

REGULACJE PRAWNE DOTYCZĄCE LECZENIA CHOROÓB RZADKICH

20 kwietnia 2016r.

Opracowanie:
Irena Rej

TERMINOLOGIA

- **Choroby rzadkie** to bardzo rzadko występujące choroby uwarunkowane genetycznie, o przewlekłym i ciężkim przebiegu, w większości ujawniające się w wieku dziecięcym, dotyczą nie więcej niż 5 na 10 000 osób.
- **Leki sieroce** (*orphan medicinal products*) - leki desygnowane przez COMP (*Committee for Orphan Medicinal Products*). Dzięki tej desygnacji leki mają inne wymagania rejestracyjne (wymagania wobec badań klinicznych, procedury, opłaty) wynikające z rzadkości występowania choroby, liczebności populacji, przebiegu itp.
- **UWAGA!!!** Nie wszystkie leki stosowane w chorobach rzadkich mają desygnację ORPHAN!!!
 - Niektóre zostały zarejestrowane przed powołaniem COMP
 - Niektóre leki pospolite okazały się po pewnym czasie stosowania skuteczne również w leczeniu chorób rzadkich
 - Po upływie 10 lat od rejestracji, leki tracą status ORPHAN, ale dalej stosowane są w leczeniu tej samej rzadkiej choroby

UREGULOWANIA PRAWNE

Pierwszą regulację prawną dotyczącą leków sierocych stworzono w Stanach Zjednoczonych w 1983 roku. *Orphan Drug Act* wprowadził liczne zachęty do rozwoju prac nad tymi lekami, ułatwiając szybkie wprowadzenie ich do obrotu. Unia Europejska w roku 2000 wprowadziła **Rozporządzenie 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 16 grudnia 1999r.** w sprawie sierocych produktów leczniczych. Rozporządzenie to określiło wspólnotową procedurę oznaczania produktów leczniczych jako sieroce i zapewniło zachęty dla prac badawczo-rozwojowych dotyczących tych leków a także wprowadziło czasową ochronę rynkową producentów leków sierocych. Na mocy tego rozporządzenia powstał Komitet do spraw sierocych produktów leczniczych (COMP) przy Europejskiej Agencji Rejestracyjnej (EMA).

SYTUACJA W POLSCE

Po wejściu do UE Polska musiała dostosować swoją legislację do unijnych przepisów. Nadal jednak brakuje konkretnych przepisów umożliwiających dopuszczenie leku do leczenia na zasadzie Compassionate (czyli przed zakończeniem badań klinicznych w wyjątkowych przypadkach).

Refundacja leków sierocych jest tematem trudnym . Część leków bowiem jest finansowanych z budżetu Państwa ze względu na ich wysoko specjalistyczny charakter. Dla części leków wymaga się jednak każdorazowego rozpatrywania wniosku refundacyjnego dla każdego pacjenta.

REGULACJE EUROPEJSKIE

- Decyzja Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 29.04.1999 przyjmującą Wspólnotowy program działań wobec chorób rzadkich w ramach działań na rzecz zdrowia publicznego (1999-2003)
- Rozporządzenie (WE) Nr 141/200 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 16 grudnia 1999 w sprawie sierocych produktów leczniczych

REGULACJE EUROPEJSKIE

Wśród podstawowych osiągnięć obu regulacji należy wymienić następujące postanowienia:

- Choroby rzadkie zostały uznane za obszar priorytetowy działań w zakresie zdrowia publicznego UE.
- Pacjenci z chorobami rzadkimi mają prawo do takiej samej jakości, stopnia bezpieczeństwa oraz efektywności jak ci, którzy cierpią na schorzenia występujące częściej.

REGULACJE EUROPEJSKIE

Rozporządzenie określa konieczność dążenia w obrębie UE do sytuacji, w której pacjenci dotknięci chorobami rzadkimi winni mieć równy dostęp do terapii, niezależnie od rzadkości danego schorzenia oraz niezależnie od warunków ekonomiczno-społecznych występujących w danym kraju członkowskim.

CZY POLITYKA LEKOWA WIDZI CHOROBY RZADKIE?

- Obecnie znanych jest już ponad 6000 różnych rzadkich chorób
- Choroby rzadkie dotyczą sumarycznie od 6 do 8% populacji
- Populacja Polski: 38,2 mln
 - 2,3 – 3 mln osób dotkniętych chorobami rzadkimi w Polsce
 - Dla porównania ok. 2 miliony osób choruje na cukrzycę w Polsce
- Z medycznego punktu widzenia dostrzegalne są jedynie te choroby rzadkie, które są leczone przy użyciu leków, pozostałe jednostki chorobowe są niewidoczne dla systemu
- Z legislacyjnego punktu widzenia choroby rzadkie są niezauważone (brak jakichkolwiek ustawowych regulacji uwzględniających ich specyfikę)

CHOROBY RZADKIE A PROGRAMY LEKOWE

- Leki stosowane w terapii chorób rzadkich, o ile już zostały wynalezione, zgodnie z terminologią i procedurą rejestracyjną w UE są na ogół zaliczane do grupy leków sierocych (*orphan medicinal product*)
- W Unii Europejskiej zarejestrowanych jest 116 produktów leczniczych dedykowanych chorobom rzadkim. W Polsce refundacji podlega jedynie 14 z nich (najniższy poziom refundacji leków sierocych w UE)

CHOROBY RZADKIE A PROGRAMY LEKOWE

- Leki stosowane w chorobach rzadkich są w naszym systemie refundowane w ramach programów lekowych.
- Czas wdrożenia nowego programu lekowego waha się od 4 miesięcy do nawet 450 dni – postulat wydłużenia czasu trwania decyzji refundacyjnej dla leków w programach lekowych:
 - 3 lata dla pierwszej decyzji refundacyjnej
 - 5 lat dla kolejnej decyzji refundacyjnej

HTA W CHOROBYCH RZADKICH

- Specyfika chorób rzadkich powinna być uwzględniona w wymaganiach wobec analiz HTA i procesie ich oceniania przez AOTMiT
- Dopuszczenie innych niż dotychczasowe dowodów naukowych (badania nierandomizowane, case studies, ocena efektu klinicznego na podstawie surogatów itp.)
- Odejście od analizy ekonomicznej

HTA W CHOROBAH RZADKICH

- Kryterium $QUALY < 3 \times PKB$ (art. 12 pkt. 13 UR) nie powinno być uwzględniane w:
 - Rekomendacjach wydawanych przez AOTMiT
 - Analiza Weryfikacyjna – bez ustalania progowej ceny zbytu netto
 - Rekomendacja Prezesa - bez ustalania progowej ceny zbytu netto
 - Procesie podejmowania decyzji przez KE
 - Procesie podejmowania decyzji refundacyjnej przez MZ

HTA W CHOROBYCH RZADKICH

- Współpraca z AOTMiT
 - zastosowanie KPA - możliwość odwołania od Stanowiska Rady Przejrzystości i Rekomendacji Prezesa
 - umieszczenie propozycji RSS w Stanowisku Rady Przejrzystości

DOSTĘPNOŚĆ DO INNOWACYJNYCH TERAPII

Propozycja zmian w ustawodawstwie (Ustawa Refundacyjna), które podkreślą specyfikę chorób rzadkich przygotowana przez Grupę roboczą ds. Chorób Rzadkich przy Izbie Gospodarczej „FARMACJA POLSKA” obejmuje między innymi:

- **Wymagania dotyczące złożenia wniosku refundacyjnego:**
 - Określenie wymagań dla analizy klinicznej – źródła danych
 - Analiza ekonomiczna nie powinna dotyczyć leków stosowanych w chorobach rzadkich
 - Zniesienie wymogu wprowadzenia produktu do obrotu przez złożeniem wniosku refundacyjnego
 - Wskazanie minimalnej i maksymalnej ceny zbytu z wykluczeniem dostaw „ratunkowych” czy charytatywnych

DOSTĘPNOŚĆ DO INNOWACYJNYCH TERAPII

Wymagania wynikające z okresu wyłączności danych:

- Skrócenie decyzji po upływie okresu wyłączności danych nie powinno dotyczyć leków stosowanych w chorobach rzadkich
- Obniżenie ceny o 25 % po upływie okresu wyłączności danych nie powinno dotyczyć leków stosowanych w chorobach rzadkich

DOSTĘPNOŚĆ DO INNOWACYJNYCH TERAPII

Wymaganie nieprzekroczenia QUALY < 3xPKB ma nie być uwzględniane w:

- Rekomendacjach wydawanych przez AOTMiT
 - analiza weryfikacyjna – bez ustalania progowej ceny zbytu netto
 - rekomendacja prezesa - bez ustalania progowej ceny zbytu netto
- Procesie podejmowania decyzji przez Komisji Ekonomicznej
- Procesie podejmowania decyzji refundacyjnej przez Ministra Zdrowia

DOSTĘPNOŚĆ DO INNOWACYJNYCH TERAPII

- **Współpraca z AOTMiT**

- zastosowanie KPA - możliwość odwołania od decyzji itp.
- umieszczenie propozycji RSS w Stanowisku Rady Przejrzystości

- **Komisja Ekonomiczna**

- Wyznaczenie osoby prowadzącej cały proces
- Stanowisko Zespołu Negocyjnego wiążące dla KE
- Zastosowanie KPA – odwołanie od stanowiska KE, nowe propozycje cenowe itp.

DOSTĘPNOŚĆ DO INNOWACYJNYCH TERAPII

Refundacja leków zarejestrowanych a niedostępnych w Polsce

- Compassionate use
- Wydłużenie okresu obowiązywania decyzji refundacyjne dla programów lekowych:
 - 3 lata dla pierwszej decyzji refundacyjnej
 - 5 lat dla kolejnych decyzji

CELE GRUPY DS. CHORÓB RZADKICH

POWOŁANEJ W IZBIE GOSPODARCZEJ „FARMACJA POLSKA”

W DNIU 24 LUTEGO 2016R.

- Uwzględnienie specyfiki chorób rzadkich w ustawodawstwie polskim → zwiększenie dostępności do leków stosowanych w chorobach rzadkich
 - aktywne uczestniczenie w konsultacjach społecznych i branżowych
 - proponowanie nowych rozwiązań legislacyjnych
 - proponowanie nowych mechanizmów podziału ryzyka
 - podejście egalitarne
- Zwiększanie świadomości społecznej na temat chorób rzadkich
- Współpraca w ramach tworzenia Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich

LECZENIE CHOROÓB RZADKICH TO NIE TYLKO LEKI

Specyfika opieki zdrowotnej w zakresie dotyczącym chorób rzadkich obejmuje trzy podstawowe filary*:

- opiekę medyczną a w jej zakresie szczególnie specjalistyczną rehabilitację,
- terapię dostępnymi sierocymi produktami leczniczymi,
- dostępność do produktu leczniczego i wyrobu medycznego oraz środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego.

**Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich – mapa drogowa 2016*

NARODOWY PLAN CHORÓB RZADKICH

**przygotowany przez Zespół pod przewodnictwem Krzysztofa Łandy –
Podsekretarza Stanu w Ministerstwie Zdrowia (13.04.2016)**

Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich ma pozwolić na zapewnienie trwałej realizacji polityki zdrowotnej ukierunkowanej na potrzeby pacjentów z chorobami rzadkimi, wprowadzić systemowe rozwiązania problemów zdrowotnych i socjalnych tej grupy chorych.

NARODOWY PLAN CHORÓB RZADKICH

**przygotowany przez Zespół pod przewodnictwem Krzysztofa Łandy –
Podsekretarza Stanu w Ministerstwie Zdrowia (13.04.2016)**

STRUKTURA NARODOWEGO PLANU DLA CHORÓB RZADKICH

- A. Klasyfikacja i rejestr chorób rzadkich.
- B. Diagnostyka chorób rzadkich.
- C. Opieka zdrowotna dla pacjentów z chorobami rzadkimi.
- D. Zintegrowana pomoc socjalna dla pacjentów z chorobami rzadkimi i ich rodzin.
- E. Informacja, nauka i edukacja w zakresie chorób rzadkich.
- F. Monitorowanie realizacji planu.

NARODOWY PLAN CHORÓB RZADKICH

przygotowany przez Zespół pod przewodnictwem Krzysztofa Łandy –
Podsekretarza Stanu w Ministerstwie Zdrowia (13.04.2016)

REALIZACJA ZADAŃ w 2012r.

Posiedzenia Zespołu ds. Chorób Rzadkich

Przeprowadzono łącznie 8 posiedzeń

Warsztaty wspierające przygotowanie Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich - *mapa drogowa*

Przeprowadzono łącznie 6 warsztatów

Konsultacje w ramach Porozumienia dla Narodowego Planu Chorób Rzadkich

Przeprowadzono łącznie 5 posiedzeń

Konsultacje i spotkania

Przeprowadzonych łącznie 21

NARODOWY PLAN CHORÓB RZADKICH

przygotowany przez Zespół pod przewodnictwem Krzysztofa Łandy –
Podsekretarza Stanu w Ministerstwie Zdrowia (13.04.2016)

W 2012r. W PRACACH ZESPOŁU DS. CHORÓB RZADKICH UCZESTNICZYŁO:

- 11 osób - Zespół ds. Chorób Rzadkich
- 34 osoby - Eksperti biorący udział w pracach Zespołu
- 3 osoby - Organizacje pacjentów
- 35 osób - Eksperti biorący udział w pracach Zespołu

W toku prac nad Narodowym Planem dla Chorób Rzadkich – mapa drogowa, uczestniczyli przedstawiciele Departamentu Polityki Rodzinnej, Departamentu Pomocy i Integracji Społecznej, Biura Pełnomocnika Rządu ds. Osób Niepełnosprawnych.

JEDNOSTKA WDRAŻAJĄCA I MONITUJĄCA NARODOWY PLAN DLA CHORÓB RZADKICH

W celu wdrożenia i realizacji Narodowego Planu **zasadne jest utworzenie jednostki koordynującej**. Problem chorób rzadkich w Polsce dotyczy ponad 2 mln obywateli – to ważny segment opieki zdrowotnej. 75% z tych 2 mln to dzieci. Tak istotny obszar wymaga systemowego podejścia i koordynowanego zarządzania. Przewidywane główne zadania przyszłej jednostki to:

- Prowadzenie rejestru chorób rzadkich
- Wdrażanie Narodowego Planu
- Monitorowanie i ocena realizacji Narodowego Planu
- Akredytacja ośrodków referencyjnych;

JEDNOSTKA WDRAŻAJĄCA I MONITUJĄCA NARODOWY PLAN DLA CHORÓB RZADKICH

- Miejsce dla afiliacji Zespołu Koordynacyjnego ds. chorób rzadkich (kwalifikacje do programów lekowych)
- Opiniowanie wniosków refundacyjnych tj. udział w posiedzeniach AOTMiT i Komisji Ekonomicznej
- Reprezentacja Polski w posiedzeniach EUCERD – wskazane byłoby, aby Szef Centrum zasiadał w posiedzeniach EUCERD jako przedstawiciel Polski
- Edukacja społeczna i kształtowanie / wpływ na program edukacji medycznej
- Nadzór i koordynacja wdrażania zadań określonych niniejszym Planem

PODSUMOWANIE

W konkluzjach z debaty publicznej kończącej ewaluację obszaru chorób rzadkich prowadzoną w ramach Projektu Europlan w 2013²⁸ sugerowano potrzebę utworzenia Krajowego Centrum Rzadkich Chorób – jako agendy Ministra Zdrowia. Pod uwagę może być brana również inna forma organizacyjna przyszłej jednostki np. utworzenie Departamentu Chorób Rzadkich w Ministerstwie Zdrowia. Ze względu na przenikanie się zagadnień zdrowotnych i organizacyjnych oraz potrzebę współpracy

ROLA I ZAANGAŻOWANIE ORGANIZACJI PACJENTÓW

- Czynny udział w pracach Zespołu nad wprowadzaniem modelu polskiego rejestru chorób rzadkich / pacjentów z rozpoznaniem choroby rzadkiej;
- Po utworzeniu rejestru, współpraca w zakresie wypełnienia bazy informacyjnej oraz praca na rzecz popularyzacji rejestru wśród pacjentów i lekarzy

PRZESZKODĄ W POWSZECHNYM DOSTĘPIE DO WYSOKO SPECJALISTYCZNYCH TERAPII LEKOWYCH SĄ OGRANICZENIA FINANSOWE PŁATNIKA.

- produkty lecznicze, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) i wyroby medyczne w leczeniu chorób rzadkich
- sieroce produkty lecznicze podlegają takiej samej procedurze oceny i ustalenia ceny, jak wszystkie inne produkty lecznicze, uwzględniając skuteczność i bezpieczeństwo a także możliwości finansowe płatnika publicznego, wspieranie dodatkowo innymi możliwymi źródłami finansowania
- jeżeli chodzi o aspekt finansowania (refundowania) wysoko kosztownych terapii lekowych obecnie jedynym źródłem jest budżet płatnika.
- należy rozważyć możliwość wsparcia celowymi środkami pochodzącymi bezpośrednio z budżetu państwa.

WSKAŹNIKI MONITOROWANIA NARODOWEGO PLANU DLA CHORÓB RZADKICH

- Istnieją przepisy lub ekwiwalentna decyzja na poziomie narodowym, która wspiera ustanowienie realizację narodowego planu dla chorób rzadkich,
- Istnienie komitetu doradczego w chorobach rzadkich
- Stała oficjalna reprezentacja przedstawicieli pacjentów w określaniu Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich, monitorowania oceny
- Przyjęcie definicji UE chorób rzadkich

WSKAŹNIKI MONITOROWANIA NARODOWEGO PLANU DLA CHOROÓB RZADKICH

- Istnienie polityki ustanowienia oórodków referencyjnych / centrów eksperckich
- Liczba oórodków referencyjnych spełniających wymogi przyjętej polityki ustanawiania Centra Eksperckie
- Liczba Centrów Eksperckich uczestniczących w Europejskiej Sieci Referencyjnej
- Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich wspiera system informacyjny na poziomie krajowym

WSKAŹNIKI MONITOROWANIA NARODOWEGO PLANU DLA CHORÓB RZADKICH

- Helpline dla profesjonalistów oraz pacjentów
- Istnienie polityki rozwoju i wykorzystania przewodników klinicznych
- Rodzaj klasyfikacji chorób rzadkich stosowanej w systemie ochrony zdrowia
- Istnienie narodowej polityki w zakresie Rejestru chorób rzadkich
- Istnienie programu badań naukowych dla chorób rzadkich
- Partycypacja w projektach międzynarodowych w dziedzinie chorób rzadkich realizowanych przez ośrodki polskie

WSKAŹNIKI MONITOROWANIA NARODOWEGO PLANU DLA CHORÓB RZADKICH

- Liczba sierocych produktów leczniczych, posiadających dopuszczenie do obrotu, o ustalonej cenie i refundowanych
- Istnienie systemu dostępu do produktów leczniczych, które są w trakcie procesu dopuszczania do obrotu
- Istnienie programów wsparcia w codziennej aktywności dla pacjentów cierpiących na choroby rzadkie
- Istnienie polityki długotrwałego wsparcia dla strategii Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich
- Specjalnie określone środki na badania w chorobach rzadkich
- Narastająca wielkość środków publicznych na realizację Narodowego Planu od chwili jego uchwalenia

W 2012r. przygotowano dokument o nazwie „Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich – mapa drogowa”.
Program Horyzont 2014-2020 – to dopiero potencjalne istotne źródła finansowania Narodowego
Programu Chorób Rzadkich

Prace rozpoczęto w 2012r. – jesteśmy w 2016r.