

Leki sieroce - kierunek uregulowań refundacyjnych

I. Opis sytuacji problemowej

Niniejsza opinia dotyczy problematyki ograniczonego dostępu do leków sierocych w Polsce ze wskazaniem właściwego kierunku uregulowań i nowelizacji istniejących przepisów w celu poprawy dostępu do wysokokosztowych terapii. Problematyka powszechnego dostępu do kosztownych, sierocych produktów leczniczych wiąże się z uwarunkowaniami systemowymi i finansowymi oraz z regulacjami prawnymi. Leki stosowane w terapii chorób rzadkich są drogie i zdecydowana większość pacjentów nie jest w stanie opłacić ich wysokich kosztów. Ograniczenie dostępu do nowych i skutecznych leków z powodów ekonomicznych rodzi więc niebezpieczeństwo dla zdrowia i życia pacjentów. Zapewnienie pełnego finansowania terapii rzadkiej choroby wyklucza jednocześnie wydatkowanie kosztów na leczenie powikłań czy rozwiniętej postaci choroby.

Dnia 29 kwietnia 1999 r. Parlament Europejski oraz Rada przyjęły decyzję nr 1295/1999/WE w której choroby rzadkie zostały wskazane jako obszar priorytetowy działania Wspólnoty w ramach działania w zakresie zdrowia publicznego. Z chwilą przystąpienia Polski do UE w 2004 roku leczenie rzadkich chorób zostało uznane za priorytet w działaniach również w naszym kraju. Jednak refundacja leków dla rzadkich chorób nie jest w Unii ujednoczona. Każde państwo członkowskie powinno posiadać krajową politykę zdrowotną wobec terapii rzadkich chorób.

Omówienie problematyki ograniczonego dostępu do leków sierocych w Polsce wymaga wyjaśnienia ważnych terminów i pojęć przyjętych w stosunku do grupy rzadkich schorzeń oraz wymaga naświetlenia sytuacji refundacyjnej i trendów w uregulowaniu tego trudnego zagadnienia.

Choroby rzadkie (ang. rare disease) to jednostki chorobowe o charakterze przewlekłym, które występują u niewielkiej liczby osób w odniesieniu do całkowitej populacji. Choroby te są na tyle rzadkie, że kryteria tzw. chorobowości, czyli liczby występowania choroby w danej populacji w danym okresie określa się na mniej niż 5 przypadków na 10 000 mieszkańców. Ze względu na rzadkość występowania, trudności w rozpoznawaniu i wysokie koszty leczenia, wiedza o tych chorobach była dotychczas niewielka. Nie przywiązywano do nich zbyt dużej wagi. W miarę doskonalenia metod diagnostycznych, wiemy na ich temat więcej. Dla środowisk lekarskich choroby te są istotnym wyzwaniem z dwóch powodów: ciężkości i

przewlekłego charakteru oraz kosztownej diagnostyki i terapii. Dotyczą na ogół dzieci, a w wielu przypadkach prowadzą do trwałego upośledzenia fizycznego i umysłowego a nawet śmierci. Pacjenci i ich rodziny mają trudności z uzyskaniem zgody na finansowanie terapii z powodów ekonomicznych dostępność do drogich leków jest ograniczona. Z punktu widzenia medycznego choroby rzadkie stanowią bardzo niejednorodną grupę schorzeń, które różnią się objawami i sposobem leczenia. Charakteryzuje je ciężki przebieg i często stanowią zagrożenie życia lub powodują przewlekłą niepełnosprawność.

Choroby rzadkie w świetle prawodawstwa Unii Europejskiej uzyskały swój szczególny status, gdy w dniu 22 czerwca 1999 r. została opublikowana **decyzja nr 1295/1999/EC Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 29 kwietnia 1999 r. przyjmująca wspólnotowy program działania w dziedzinie chorób rzadkich w ramach działań w zakresie zdrowia publicznego (1999 do 2003)**¹. I tak, w pkt 7 preambuły do rozporządzenia nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady z 16 grudnia 1999 r. w sprawie sierocych produktów leczniczych wskazano, że pacjenci cierpiący na rzadkie stany chorobowe powinni być uprawnieni do takiej samej jakości i dostępności do leczenia jak inni pacjenci.

Na całym świecie na choroby rzadkie cierpi 350 milionów ludzi. W krajach Unii Europejskiej dotyczą one 6-8% społeczeństwa, co daje ogólną liczbę chorych między 27 a 36 milionów ludzi. **W Polsce liczbę chorych szacuje się na 2,5-3 mln.** 80% chorób rzadkich ma podłoże genetyczne, ale wśród nich występują także nietypowe nowotwory i choroby autoimmunologiczne².

W większości przypadków chorób rzadkich nie ma skutecznego leczenia, ale odpowiednio wcześnie postawiona diagnoza, właściwe leczenie, rehabilitacja i opieka socjalna wpływają nie tylko na poprawę jakości życia, ale także na jego wydłużenie.

Ponad 75% rzadkich chorób dotyczy dzieci. Schorzenia te to 30% hospitalizacji w szpitalach dziecięcych. W Polsce każdego roku u ok. 20 tys. dzieci rozpoznaje się chorobę rzadką. Specyfika chorób rzadkich, ale i późne rozpoznanie sprawiają, że 30% pacjentów dotkniętych tymi chorobami umiera przed 5 rokiem życia. 40–45% zgonów następuje przed 15 rokiem życia. Umiera także 10–25% chorych dorosłych.

1

Dz. Urz. WE L 155 z 22.06.1999, str. 1. <http://www.rzadkiechoroby.pl/dodatki/Reg%20141%20PL2.pdf>

2

Broszura informacyjna Krajowego Forum na rzecz terapii chorób rzadkich Orphan
<http://www.rzadkiechoroby.pl/materialy/BROSZURA%20DRUK%20FINAL.pdf>

Dane statystyczne pokazują, że rzadkie, czasem nawet jednostkowe, występowanie niektórych schorzeń nie zmienia faktu, iż w masie powinny one stanowić ważny element systemu ochrony zdrowia. W większości krajów europejskich tak właśnie się dzieje, lecz nie w Polsce. Rzadkie choroby pozostają w Polsce zaniedbanym obszarem zdrowotnym. Pomimo wysiłków i działań organizacji pacjentów współpracujących z wieloma lekarzami i zaangażowanymi decydentami jednak nie udało się doprowadzić do przyjęcia przez rząd Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich w zalecanym przez UE terminie, tj. do końca 2013 r.

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 choroby³.

Leki stosowane w terapii tych chorób, o ile już zostały wynalezione, zgodnie z terminologią i procedurą rejestracyjną w UE zaliczane są do grupy leków sierocych (*orphan medical product* /sierocy produkt leczniczy) zwłaszcza ze względu na rzadkość występowania schorzenia i fakt, że dotyczą bardzo wąskiej grupy pacjentów. I tak produkt leczniczy zostanie oznaczony jako sierocy produkt leczniczy, jeśli jego sponsor może wykazać:

- a) że produkt ten jest przeznaczony do diagnozowania, zapobiegania lub leczenia stanu chorobowego zagrażającego życiu lub powodującego chroniczny ubytek zdrowia, występującego u nie więcej niż pięciu na 10 tysięcy osób we Wspólnocie w chwili gdy przedkładany jest wniosek, oraz w momencie dopuszczenia tego produktu do obrotu

lub

- b) że jest on przeznaczony do diagnozowania, zapobiegania lub leczenia stanu chorobowego zagrażającego życiu, poważnego lub chronicznego, występującego we Wspólnocie, i że bez odpowiednich zachęt nie wydaje się możliwe, aby wprowadzanie na rynek produktu leczniczego we Wspólnocie wygenerowało wystarczający zwrot niezbędnych inwestycji;

oraz że nie istnieje zadowalająca metoda diagnozowania, zapobiegania lub leczenia danego stanu chorobowego, oficjalnie dopuszczona na terytorium Wspólnoty, lub też, jeśli taka metoda istnieje, to produkt leczniczy przyniesie znaczące korzyści pacjentom cierpiącym na ten stan chorobow⁴.

3

Cytat z portalu KE Zdrowie Publiczne https://ec.europa.eu/health/rare_diseases/orphan_drugs_pl

4

Leki uznane jako sieroce wymienione są kwartalnym raporcie Orphanet ⁵, który uwzględnia również starsze desygnacje sieroce produktów, które już status utraciły po upływie dziesięcioletniej ochrony będącej wynikiem dawnej rejestracji przed 2007 rokiem. Dalej jednak przeznaczone są one do leczenia chorób rzadkich. Oficjalna i aktualna informacja o obecnych sierocych produktach leczniczych jest dostępna we wspólnotowym rejestrze sierocych produktów leczniczych stosowanych u ludzi ⁶.

Zgodnie z cytowanym wcześniej zapisem preambuły Rozporządzenia WE 141/2000 pacjenci cierpiący na rzadkie choroby mają prawo do takiej samej jakości, stopnia bezpieczeństwa oraz efektywności terapii, jak pacjenci chorujący na schorzenia częściej występujące.

Refundacja leków stosowanych w rzadkich chorobach nie jest w Unii ujednoczona. Decyzje refundacyjne w odniesieniu do leków sierocych podlegają ocenom nie tylko ekonomicznym i farmakoekonomicznym, ale i etycznym. Ocena technologii medycznych dokonywana w Polsce przed podjęciem decyzji refundacyjnej, oparta głównie na ocenie efektywności kosztowej, wzbudza sprzeciw pacjentów chorujących na rzadkie schorzenia. Wielu pacjentów dotkniętych chorobą rzadką dla której leczenia wynaleziono i zarejestrowano sierocy produkt leczniczy, nie ma zagwarantowanej terapii refundowanej. Muszą starać się o objęcie programem terapeutycznym.

Przeważająca ilość chorób rzadkich nie posiada oferty lekowej. Obecnie, dla zaledwie nieco ponad 200 jednostek chorobowych wynaleziono zostały terapie lekowe. Konsorcjum IRDiRC⁷ łączące badaczy i organizacje inwestujące w badania wskazuje, że do końca 2020 roku zostanie wynaleziono i zarejestrowane kolejne 200-300 nowych leków dla rzadkich chorób.

4

Zgodnie z art. 3 rozporządzenia (WE) nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 16 grudnia 1999 r. w sprawie sierocych produktów leczniczych (Dz. U. WE L 18 z 22.01.2000, str. 1, Dz. Urz. UE Polskie wydanie specjalne, rozdz. 15, t. 5, str. 21).

5

Orphanet Report – lipiec 2017
http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf

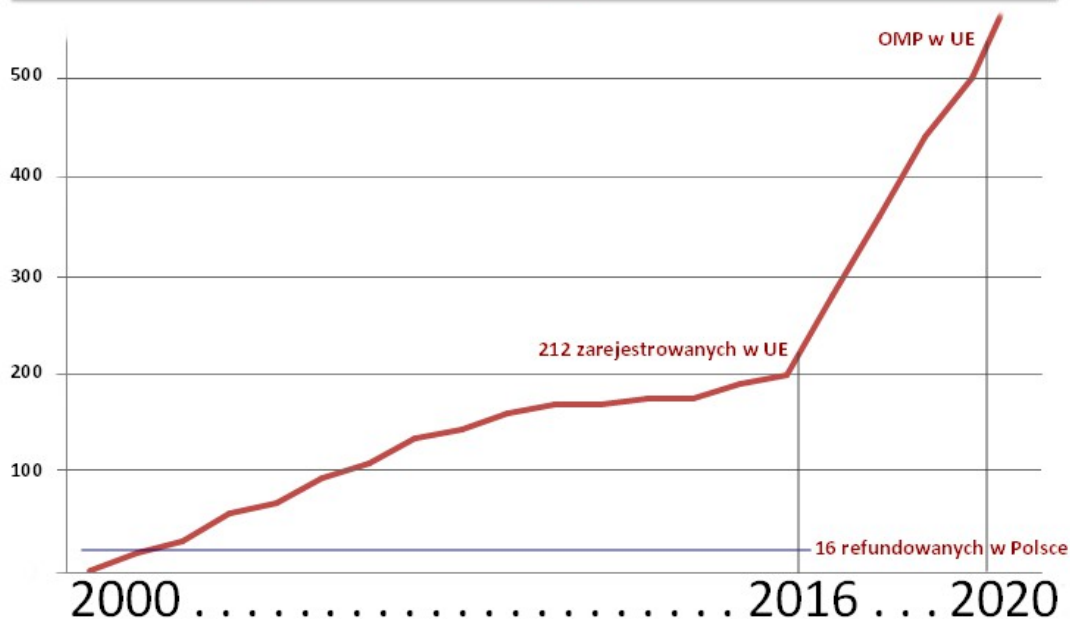
6

KE Zdrowie Publiczne- Register of designated Orphan Medicinal Products (alphabetical)
<http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/alforphreg.htm>

7

Konsorcjum powstało z inicjatywy Komisji Europejskiej i Amerykańskiego National Institute of Health w celu wspierania współpracy międzynarodowej w dziedzinie badań nad rzadkimi chorobami.

Leki i technologie sieroce w UE – prognoza : o 200-300 WIĘCEJ



Wg. danych z końca 2016 roku Polska refundowała zaledwie 16 spośród nieco ponad 200 dostępnych leków. Biorąc pod uwagę poziom dostępności i refundacji leków sierocych, plasuje to nasz kraj na ostatnim miejscu wśród państw członkowskich Unii Europejskiej.

II. Opis zastosowanych metod zbierania danych i informacji

Przy przygotowaniu ekspertyzy głównymi metodami pozyskania informacji i danych były:

1. Desk research: poskich i obcojęzycznych artykułów w prasie specjalistycznej, stron internetowych administracji zdrowotnej Unii Europejskiej i RP, portali tematycznych poświęconych chorobom rzadkim,
2. Wywiadów organizacji pacjenckich i firm trudniących się przeprowadzaniem oceny HTA leków sierocych (rezultaty wywiadów zostały podsumowane poniżej),
3. Wywiadów bezpośrednich i telefonicznych z ekspertami ze organizacji pacjenckich,
4. Spożytkowanie wiedzy i dorobku własnego.

III. Zestawienie opinii organizacji pacjenckich i wybranych firm HTA

Konsultacje problematyki ograniczonego dostępu do leków sierocych przeprowadzone były jako wywiady z przedstawicielami wybranych organizacji pacjenckich – tych których terapie są refundowane i tych których terapie nie są refundowane pomimo wynalezienia i zarejestrowania leku sierociego. Dodatkowo założenia tezy legislacyjnej konsultowano z przedstawicielami firm trudniących się przeprowadzaniem oceny HTA leków sierocych oraz z ekspertami z obszaru chorób rzadkich. Poniżej zaprezentowano wyniki procesu konsultacji jakie zostały przeprowadzone:

A. Rezultat wywiadów bezpośrednich i telefonicznych z ekspertami ze organizacji pacjenckich

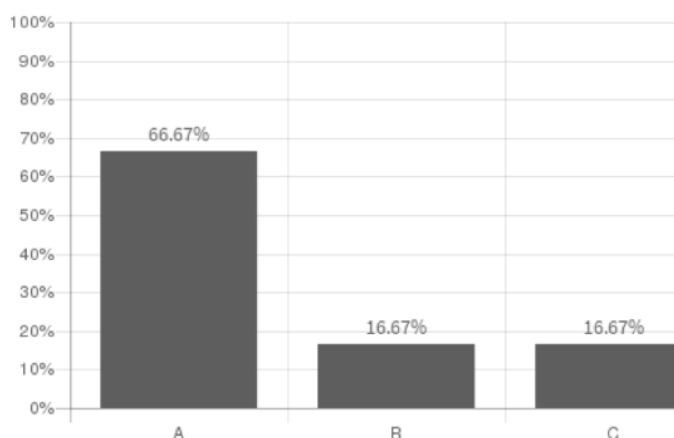
Co Pana/Pani zdaniem w Polsce wpływa na niski poziom refundacji leków sierocych ?

Warianty odpowiedzi	Ilość odpowiedzi	Procent udzielonych odpowiedzi
Ograniczenia prawne	5	100%
Brak zrozumienia/akceptacji u decydentów dla specyfiki chorób rzadkich i leków sierocych	2	40%
Niewystarczający budżet na refundację leków sierocych	3	60%
Konkurowanie leków przeznaczonych do terapii chorób powszechnych z lekami sierocymi	2	40%
Brak aprobaty społecznej dla wydatkowania środków na leki sieroce	0	0%
Kwestionowana skuteczność leków sierocych	2	40%
Nie mam zdania lub inne		

B. Konsultacje z przedstawicielami organizacji pacjenckich na Platformie Konsultacji prowadzone były w postaci zestawu pytań (otwartych i zamkniętych):

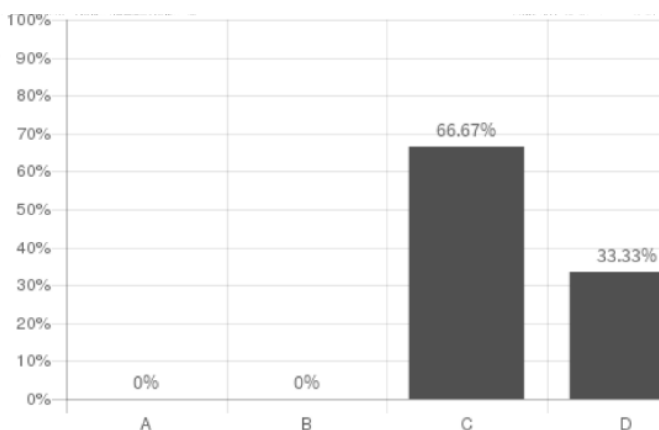
1. Wiedząc, że nasz kraj zajmuje ostatnie miejsce w Unii Europejskiej, czy Pana/Pani zdaniem powinno się zwiększyć dostęp do leków sierocych w Polsce bez względu na ich wysokie koszty przeznaczane dla wąskiej grupy pacjentów?

- A. Tak
B. Nie
C. Nie mam zdania



2. Co Pana/Pani zdaniem byłoby najszybszym rozwiązaniem problemu dostępu do leków sierocych w Polsce?

- A. Nowelizacja art. 12 pkt 13 tzw. ustawy refundacyjnej wskazująca brak zastosowania współczynnika QALY dla oceny leków sierocych
B. Zwiększenie i wydzielenie dedykowanego budżetu na leki sieroce
C. Oba powyższe łącznie
D. Nie mam zdania



Pytania otwarte:

1. Czy w Polsce Pana/Pani zdaniem należy wprowadzić ustawową definicję choroby rzadkiej inna niż przyjęta w Rozporządzeniu KE 141/2000 wskazującą, że za chorobę rzadką uważa się schorzenie występujące u mniej niż 5 na 10.000 mieszkańców?
2. Czy w Polsce Pana/Pani zdaniem przy podejmowaniu decyzji refundacyjnej należy ograniczyć stosowanie współczynnika QALY dla jednostki chorobowej będącej:
 - a) chorobą rzadką (występującą u mniej niż 5 na 10.000 mieszkańców)?
 - b) chorobą ultra rzadką (występująca u mniej niż 1 na 50.000 mieszkańców)?
3. Czy Pana/Pani zdaniem egalitarny kierunek polityki wobec terapii chorób rzadkich byłby realizacją zapisu preambuły z Rozporządzenia KE 141/2000 która stanowi, że: *pacjenci cierpiący na takie stany chorobowe zasługują na taką samą jakość, bezpieczeństwo i skuteczność produktów leczniczych, jak inni pacjenci.*
4. Prosimy Pana/Panią o określenie przybliżonej daty wprowadzenia w/w reform dotyczących nowelizacji omawianego przepisu tzw. ustawy refundacyjnej oraz utworzenia zwiększonego i dedykowanego dla leków sierocych budżetu.

IV. Stanowisko eksperckie

Opieka zdrowotna w zakresie dotyczącym rzadkich chorób obejmuje właściwe, kompleksowe postępowanie wielospecjalistyczną diagnostykę, leczenie ambulatoryjne i szpitalne wraz z monitorowaniem przebiegu choroby, odpowiadające specyficznym indywidualnym potrzebom pacjentów, w tym leczenie farmakologiczne przy zastosowaniu sierocych produktów leczniczych i produktów leczniczych nieposiadających statusu leku sierociego („orphan drug”), do których istnieją istotne ograniczenia w dostępie. System opieki

zdrowotnej dla pacjentów dotkniętych chorobami rzadkimi powinien być oparty na zasadzie egalitaryzmu. Dotyczy to zwłaszcza obszaru refundacji leków sierocych.

Ceny leków sierocych to nośny argument podnoszony podczas publicznej debaty o refundacji innowacyjnych terapii lekami sierocymi. Średni koszt leczenia jednego pacjenta z chorobą rzadką to około 600-800 tysięcy złotych rocznie. Na ceny leków biotechnologicznych wpływają trzy czynniki: koszty ich wynalezienia, koszty produkcji oraz rzadkość ich stosowania. Wiadomo, że wyprodukowanie nowego leku pochłania około miliarda złotych, a z samej natury rzadkości, bardzo ograniczona liczba pacjentów przekłada się na wysoki koszt terapii.

Analiza poziomu refundacji leków sierocych w Unii Europejskiej wskazuje, że Polska zajmuje ostatnie miejsce (vide wykres zamieszczony na końcu rozdziału „Opis sytuacji problemowej“). W 2016 roku, spośród 212 (wg IRDiRC oraz raportu Orphanet) dotychczas zarejestrowanych przez COMP sierocych produktów medycznych NFZ refunduje zaledwie 16. Zgodnie z przewidywaniami IRDiRC do końca roku 2020 przybędzie kolejne 200 leków o statusie sierocym. Polski płatnik powinien być przygotowany na sprostanie takim wyzwaniom, w skali zakładającej odpowiednio corocznie zwiększany poziom refundacji leków sierocych.

Aby rzeczywiście mogła być dokonana zmiana jakościowa w obszarze dostępu do leków sierocych wymagane jest odstępianie od utylitarnej oceny efektywności kosztowej technologii stosowanych w chorobach rzadkich. Należy podkreślić, że wykorzystanie współczynnika OALY jest mało użyteczne w ocenie ekonomicznej technologii sierocych. Regulacje w tym zakresie powinny znaleźć odzwierciedlenie w odpowiednich aktach prawnych a przede wszystkim w ustawie o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2011 r. Nr 122, poz. 696, z 2012 r. poz. 95, 742, z 2013 r. poz. 766, 1290 z późniejszymi zmianami)

Obecnie przy podejmowaniu decyzji refundacyjnej Minister Zdrowia bierze pod uwagę jego opłacalność a wyznacznikiem jest określone w art. 12 pkt. 13 ustawy refundacyjnej kryterium QALY, z progiem trzykrotności PKB na mieszkańca, określającym maksymalny koszt uzyskania dodatkowego roku życia, skorygowany o jakość. Przeważająca ilość leków sierocych nie spełnia tego kryterium z powodów ekonomii całego procesu wynalezienia oraz produkcji i dystrybucji. Jak wcześniej zaznaczono na wysokie ceny leków sierocych wpływają koszty ich wynalezienia i koszty produkcji w zestawieniu z rzadkością ich stosowania. „Rzadkość pacjentów przekłada się na wysoki koszt terapii.

Dziś polski system refundacyjny nie stosuje odmiennej farmakoekonomicznej oceny leków sierocych. Na podstawie omawianego wyżej bardzo ograniczonego dostępu do terapii

sierocych widać, że takie podejście jednak się nie sprawdza, gdyż praktycznie powoduje, że dla większości leków sierocych ich refundacja jest niemożliwa z powodów *stricte* ekonomicznych. Z tego powodu od stosowania współczynnika QALY w stosunku do leków sierocych już przed wielu laty odeszły wszystkie kraje europejskie. Świadczy o tym poziom refundacji leków sierocych poza granicami naszego kraju. Powszechnie w całej UE stosuje się odmienne parametry zdając sobie sprawę, że nie można mierzyć „mrówki” narzędziem do pomiarów „słonia”.

Z punktu widzenia zaleceń cytowanej na wstępie preambuły Rozporządzenia KE 141/2000 równy dostęp do leczenia rzadkich chorób może być zapewniony tylko wówczas kiedy wszyscy (czytaj: w tym również polski system refundacyjny) odstąpią od stosowania kryterium QALY wobec leków sierocych.

Aby osiągnąć to założenie sprecyzowane w/w preambułą należy:

1. Dokonać nowelizacji ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych w sposób taki aby ograniczyć stosowanie współczynnika QALY w stosunku do leków sierocych.
2. Zwiększyć i wydzielić budżet dedykowany na leki sieroce.

Ad.1. Nowelizacja ustawy powinna mieć na celu spełnienie przesłanki aby Minister wydając decyzję refundacyjną dla leków sierocych, nie uwzględniał kryterium QALY. Właściwym i najprostrzym rozwiązaniem byłoby dodanie w artykule 12 ustawy ustępu:

„Minister Zdrowia RP i podległe mu organy we wszystkich przypadkach procesów administracyjnych o objęciu 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 lub przeznaczone są do terapii schorzeń onkologicznych w schyłkowej fazie życia, nie mogą stosować

kryterium, o którym mowa w art. 12 pkt. 13, przy czym odstąpienie od stosowania w/w kryterium dotyczy technologii medycznej, w sprawie której złożony został pierwszy wniosek o objęcie refundacją.”

Ad.2. Jeżeli chodzi o aspekt finansowania (refundowania) wysoko kosztowych terapii lekami sierocymi obecnie jedynym źródłem jest budżet płatnika, z którego około 150 mln złotych wydatkowane jest na terapie siece. Biorąc pod uwagę aspekt etyczny i solidarnościowy charakter traktowania opieki medycznej i społecznej nad pacjentami z chorobami rzadkimi, należy zwiększyć poziom refundacji leków przeznaczonych dla chorych na choroby rzadkie. To wyraz solidarności państwa z tymi, którzy przez całe życie dotknięci są chorobami rzadkimi. Realizując zasadę równego dostępu do leczenia i egalitaryzmu, należy zabezpieczyć wydzielone środki na finansowanie technologii stosowanych w chorobach rzadkich, tak aby nie konkurowały one ze świadczeniami i lekami stosowanymi w leczeniu chorób powszechnych.

Według respondentów ankiety zarówno nowelizacja omawianego przepisu tzw. ustawy refundacyjnej oraz utworzenie zwiększonego i dedykowanego dla leków sierocych budżetu powinny nastąpić najpóźniej w końcu 2017 roku.

Opracował: Mirosław Zieliński

Ekspert Projektu