MINISTERSTVO ZDRAVOTNICTVÍ
ČESKÉ REPUBLIKY

Léčba vzácných onemocnění

legislativní rámec pro léčbu vzácných onemocnění

Mgr. Filip Vrubel
ředitel odboru farmacie

17. června 2011

Legislativní rámec léčby vzácných onemocnění

Směrnice Evropského parlamentu a Rady č. 2001/83/ES

Nařízení Evropského parlamentu a Rady č. 141/2000 o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění

Nařízení Komise č. 847/2000, kterým se stanoví prováděcí pravidla ke kritériím pro stanovení léčivého přípravku jako léčivého přípravku pro vzácná onemocnění

Zákon č. 378/2007 Sb., o léčivech

Zákon č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění

Co jsou to vzácná onemocnění?

Neexistuje přímá definice; nepřímá definice odvozena od léčiv určených k léčbě vzácných onemocnění

Nařízení Evropského parlamentu a Rady č. 141/2000

...život ohrožující nebo chronicky invalidizující onemocnění postihující ne více než pět z 10 000 osob v EU...

Co je to léčivý přípravek pro léčbu vzácného onemocnění?

Nařízení Evropského parlamentu a Rady č. 141/2000

Jedná se o léčivý přípravek, který je

a) určen pro diagnostiku, prevenci nebo léčbu vzácného onemocnění,

nebo

b) je určen pro diagnostiku, prevenci nebo léčbu život ohrožujícího, závažně invalidizujícího nebo závažného a chronického onemocnění přičemž bez pobídek je nepravděpodobné, že by uvedení takového přípravku na trh v EU vytvořilo dostatečný zisk pro odůvodnění nezbytných investic.

Zároveň neexistuje uspokojivý způsob diagnostiky, prevence nebo léčby daného onemocnění registrovaný v EU nebo, pokud takový způsob existuje, posuzovaný léčivý přípravek přinese významný užitek těm, kteří jsou postiženi daným onemocněním.

Proces vývoje a registrace léčiv k léčbě vzácných onemocnění

Nařízení Evropského parlamentu a Rady č. 141/2000

1. Designace léčivého přípravku

2. Registrace léčivého přípravku

1. Designace léčivého přípravku

- udělení statutu léčivého přípravku pro vzácná onemocnění v jakémkoliv stádiu vývoje (před registrací)
- pouze pokud se prokáže, že léčivý přípravek je způsobilý ovlivnit vzácné onemocnění ve smyslu definice (slide 4)
- doporučuje speciální Výbor pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění (COMP) zřízený při Evropské lékové agentuře (EMA)
- konečné rozhodnutí přijímá a oznamuje Evropská Komise
- přípravek se zapíše do registru EU pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění
- udělení tohoto statutu umožňuje čerpat pobídky ze strany EU a speciální dodatková práva týkající se tohoto přípravku

Pobídky a práva vyplývající z designace

- Poradenství při přípravě žádosti o registraci léčivého přípravku pro vzácná onemocnění (rady COMP k provádění různých zkoušek a hodnocení nezbytných pro prokázání jakosti, bezpečnosti a účinnosti léčivého přípravku)
- Nižší poplatky nebo i odpuštění poplatků za registraci léčivého přípravku pro vzácná onemocnění
- Exkluzivita na trhu po dobu 10 let (v této lhůtě nesmí být podána žádost o registraci žádného jiného léčivého přípravku na podobnou léčebnou indikaci – orphan diagnózu)
- Jiné pobídky (finanční podpora výzkumu a vývoje v rámci dotačních programů)

2. Registrace léčivého přípravku

- Standardní registrace centralizovanou procedurou postupem podle nařízení Evropského parlamentu a Rady č. 726/2004

Léčba vzácných onemocnění v České republice

1. Národní strategie pro vzácná onemocnění
usnesení vlády č. 466/2010

2. Zákon o léčivech

zákon č. 378/2007 Sb.

3. Zákon o veřejném zdravotním pojištění

zákon č. 48/1997 Sb.

1. *Národní strategie pro vzácná onemocnění*

- cílem národní strategie je zefektivnit diagnostiku a léčbu vzácných onemocnění a zajistit všem pacientům se vzácným onemocněním přístup k indikované a vysoce kvalitní zdravotní péči a následné sociální začlenění, a to na základě rovného zacházení a solidarity
- navrhovaná opatření:
  - zlepšení informovanosti o vzácných onemocněních
  - vzdělávání v oblasti vzácných onemocnění
  - zlepšení diagnostiky vzácných onemocnění a screening
  - zlepšení léčby a kvality péče
  - zlepšení kvality života a sociálního začlenění pacientů
  - podpora vědy a výzkumu v oblasti vzácných onemocnění

2. *Zákon o léčivech*

§ 11 písm. h)

„Ministerstvo zdravotnictví činí opatření za účelem zajištění dostupnosti léčivých přípravků významných pro poskytování zdravotní péče a přijímá opatření na podporu výzkumu, vývoje a dostupnosti léčivých přípravků pro vzácná onemocnění a léčivých přípravků, které mohou být jako takové stanoveny, jakož i léčivých přípravků pro použití v dětském lékařství.“

- možnost zajištění neregistrovaných léčivých přípravků pro české pacienty v podobě specifického léčebného programu
- podpora dostupnosti nemá vliv na úhradu ze zdravotního pojištění – dostupnost je o přítomnosti v ČR (v distribuci, na příslušných pracovištích zdravotnických zařízení, apod.)

3. *Zákon o veřejném zdravotním pojištění*

- není speciální úprava určená výhradně pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění
- včlenění pod institut „vysoce inovativní přípravek“

  příloha k vyhlášce č. 92/2008 (bod A.1)

  Za vysoce inovativní léčivé přípravky se považují přípravky, které lze jako první využít k léčbě vysoce závažného onemocnění, jež dosud nebylo ovlivnitelné účinnou terapií, a které mají klinicky významnou účinnost při terapii tohoto onemocnění.
- možnost využití institutu dočasné úhrady do doby předložení potřebných náležitostí ke stanovení trvalé úhrady z veřejného zdravotního pojištění

Dočasná úhrada

- umožňuje se krátkodobá úhrada přípravku, u něhož není znám dostatek údajů o nákladové efektivitě nebo výsledcích léčby při použití v klinické praxi, odůvodňují-li dostupné údaje dostatečně průkazně přínos vysoce inovativního přípravku pro léčbu
- dočasná úhrada na dobu 12 měsíců, a to až třikrát
- poté úhrada podmíněna stanovením „trvalé“ úhrady standardním procesem, ve kterém bude muset prokázat mj.
  - jeho terapeutická účinnost a bezpečnost,
  - závažnost onemocnění, k jejímuž léčení je určen,
  - nákladová efektivita a náklady a přínosy vyvolané jeho užíváním s ohledem na jednoho pojištěnce a celkové náklady na zdravotní péči hrazenou ze zdravotního pojištění,
  - předpokládaný dopad úhrady na finanční prostředky zdravotního pojištění,
  - doporučené postupy odborných institucí a odborníků, a to vždy z hlediska nákladové efektivity a s ohledem na dopad na finanční prostředky zdravotního pojištění.

Úhrada léčiv pro vzácná onemocnění

- s ohledem na veřejný zájem je účelné koncentrovat podávání vysoce inovativních léčiv do vybraných zdravotnických zařízení zaručujících hospodárné užití takového přípravku na nejvyšší odborné úrovni
- přípravek účtuje zdravotní pojišťovně pouze specializované pracoviště, a to na základě smlouvy uzavřené mezi ním a příslušnou zdravotní pojišťovnou, jako zvlášť účtovaný přípravek
- specializovaná pracoviště jsou postupně nasmlouvávána zdravotními pojišťovnami (v současnosti VZP např. specializovaná onkologická nebo hematoonkologická pracoviště nebo pracoviště pro léčbu metabolických onemocnění)
- centralizace péče vede ke specializaci odborníků-lékařů, úzké spolupráci s odbornými společnostmi a poskytování zdravotní péče v nejvyšší možné kvalitě

Úhrada léčiv pro vzácná onemocnění

- Léky vykázané specializovanými centry v r. 2010 představovaly náklady zdravotních pojišťoven ve výši 7 miliard Kč
- Jedná se o vysoce nákladnou léčbu – cca 0,01 % pojištěnců v ČR se vysoce závažnými onemocněními čerpají cca 2 % ročních nákladů na léky

		př. náklady VZP:
Fabryho choroba	100 mil. Kč ročně	25 pacientů
Gaucherova choroba	100 mil. Kč ročně	22 pacientů
jiné metabolické vady (Pompeho choroba, mukopolysacharidosa, tyrosinemie, aj.)	65 mil Kč ročně	18 pacientů
plicní arter.hypertenze	205 mil. Kč	255 pacientů
pneumologie (CHOPN)	20 mil. Kč	9 pacientů

Př. mimo vzácná onemocnění (ovšem taktéž centrová léčba):

roztroušená skleróza	900 mil. Kč	~ 3.650 pacientů

Dostupnost léčiv pro vzácná onemocnění

- Jako registrované léčivé přípravky
  - rozšíření počtu specializovaných center
  - účelná farmakoterapie
  - zajištění pacientských registrů, osvěta veřejnosti
  - monitoring účelnosti léčby a nákladů

- Jako neregistrované léčivé přípravky
  - specifický léčebný program
  - individuální použití neregistrovaného léčivého přípravku s odpovědností předepisujícího lékaře
  - klinické zkoušky

Dostupnost léčby vzácných onemocnění

Výzvy, kterým je nutno čelit při rozšiřování dostupnosti léčby

- Počet léčiv pro vzácná onemocnění dramaticky roste
  - v r. 2000 14 designovaných léčiv pro vzácná onemocnění
  - v r. 2005 342 designovaných léčiv pro vzácná onemocnění
  - v r. 2011 867 designovaných léčiv pro vzácná onemocnění
- Počet nově klasifikovaných orphan diagnóz roste
  - více než 8 000 různých variací vzácných onemocnění
  - mnohé stále dosud nekódovány (v MKN-10 pouze 200)
- Zlepšuje se diagnostika, programy prevence, včasnost odhalení nemoci
  - dřívější zachycení nemoci → vyšší počet pacientů
  - dřívější nasazení farmakoterapie → delší léčba
  - vyčleňování nových orphan diagnóz z orphan diagnóz
  - kategorizace „starých“ orphan diagnóz do vícero druhů

Dostupnost léčby vzácných onemocnění

- podpora dostupnosti léčiv pro vzácná onemocnění je v současnosti prováděna především nepřímými metodami (úspory systému u levných léčiv, receptových léčiv, apod. které budou využity k navýšení nákladů na drahé, centrové léky)
- v současném finančním stavu systému zdravotního pojištění nelze bohužel dosáhnout toho, aby všem pacientům se vzácným onemocněním byly poskytnuty bezplatně příslušné léčivé přípravky
- systém pracuje na lepší dostupnosti a rozšíření počtu léčených pacientů, nicméně v delším horizontu
- jakékoliv výraznější posuny v otázkách vyšší míry úhrady léčby vzácných onemocnění jsou realizovatelné jedině se zásadní změnou systému zdravotního pojištění nebo v případě značného navýšení stavu financí v tomto systému

Závěr

„V případě úhrady nových léčivých přípravků ´orphan drugs´ z prostředků veřejného zdravotního pojištění bude nutné dbát na zajištění fiskální (rozpočtové) rovnováhy systému veřejného zdravotního pojištění. K tomuto bude nezbytné vytvořit nástroje, které zajistí očekávanou finanční stabilitu v proporcionalitě k výše deklarovaným principům dostupnosti léčby.“

Usnesení vlády ČR č. 466/2010
Národní strategie pro vzácná onemocnění

MINISTERSTVO ZDRAVOTNICTVÍ
ČESKÉ REPUBLIKY

Děkuji za pozornost!

Mgr. Filip Vrubel
odbor farmacie