Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich
Orphan

Kwestie etyczne związane z leczeniem chorób rzadkich w Polsce

Prezes KFO - Mirosław Zieliński

Imperatyw etyczny:

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

Etyka a prawo.....

w przypadku chorób rzadkich polskie prawo nie nadąża za naszą etyką

LECZENIE CHORÓB RZADKICH W UE

ROZPORZĄDZENIE (WE) NR 141/2000 PARLAMENTU EUROPEJSKIEGO I RADY
z dnia 16 grudnia 1999 r.
w sprawie sierocych produktów leczniczych
PARLAMENT EUROPEJSKI I RADA UNII EUROPEJSKIEJ,
uwzględniając Traktat ustanawiający Wspólnotę Europejską, w szczególności jego art. 95,
uwzględniając wniosek Komisji[1],
uwzględniając opinię Komitetu Ekonomiczno-Społecznego[2],

W punkcie 11 preambuły jasno podkreśla wskazuje że:

11) Choroby rzadkie zostały wskazane jako obszar priorytetowy działania Wspólnoty w ramach działania w zakresie zdrowia publicznego; Komisja, w swym komunikacie dotyczącym programu działania Wspólnoty w zakresie chorób rzadkich w ramach działania w obszarze zdrowia publicznego, podjęła decyzję o przyznaniu chorobom rzadkim priorytetu w ramach działań w zakresie zdrowia publicznego; Parlament Europejski oraz Rada przyjęły decyzję nr 1295/1999/WE z dnia 29 kwietnia 1999 r. przyjmującą wspólnotowy program działania w dziedzinie rzadkich chorób w ramach działań w dziedzinie zdrowia publicznego (1999-2003)

LECZENIE CHORÓB RZADKICH W UE

1. Rada UE czerwca 2009 r. rekomendowała państwom członkowskim ustanowienie i realizację Planów dla chorób rzadkich, najlepiej nie później niż przed końcem 2013

Zalecenie Rady w sprawie działań w dziedzinie rzadkich chorób z dnia 8 czerwca 2009 r. (2009/C 151/02)

2. KONSULTACJE PUBLICZNE - RZADKIE CHOROBY: WYZWANIA STOJĄCE PRZED EUROPĄ - w zakresie HTA wobec leków sierocych:

Ocena technologii medycznych w odniesieniu do leków sierocych, którą należy wykonać przed ustaleniem ceny i refundacji jest następnym czynnikiem, który odgrywa decydującą rolę w opóźnianiu dostępu pacjentów do leczenia lub nawet w uniemożliwianiu im skorzystania z niego.

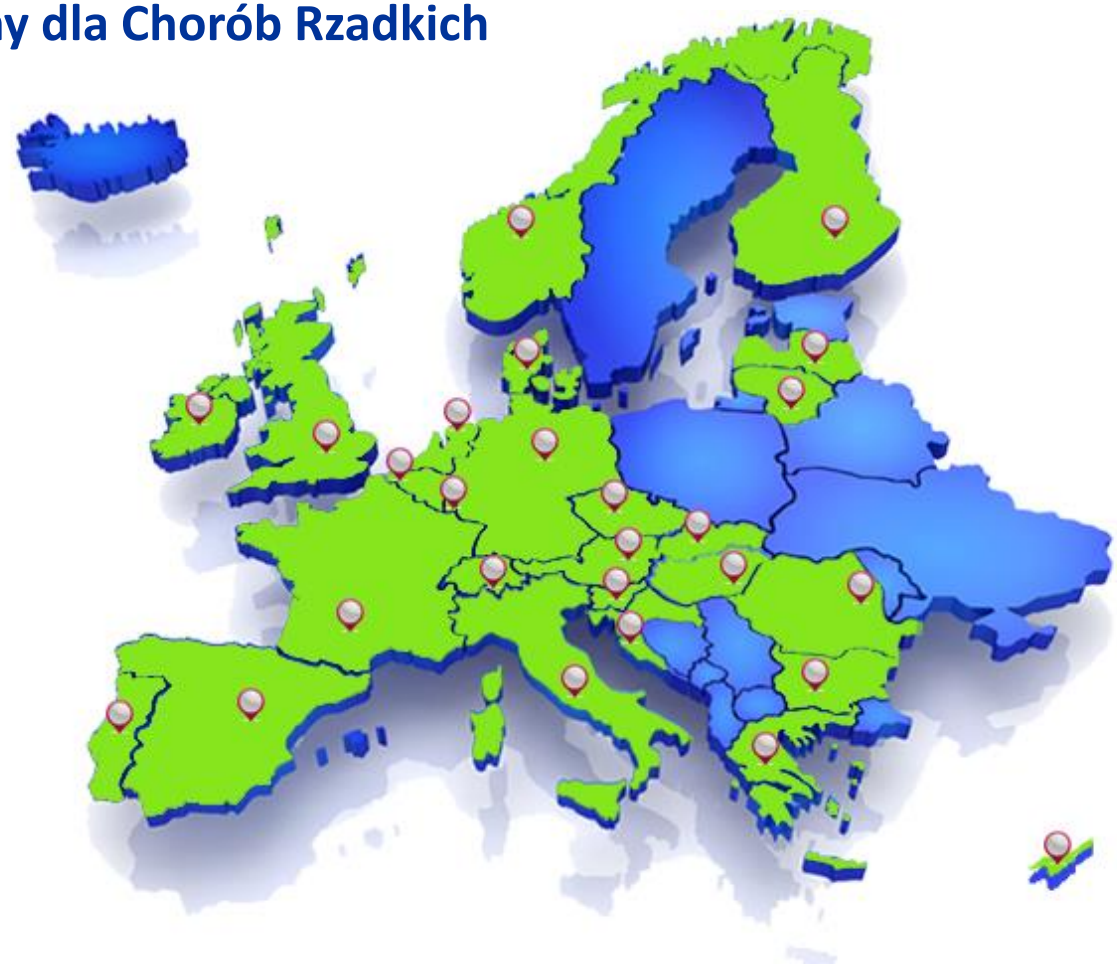
Metody stosowane w ocenie efektywności kosztowej leków przeznaczonych do leczenia częstych schorzeń nie dotyczą leków sierocych.

3. 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.

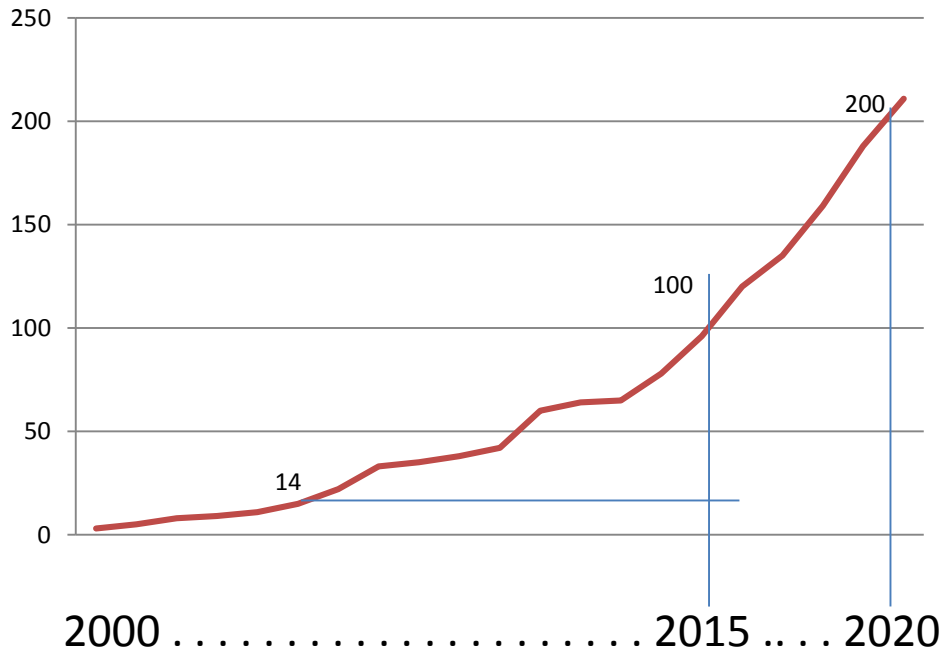
LECZENIE CHORÓB RZADKICH W POLSCE

Narodowe Plany dla Chorób Rzadkich



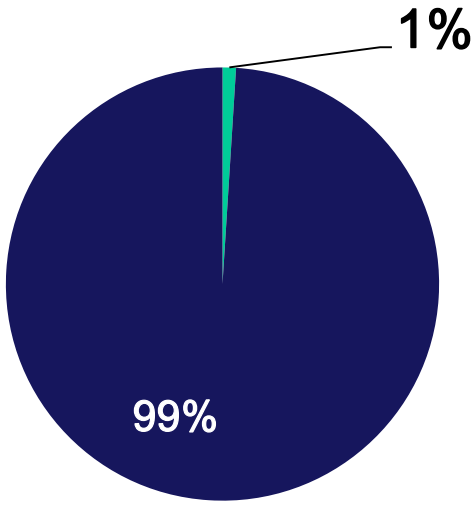
Refundacja leków i technologii sierocych

Leki i technologie sieroce w COMP - choroby ultra-rzadkie **prognoza**



Refundacja leków i technologii sierocych

% chorób rzadkich posiadających ofertę lekową

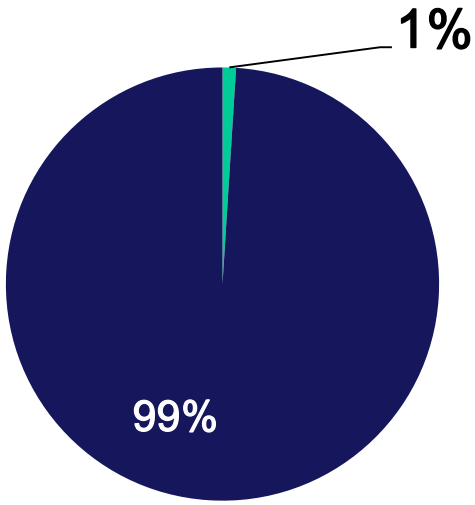


Rzadkie choroby dla których zarejestrowano przynajmniej jeden leczniczy produk

Rzadkie choroby bez oferty lekowej OMP

Refundacja leków i technologii sierocych w Polsce

% chorób rzadkich posiadających ofertę lekową



100/14

Rzadkie choroby dla których zarejestrowano przynajmniej jeden leczniczy produk

Rzadkie choroby bez oferty lekowej OMP

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

ETYKA A PRAWO W LECZENIU CHORÓB RZADKICH W POLSCE

Prawo nie nadąża za etyką:

1. **Ustawa refundacyjna nie rozróżnia OMP od leków „powszechnych”**

2. **Konkluzje z debaty EUROPLAN – 11’2013 nie wdrożone**

Zalecano dokonanie zmian ustawowych (ustawa refundacyjna) tak, aby AOTM, Komisja Ekonomiczna i Minister Zdrowia nie stosowali wskaźnikiem poziomu QALY przy ocenie i decyzji refundacyjnej w stosunku do leków i technologii sierocych. Uznano iż, stosowanie ograniczeń opłacalności klinicznej wobec chorób rzadkich nie powinno mieć miejsca. Do oceny i decyzji o refundacji zalecono stosować **podejście egalitarne**, a nie utylitarne, jak wobec schorzeń powszechnych. **Analiza ekonomiczna dla leków i technologii sierocych nie ma żadnego uzasadnienia.**

3. **Stanowisko Zespołów Parlamentarnych w sprawie stosowania kryterium „cost per QALY” nie respektowane**

Stanowisko

Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich i Parlamentarnego Zespołu ds. Onkologii w sprawie kryterium wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (cost per QALY) i odnoszenia wyników klasycznej analizy ekonomicznej do progu opłacalności

Parlamentarny Zespół ds. Chorób Rzadkich oraz Parlamentarny Zespół ds. Onkologii, mając na uwadze, zarówno aspekty merytoryczne, jak również istotne potrzeby społeczne i zdrowotne polskich Pacjentów, w rezultacie posiedzenia w dniu 9 września 2014 roku, po zapoznaniu się ze stanowiskami ekspertów oraz przedstawicieli środowisk pacjentów z zagadnieniem zastosowania w/w kryterium, jako czynnika ograniczającego dostęp pacjentów do innowacyjnych terapii sierocych, zdecydowały się zająć stanowisko w sprawie.

Zważywszy, że:

1. Brak ustawowych regulacji w zakresie chorób rzadkich (w tym rzadkich schorzeń onkologicznych), dotychczasowe doświadczenia oraz wyraźne potrzeby społeczne idące w ślad za doktryną europejską, promującą egalitarne podejście wobec chorób rzadkich, wyrażaną w konsultacjach, zaleceniach Rady i przedmiotowych rozporządzeniach UE ((2009/C 151/02); Rozp. [WE] 141/2000), wskazują na potrzebę nowelizacji tzw. ustawy refundacyjnej;
2. Choroby rzadkie zostały wskazane jako obszar priorytetowy działań Unii Europejskiej w zakresie zdrowia publicznego;

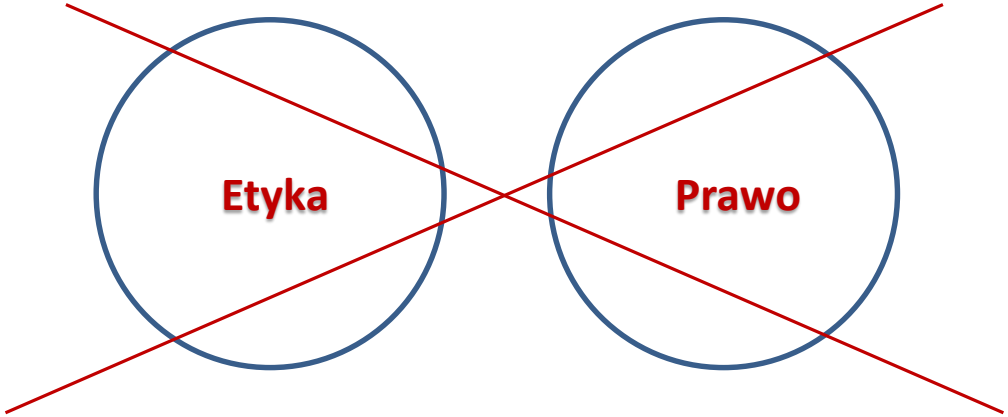
3. Zarówno zalecenia EUCERD, EUROPLAN, jak i przyjęta przez Ministra Zdrowia struktura Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich zakładają potrzebę zwiększenia dostępu do innowacyjnych leków oraz technologii medycznych;
4. Stanowiska eksperckie oraz zalecenia z debaty EUROPLAN II oraz Petycja Kongresu Chorób Rzadkich i Leków Sierocych, a także wnioski krajowych organizacji Pacjentów, wskazują na społecznie uzasadnioną potrzebę egalitarnego traktowania chorób rzadkich i niezbędne, zgoła odmienne finansowe podejście do zagadnień efektywności kosztowej w ramach oceny sierocych technologii medycznych (OMP - orphan medicinal product), prowadzonej w ramach postępowań administracyjnych o objęcie leków i technologii sierocych refundacją;
5. Pomimo korzystnych wyników ekonomicznego rozwoju kraju i średniego w skali UE wskaźnika PKB per capita, w Polsce od lat notowany jest najniższy poziom refundacji leków sierocych (OMP) w UE, co opóźnia i ogranicza wyrównanie dostępu pacjentów cierpiących na rzadkie choroby do leków sierocych. Spośród 94 zarejestrowanych przez COMP sierocych produktów medycznych, w Polsce refundowane jest tylko 14.

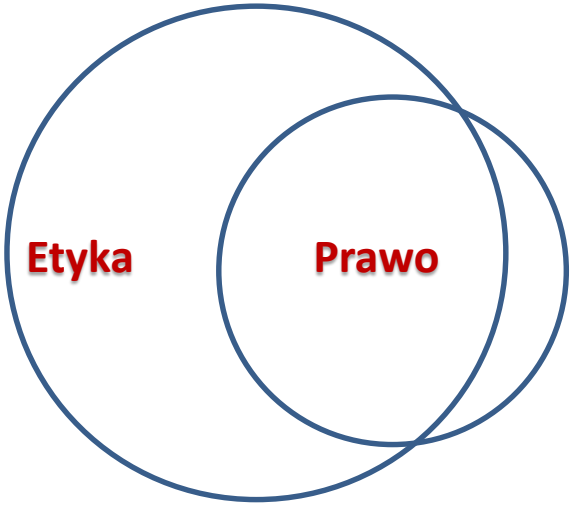
Zespół Parlamentarny ds. Chorób Rzadkich wraz Parlamentarnym Zespołem ds. Onkologii, z zaangażowaniem i w trosce o dobro oraz prawa polskich Pacjentów, wykonując swoje parlamentarne regulaminowe zadania, rekomendują Ministrowi Zdrowia RP oraz podległym mu organom i zespołom doradczym (AOTM i Komisja Ekonomiczna), aby do czasu nowelizacji ustawy refundacyjnej, we wszystkich przypadkach toczących się i przyszłych procesów administracyjnych o objęcie leków refundacją, wydając decyzję administracyjną o objęciu refundacją i ustaleniu urzędowej ceny zbytu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, które na podstawie odrębnych przepisów oznaczone zostały jako sierocy produkt leczniczy dla konkretnego wskazania medycznego (rejestracja OMP przez COMP/EMA) 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.

Poseł Barbara Czaplicka
Przewodnicząca
Parlamentarnego Zespołu
ds.
Chorób Rzadkich

Poseł Alicja Dąbrowska
Przewodnicząca
Parlamentarnego Zespołu
ds.
Onkologii

ETYKA A PRAWO





Konferencja Watch Health Care pokazała jak Polska jest prawnie i mentalnościowo zacofana w zakresie dostępu do leków sierocych.

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

Dr Krzysztof Łanda - Medexpres.pl

Ustawa wymaga od producentów leków sierocych analiz ekonomicznych i przewiduje wyłącznie utylitarne podejście **do podejmowania decyzji refundacyjnych, czyli analiz ekonomicznych dla leków sierocych z progiem opłacalności na poziomie 3xPKB/osobę/QALY.**

To wymaganie jest nieracjonalne, gdyż cena większości leków sierocych jest funkcją liczby leczonych chorych, a nie oceny innowacyjności terapeutycznej leku, czyli jego efektywności klinicznej względem głównych klinicznie istotnych punktów końcowych.

W przypadku technologii stosowanych w chorobach ultra rzadkich **konieczne jest podejście egalitarne** i wymaganie uzasadnienia ceny zamiast analizy ekonomicznej, której wartość informacyjna jest w tym przypadku nikła lub żadna.

Niestety w Polsce jak dotąd nie zadbaliśmy właściwie o osoby cierpiące na choroby rzadkie i ultra rzadkie, stawiając je poza nawiasem społeczeństwa, co widać po zapisach ustawy refundacyjnej.

Dziękuję z uwagę

Mirosław Zieliński

www.rzadkiechoroby.pl