

Potřebujeme legislativu a centrovou péči, žádají pacienti se vzácnými chorobami

Je jich šest až osm tisíc a jen v ČR jimi může trpět až 800 tisíc pacientů. Přesto nemají vzácná onemocnění žádné ukotvení v české legislativě – a to ani v případě léků na vzácná onemocnění, tzv. orphan drugs. Ty tak při vstupu na náš trh musí splnit stejné podmínky jako léky určené pro tisíce pacientů, i když je v lepším případě bude užívat maximálně pár stovek lidí.

„Léky na vzácná onemocnění nyní spadají do skupiny vysoce inovativních léčivých přípravků a jejich vstup na trh je někdy velmi obtížný. Dostávají totiž nejdřív takzvanou dočasnou úhradu na dva, maximálně tři roky, přičemž držitel o registraci musí dodat údaje o účinnosti a bezpečnosti a zároveň studie o nákladové efektivitě. To je pro mnoho těchto přípravků téměř nemožné. Je smutné, že trvá v průměru dva roky, než se lék, který už je registrován centrálně u Evropské lékové agentury, dostane k českému pacientovi,“ řekla na semináři věnovaném vzácným onemocněním, který se konal v Poslanecké sněmovně, onkoložka Kateřina Kubáčková z FN Motol.

Celý proces tak podle Kubáčkové, která je členkou výboru pro vzácná onemocnění pod Evropskou lékovou agenturou, probíhá zbytečně nadvakrát – na české úrovni se opakuje, i když už přípravek dříve prošel sítím evropských odborníků. Mezitím se musí čeští lékaři individuálně dohadovat s plátcí zdravotního pojištění, zda lék pro pacienta se vzácným onemocněním uhradí.

SÚKL vysvětluje

Podle českého lékového ústavu je ovšem postup dodržovaný u nás zárukou, aby se na trh automaticky nedostávaly drahé léky, které za sebou ještě nemají dostatečně dlouhou klinickou praxi.

„Vysoce inovativní léčivé přípravky mají dle platné legislativy mírně odlišné postavení oproti standardním léčivým přípravkům. Žadatel je pro přiznání dočasné úhrady mimo jiné povinen prokázat, jakým způsobem zajistí průběžné hodnocení terapie, limitaci dopadu dočasné úhrady na prostředky zdravotního pojištění, hodnocení nákladové efektivity a hrazení nákladů na doléčení pacienta přípravkem po uplynutí doby, na kterou byla stanovena dočasná úhrada. Postup je možné chápat jako prodloužené období pro další shromažďování dat z klinické praxe pro podporu účinnosti, bezpečnosti a přínosu léčby, přičemž je pacientům zajištěna její dostupnost. Sběr dat z klinické praxe včetně údajů o nákladové efektivitě je důležitý také pro budoucí konstrukci analýzy nákladové efektivity za účelem stanovení trvalé úhrady ze zdravotního pojištění,“ uvádí Státní ústav pro kontrolu léčiv (SÚKL). Ten také zdůrazňuje, stanovování úhrad se provádí ve správních řízeních, jejichž účastníky jsou kromě držitele registrace i zdravotní pojišťovny. „Rychlost vstupu léčivého přípravku na trh tedy nezávisí pouze na činnosti ústavu, ale také na postupu jednotlivých účastníků řízení,“ doplňuje lékový ústav k délce schvalování úhrad.

Rozdíl mezi námi a Evropskou lékovou agenturou je také v tom, že v Evropě se na schvalování léku podílejí nejen zástupci členských států, ale také patientských organizací –

a to se stejným hlasovacím právem. V ČR se pacienti nezapojují ani do rozhodovacích procesů na úrovni lékového schvalování, ani do jednání o úhradách. Jak ovšem podotkla Jana Petrenko z Koalice pro zdraví, ani samy patientské organizace nemají v Česku zakotvení.

Impulsy k vývoji léků

V EU je legislativa ohledně vzácných onemocnění ošetřena od roku 1999 nařízením Evropského parlamentu o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění. Už tehdy byli jedním z hlavních aktérů zástupci pacientů a rodiče nemocných dětí. Co bylo impulsem?

„I když je vzácných onemocnění hodně, u jednotlivých chorob jde někdy o desítky či stovky pacientů. Farmaceutický průmysl tedy neměl zájem investovat do něčeho, u čeho neexistovala reálná vyhlídka návratu investic. Nařízení evropské komise charakterizovaly stimuly pro farmaceutický průmysl, aby léky vyvíjel. Jedním z hlavních stimulů je desetiletá exkluzivita na trhu. Během této doby nemůže přijít žádný jiný lék, pokud nesplňuje podmínku, že je lepší, účinnější či výhodnější, co se týče bezpečnosti nebo aplikace,“ uvedla Kubáčková.

Že jsou orphan drugs široce diskutovaným problémem, potvrdil i náměstek ministra zdravotnictví Josef Vymazal. „Právě jsem zastupoval ministra v Miláně na setkání ministrů zdravotnictví a slova vzácné onemocnění a orphan drugs tam byla skloňována opakovaně na řadě jednání.“

Přesto se ale orphan drugs používají jen u jednoho procenta vzácných onemocnění, ostatní se léčí přípravky určenými primárně pro jiné diagnózy. V tuto chvíli je v EU schváleno 78 léků na vzácná onemocnění, na začátku roku pak inovativní farmaceutické společnosti vyvíjely 452 nových preparátů. Náklady zdravotních pojišťoven na orphan drugs už však podle Tomáše Doležala z Institutu pro zdravotní ekonomiku iHETA dosáhly vrcholu jak v EU, tak v ČR – v roce 2013 tvořily v ČR zhruba čtyři procenta nákladů na všechny léky, nyní podíl klesá na 3,8 procenta.

Potřebné finance pro centra

Vedle dostupnosti léků trápí české pacienty se vzácnými chorobami také organizace péče. „Je pro nás klíčové co nejrychlejší dostání se k odborníkům – a to nejen u nás, ale můžeme využít i nové směrnice o přeshraniční péči, která zvláště pacientům se vzácnými nemocemi umožňuje rychlý přístup k péči i za hranicemi v rámci EU,“ zdůraznila Anna Arellanesová, šéfkyně České asociace pro vzácná onemocnění.

Snahou patientských organizací je proto mít péči poskytovanou v rámci specializovaných center. V tom jim nyní ministerstvo přeje, což potvrdil i náměstek Vymazal. „V tuto chvíli řešíme centrovou péči, je to jedna z velkých priorit současné medicíny. Měl jsem právě jednání se zástupci neurologické společnosti o zřízení nových center v oboru dospělých i dětské neurologie,“ přiblížil Vymazal.

Jenže k narůstajícímu počtu center jsou třeba i finance – a to může být problém. „Mnohá centra nedostávají speciální úhrady. Uvedu příklad center pro kochleární implantace.

Nejdříve pojišťovny nebyly ochotny platit vůbec nic, takže centrum bylo pouze papírové. Pak začaly hradit, byť to zní absurdně, vždy jen jeden implantát, tedy jedno ucho. Poté, co se dětem sluch zlepšil na jedné straně a ony začaly přicházet s poruchami zad a páteře, protože pořád uchem otáčely, aby slyšely, teprve poté pojišťovny začaly hradit ucho druhé. Zkrátka chybí automatická vazba na úhrady,“ upozornil profesor Milan Macek, přednosta Ústavu biologie a lékařské genetiky FN Motol.

Michaela Koubová, Zdravotnický deník 30.10.2014