3 : za rzadką chorobę uważa się stan chorobowego występujący nie więcej niż u 5 na 10 tys. osób.

Rzadkie Choroby: 6.000 - 8.000

Leki sieroce: produkty lecznicze przeznaczone do diagnozowania, zapobiegania i leczenia chorób rzadkich

Leki sieroce są stosowane do leczenia chorób rzadkich.

Nazwano je tak, ponieważ w normalnych warunkach rynkowych przemysł farmaceutyczny nie ma istotnego interesu w opracowywaniu i sprzedawaniu produktów przeznaczonych tylko dla niewielkiej liczby pacjentów cierpiących na bardzo rzadkie choroby.

LEKI SIEROCE – GENEZA

Orphan Drug Act 1983 - Dzięki wysiłkom kongresmena Waxmana, aktora Jacka Klugmana i wsparciu tysięcy ludzi udało się doprowadzić do podpisania przez Ronalda Regana, ówczesnego prezydenta Stanów Zjednoczonych, ustawy Orphan Drug Act. Zanim weszła w życie, w USA dostępnych było jedynie 10 leków stosowanych w terapii rzadkich chorób. Obecnie liczba ta wzrosła do około 300 preparatów.

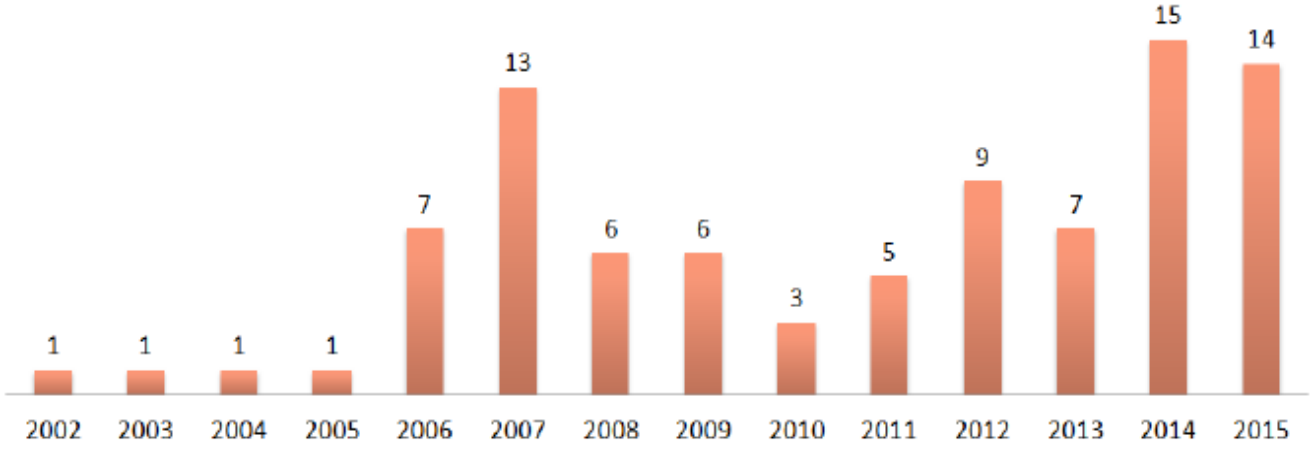
EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

COMP 2000 r. - Rozporządzenie (WE) Nr 141/200 Parlamentu Europejskiego i Rady w sprawie sierocych produktów leczniczych. Unia Europejska powołała Komitet ds. Sierocych Produktów Leczniczych - COMP oraz wprowadziła własny system ulg i zachęt, które mają ułatwić firmom wprowadzanie na rynek leków sierocych.

LEKI SIEROCE w UE

Leki sieroce w UE 2016: **98** - Wspólnotowy Rejestr Sierocych Produktów Leczniczych

Number of orphan medicinal products in Europe with European orphan designation and European market authorisation by date of MA



Orphanet

http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf

ZASTOSOWANIE LEKÓW SIEROCYCH

A ALIMENTARY TRACT AND METABOLISM

B BLOOD AND BLOOD FORMING

C CARDIOVASCULAR SYSTEM

D DERMATOLOGICALS

G GENITO URINARY SYSTEM AND SEX HORMONES

H SYSTEMIC HORMONAL PREPARATIONS, EXCL,

J GENERAL ANTIINFECTIVES FOR SYSTEMIC USE

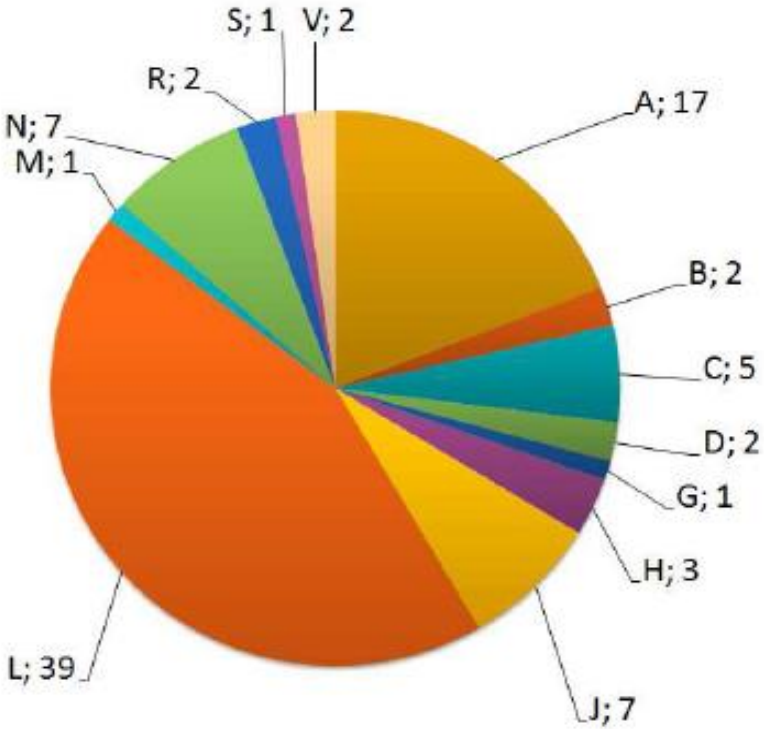
L ANTINEOPLASTIC AND IMMUNOMODULATING

M MUSCULOSKELETAL SYSTEM

N NERVOUS SYSTEM

R RESPIRATORY S SENSORY ORGANS V VARIOUS

Number of orphan medicinal products in Europe with European orphan designation and European market authorisation by ATC category



LEKI SIEROCE – CECHY i . . . niedopatrzenia

- **Żmudny i długotrwały proces badawczy i wynalazczy obarczony dużym ryzykiem finansowym**
- **Ekonomicznie nie opłacalne** - mała liczba potencjalnych pacjentów stanowi ograniczenie atrakcyjności
- **Wysoka cena**
- **Ograniczone dowody skuteczności EMB**
- **Ograniczona sprzedaż i możliwości refundacyjne**
- **Nie dostrzegane przez system opieki zdrowotnej**

W Polsce sieroce produkty lecznicze podlegają takiej samej procedurze oceny i ustalania ceny, jak wszystkie inne produkty lecznicze.

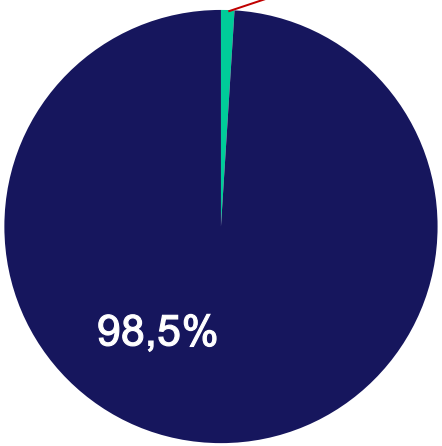
Standardowe poddawanie decyzji o zasadności refundacji leków sierocych rygorom HTA nie jest prawidłowe.

Komisja Europejska - Wyzwania Stojące przed Europą : W odniesieniu do HTA stwierdza się: ocena technologii medycznych w odniesieniu do leków sierocych, którą należy wykonać przed ustaleniem ceny i refundacji jest czynnikiem, który odgrwa decydującą rolę w opóźnianiu dostępu pacjentów do leczenia lub nawet w uniemożliwianiu im skorzystania z niego. Metody stosowane w ocenie efektywności kosztowej leków przeznaczonych do leczenia częstych schorzeń nie dotyczą leków sierocych . . . .

LEKI SIEROCE – ZASTOSOWANIE

~ 1,5% chorób rzadkich posiada ofertę lekową

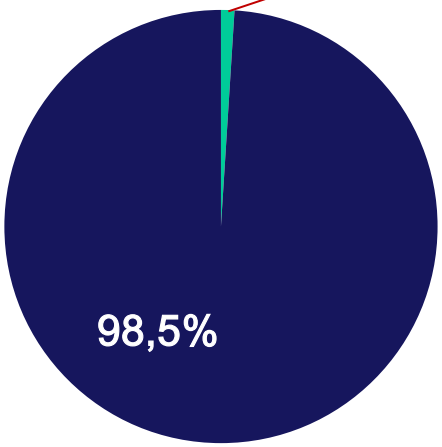
1,5% . . . ZALEDWIE



Rzadkie choroby dla których zarejestrowano przynajmniej jeden leczniczy produk

Rzadkie choroby bez oferty lekowej OMP

LEKI SIEROCE – ZASTOSOWANIE



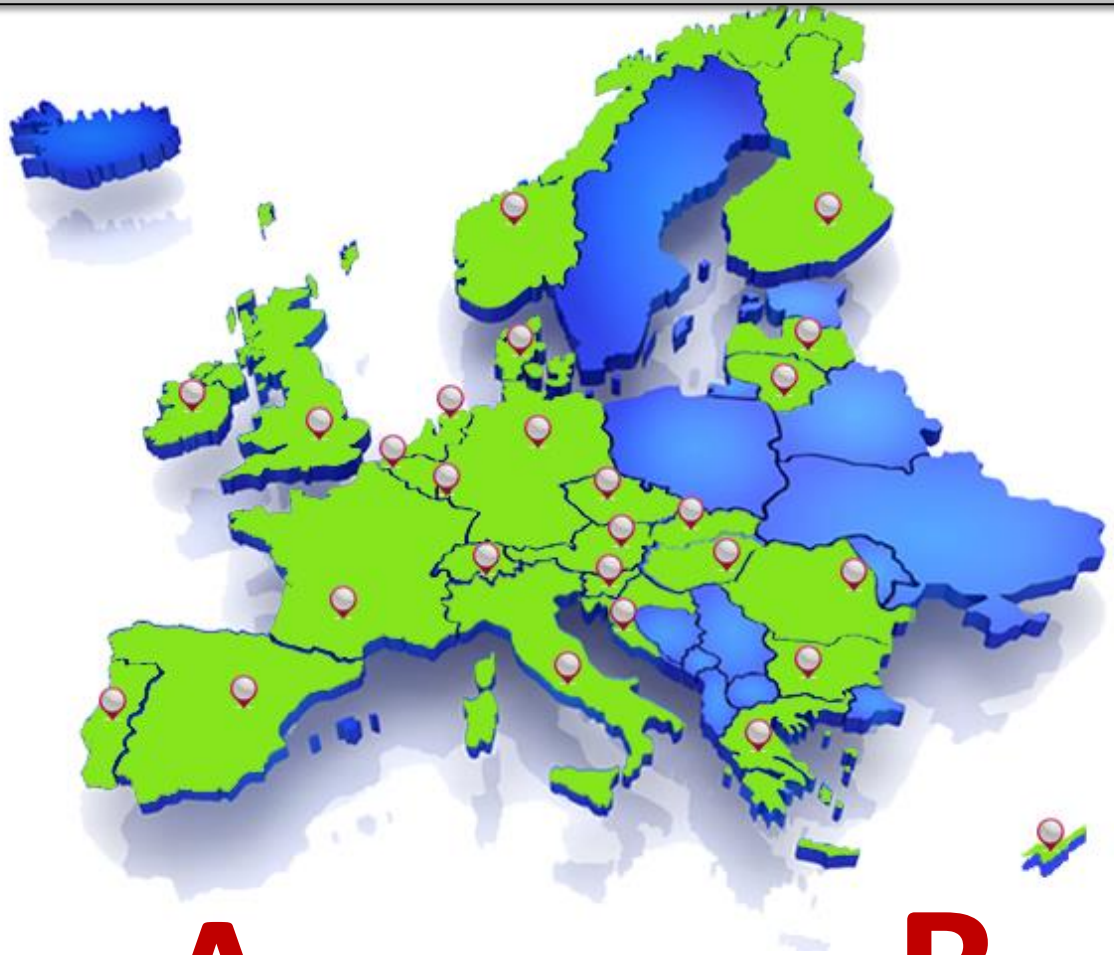
~112/16

Rzadkie choroby dla których zarejestrowano przynajmniej jeden leczniczy produk

Rzadkie choroby bez oferty lekowej OMP

Również . . . ZALEDWIE

PRZYCZYNY I WYZWANIA



Jak powiemy A to musimy też powiedzieć B

USTAWOWE WYZWANIA WOBEC LEKÓW SIEROCYCH

QALY nie dla leków sierocych

Zespoły Parlamentarne ds. Chorób Rzadkich oraz ds. Onkologii, w stanowisku z 9 września 2014 r. rekomendowały Ministrowi Zdrowia RP aby wydając decyzję administracyjną o objęciu refundacją które na podstawie odrębnych przepisów oznaczone zostały jako sierocy produkt leczniczy lub przeznaczone są do terapii konkretnych wskazań onkologicznych w schyłkowej fazie życia, nie uwzględniał kryterium, o którym mowa w art. 12 pkt. 13, przy czym rekomendowane odstąpienie od stosowania w/w kryterium dotyczy dotychczas nie refundowanej w Polsce technologii medycznej, w sprawie której złożony został pierwszy wniosek o objęcie refundacją, **w danym wskazaniu medycznym, którego zachorowalność nie przekracza więcej niż 1 przypadek na 50 tysięcy mieszkańców lub którym dotknięte jest nie więcej niż 700 osób w kraju.**

WYZWANIA DLA HTA LEKÓW SIEROCYCH

Standardowe poddawanie decyzji o zasadności refundacji leków sierocych rygorom HTA nie jest prawidłowe.

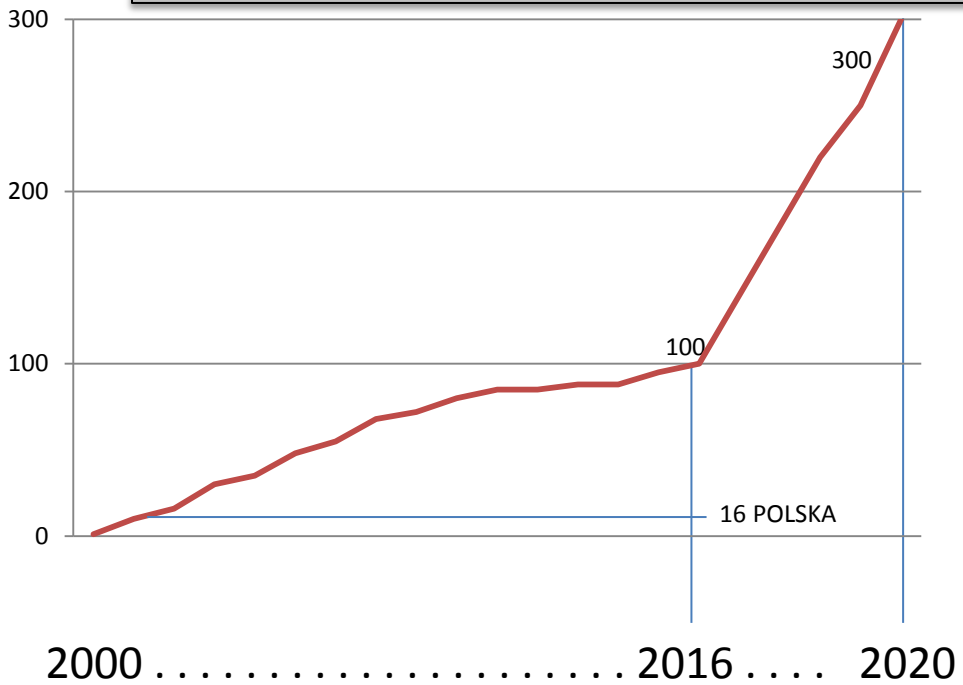
Wielokrotnie w Polsce okazuje się, że lek od lat stosowany jako skuteczny w całej Europie, w Polsce uznany jest za nieskuteczny i nieefektywny klinicznie.

Obecnie w UE trwają prace nad nowelizacją dyrektywy transparentności. Efektem będzie zakaz ponownej oceny HTA w stosunku do leków i technologii, które uzyskały status sierocego produktu medycznego wydany przez COMP przy EMA.

Ocena technologii medycznych (HTA) stosowana wobec leków i technologii sierocych powinna mieć inny zakres niż obecnie stosowany przez AOTMiT.

WYZWANIA I PROGNOZY DLA LEKÓW SIEROCYCH

Leki i technologie sieroce w COMP – prognoza : o 200 WIĘCEJ



IRDiRC
INTERNATIONAL RARE DISEASES RESEARCH CONSORTIUM

IRDiRC powstało z inicjatywy Komisji Europejskiej i National Institute of Health (USA) w celu wspierania współpracy międzynarodowej w dziedzinie badań nad rzadkimi chorobami.

IRDiRC łączy badaczy i organizacje inwestujące w badania, aby osiągnąć dwa główne cele: dostarczyć 200 nowych terapii dla rzadkich chorób i środki do diagnozowania większości rzadkich chorób **do końca roku 2020.**

OCZEKIWANE UREGULOWANIA DLA LEKÓW SIEROCYCH

W zakresie:

- compassionate use
- early access
- darowizn
- importu docelowego
- wprowadzenia odrębnego trybu wnioskowania refundacyjnego
- zwiększenia finansowania refundacji leków sierocych i przesunięcia tego obszaru do zadań budżetu państwa - (znaczenie środków)

Niezależnie od stosowanych leków sierocych jest jeszcze „lek sierocy”, bardzo pomocny zarówno w tych rzadkich, jak i zwykłych chorobach. Nie wymaga badań naukowych, procedur rejestracyjnych i nic nie kosztuje. Ten „lek sierocy” to okazanie każdej chorej osobie jej wartości, współczucia, nadziei i pocieszenia, które każdy może dać tym, którzy chorują.

prof. Waldemar Janiec

www.leki-sieroce.pl „Leki sieroce w doli i niedoli”

Imperatyw etyczny:

Pomoc innemu w potrzebie jest wpisana w naturę człowieka .....

w przypadku chorób rzadkich i leków sierocych polskie prawo nie nadąża za naszą etyką

Dostosujmy prawo..... wprowadzając

EGALITARYZM wobec LEKÓW SIEROCYCH

Dziękuję z uwagę

www.rzadkiechoroby.pl

Mirosław Zieliński