

Musíme partnery přesvědčit, že nestřílíme od boku

Medical Tribune, 16.3.2009, Lucie Ondřichová

V Evropě je onemocnění považováno za vzácné, pokud postihuje méně než dva lidi z deseti tisíc. Do této definice se vejdou téměř všechny diagnózy, které se léčí na hematologii. Některé z nemocí spadajících do tohoto oboru se vyskytují jen u několika lidí na světě. S prof. MUDr. Jiřím Mayerem, CSc., z Interní hematologické kliniky FN Brno hovořila MT o tom, jak obtížné je někdy najít zdroje na financování léčby raritních onemocnění.

Proč zrovna v hematologii je financování vzácných onemocnění tak obtížné?

Raritní stavy se vyskytují samozřejmě i v jiných oborech a všude může být problém získat pro jejich léčbu úhradu. V hematologii je ale tento problém obzvláště palčivý, protože tato léčba bývá velmi drahá. U takového nemocného se bavíme o částkách v řádu statisíců korun, snadno se ale můžeme dostat i přes milion. Jestliže se chirurg rozhodne pro netypický postup, musí to mít samozřejmě odborně podložené, ale je to na něm. Pokud se do této situace dostaneme my, tak to, zda léčbu použijeme, zpravidla nezáleží jen na nás, ale také na tom, kdo to zaplatí. Mnoho těchto onemocnění dosud nemá zavedené léčebné postupy, což prostor pro individuální řešení ještě zvětšuje.

Kdy tento problém nastává?

Obecně se jedná o situace, kdy nějaký drahý lék nebo nákladný postup chceme použít mimo indikaci, která je všeobecně uznávána - tedy off-label. Většinou se jedná o monoklonální protilátky nebo tzv. malé molekuly, může jít o nová drahá cytostatika. Důvody pro použití přípravku off-label mohou být dva. Při tom prvním je nový postup už popsán ve studiích a jejich závěry jsou nadějně. Druhou skupinu tvoří onemocnění, která jsou tak vzácná, že žádné studie pro jejich léčbu neexistují a pravděpodobně ani existovat nebudou. Firmám se kvůli několika nemocným nevyplatí do těchto zkoušek investovat a i pro nezávislé akademické instituce je obtížné vytvořit byť třeba jen malý soubor pacientů. Z iniciativy výzkumných pracovníků kdekoliv na světě byl ale léčebný postup vyzkoušen a opublikován, i když šlo třeba jen o jeden nebo o dva případy. Pak přijde chvíle, kdy takového pacienta diagnostikujeme i u nás a seznámíme pojišťovnu s tím, že bychom rádi opublikovaný postup použili.

Jak moc v takovém případě hrajete o čas?

Normálně tato jednání probíhají v řádu týdnů. Když nejde o akutní záležitost, je čas vést jednání. Nejhorší je, když je pacient přímo ohrožen na životě. Příkladem může být nemocný s akutní leukémií, u kterého jsme na podkladě vysoce specializovaných, molekulárně biologických vyšetření zachytili zbytkovou nemoc, i když sternální punkce byla stále v pořádku. V takovém případě jsme potřebovali schválit nákladný postup během několika dnů.

Jste natolik razantní, že léčbu nasadíte, a teprve pak jednáte o tom, zda ji pojišťovna zaplatí?

Když není zbytlí, i to se stává.

Jaké podklady pro pojišťovnu připravujete?

Je to individuální, zpravidla sami připravíme stručný souhrn dokumentace pacienta, se zdůvodněním, proč si myslíme, že by navrhovaný postup mohl mít šanci na úspěch. Zpravidla doložíme dvě či tři citace z odborného tisku. A pokud se jedná o něco mimořádně raritního, tak třeba přikládáme kopii celé práce, o kterou se opíráme. Musíme naše partnery přesvědčit, že nejde o nějaký momentální nápad, ale že víme, co děláme. Může se přitom stát, že lokální revizní lékař má na věc jiný názor, než třeba centrála, a to v obou směrech. Třeba u našeho pacienta se Schnitzlerovým syndromem (viz



kasuistiku na protější straně) jsme se skutečně až na ústředí VZP domluvili, že lék bude vyzkoušen na krátkou dobu. Výsledek byl však skutečně přesvědčivý, zvláště když vezmeme v úvahu, že jsme již byli v situaci, kdy žádná jiná léčba nezabírala. Přípravujeme o tom článek do zahraniční literatury. Publikovat kvalitní kasuistiky je mimořádně důležité a zpětně to může být cenné i pro našeho konkrétního nemocného, protože u něj jednáme o léčbě dlouhodobé, nebo dokonce trvalé.

Bývá těžké zřídka používanou účinnou látku sehnat fyzicky?

To problém není. Pokud přípravek někde existuje, při dnešní úrovni komunikace není těžké jej k nám dostat. Ohlásit to později na SÚKL, také není problém.

Kolik takových jednání ročně vedete?

Určitá improvizace se dělá dnes a denně, protože žádní dva pacienti nejsou totožní. Něco skutečně výlučného chceme pro několik nemocných do roka, obvykle ne více než deset. Pokud jsou v bezprostředním ohrožení života, i tento nevelký počet znamená spoustu stresu. Ale i tam, kde relativně máme čas, to vyžaduje obrovské množství administrativy, zařizování a telefonování.

Vidíte nějaký rozdíl mezi pojišťovnami, pokud jde o ochotu jednat o takových specifických případech?

Zatím se mi nepovedlo rozeznat nějaké charakteristiky, kterými by se v tomto ohledu nějak významně lišily.

Použili jste někdy lék v nové indikaci jako úplně první?

Ano. Kontrétně šlo o úspěšné použití alem-tuzumabu u získané amegakaryocytární trombocytopenické purpury. Na podkladě našich vlastních experimentálních dat, která jsme ovšem získávali za jiným účelem, jsme zjistili, že tato monoklonální protilátka může v tomto případě podporovat tvorbu trombocytů. V dostupné literatuře takové použití alemtuzumabu zmíněno není. Pak jsme to publikovali jako kasuistiku v časopise Leukemia.

Měl by být pacient informován o tom, že o úhradě jeho terapie se teprve jedná?

Jednoznačně ano. Dokonce tu a tam poučeného pacienta do celého procesu zapojujeme. Pošleme jej na pojišťovnu s cílem celý postup stimulovat. Je to analogická situace, jako když mu dům poškodí kulový blesk nebo něco podobně vzácného, třeba můžeme říci, že i meteor. Také půjde o vztah mezi pojištěncem a pojišťovnou. Já jsem jen prostředník, který navrhuje, co by bylo vhodné. Obecně si myslím, že interakce mezi pojišťovnou a jejími klienty by měla být mnohem intenzivnější.

Jak jste v takovém vyjednávání úspěšní?

Pokud si myslíme, že to tomu pacientovi může výrazně pomoci, tak vyvíjíme tlak adekvátní situaci a jen zřídka se nedohodneme.