MINISTERSTVO ZDRAVOTNICTVÍ
ČESKÉ REPUBLIKY

Léčba vzácných onemocnění

Léčivé přípravky na vzácná onemocnění – dostupnost a náklady

Mgr. Filip Vrubel
ředitel odboru farmacie

21. listopadu 2012

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...

Ale cca 6 – 8.000 diagnóz s touto definicí!

Vzácná onemocnění se netýká několika jedinců, ale cca 20.000 pacientů v ČR! Jejich léčba patří mezi ty nejdražší, proto náklady nelze podceňovat a je nutné je řešit systémově.

Problémy v léčbě vzácných onemocnění

kvalita a dostupnost péče **x** **náklady a jejich úhrada**

Zajišťování dostupnosti léčby pacientů se vzácnými onemocněními automaticky neznamená zajišťování finanční dostupnosti. Nástroje pro zajištění fyzické a finanční dostupnosti se různí.

Kvalita a dostupnost péče

- **centralizace péče o pacienty se vzácnými onemocněními → specializace zdravotnických profesionálů**
- **mezirezortní mezioborová pracovní skupina pro vzácná onemocnění**
- **vybudovávání sítě specializovaných center (např. KOC)**
- **správná a včasná diagnostika,**
- **včasná, komplexní a nejmodernější léčba**

- vzdělávání v oblasti vzácných onemocnění
- zlepšení kvality života a sociálního začlenění pacientů
- podpora vědy a výzkumu v oblasti vzácných onemocnění

Problémy v léčbě vzácných onemocnění

Náklady a jejich úhrada

- zdroje i příjem veřejného zdravotního pojištění se nemění
- roste počet pacientů se vzácnými onemocněními
- diverzifikace orphan diagnóz
- včasná diagnostika → dřívější léčba → vyšší náklady
- nárůst pacientů i u dalších závažných (nikoliv však vzácných) onemocnění – např. roztroušená skleróza
- přicházejí na trh nová léčiva

Data VZP	počet pacientů		
	r. 2009	rok 2010	rok 2011
Bechtěrevova choroba	440	500	538
Crohnova choroba	882	1 117	1 208
Colitis ulcerosa	169	226	246
Fabryho choroba	24	27	29
Gaucherova choroba	22	17	17
GIST	99	101	124
Juvenilní artritida	83	95	108
Metabolické vady	17	23	22
Hepatocelulární karcinom	17	33	52
Nádory kolorecta	1 252	1 400	1 409
Nádory ledvin	480	610	684
Nádory prsu	737	777	817
Plicní arteriální hypertenze	233	273	284
Psoriatrická artritis	145	169	178
Roztroušená skleroza	3 527	3 685	4 117

Léky na vzácná onemocnění (orphan drugs)

Orphan drugs	Designace	Registrace
2012	116	8
2011	107	5
2010	128	4
2009	106	9
2008	73	6
2007	98	13
2006	80	9
2005	88	4
2004	73	6
2003	55	5
2002	49	4
2001	64	3
2000	14	0
Total	**1051**	**76**

75 až 80 % centrálně registrovaných léčiv na vzácná onemocnění je dostupných v ČR!

Zdroje financování jsou však různé. Nejčastěji se tyto léky hradí v režimu tzv. dočasné úhrady nebo již mají ve správním řízení stanovenu cenu i úhradu z v.z.p. Výjimkou však není úhrada na § 16 nebo soukromé zdroje.

Dostupnost léčiv pro vzácná onemocnění

- Klinická hodnocení před procesem registrace léku
- Dočasná podmíněná úhrada ze zdravotního pojištění
- Standardní úhrada ze zdravotního pojištění
- § 16 zákona č. 48/1997 Sb.
- Úhrada na náklady výrobce léčiv
- Úhrada na náklady poskytovatele zdravotních služeb
- Soukromé zdroje (nadace, fondy, samofinancování pacienta)

Léky na vzácná onemocnění (orphan drugs)

Data VZP	Úhrada v Kč		
	r. 2009	rok 2010	rok 2011
Bechtěrevova choroba	153 645 796	161 364 700	154 062 907
Crohnova choroba	284 843 764	341 086 324	369 834 719
Colitis ulcerosa	49 798 497	63 888 125	71 989 684
Fabryho choroba	98 258 814	94 917 629	101 888 392
Gaucherova choroba	96 817 347	51 304 562	70 325 207
GIST	64 848 310	63 321 266	72 146 979
Juvenilní artritida	17 203 428	18 898 336	21 095 948
Metabolické vady	64 764 842	105 435 178	112 731 417
Hepatocelulární karcinom	2 932 844	8 831 599	11 573 337
Nádory kolorecta	516 324 929	535 476 181	569 364 727
Nádory ledvin	247 641 116	288 214 999	336 084 177
Nádory prsu	422 035 969	385 986 980	378 066 047
Plicní arteriální hypertenze	202 077 736	215 972 791	230 164 636
Psoriatrická artritis	46 304 469	51 563 003	51 453 297
Roztroušená skleroza	916 637 875	952 699 640	927 720 385
Celkem	**5 160 862 765**	**5 372 985 931**	**5 595 202 833**

Léky vykázané specializ. centry v r. 2011 představují náklady zdravot. pojišťoven ve výši cca 7 miliard Kč pro zhruba 20.000 pacientů

Jedná se o vysoce nákladnou léčbu – cca 0,3 % pojištěnců v ČR se vysoce závažnými onemocněními čerpají cca 10 % ročních nákladů na léky

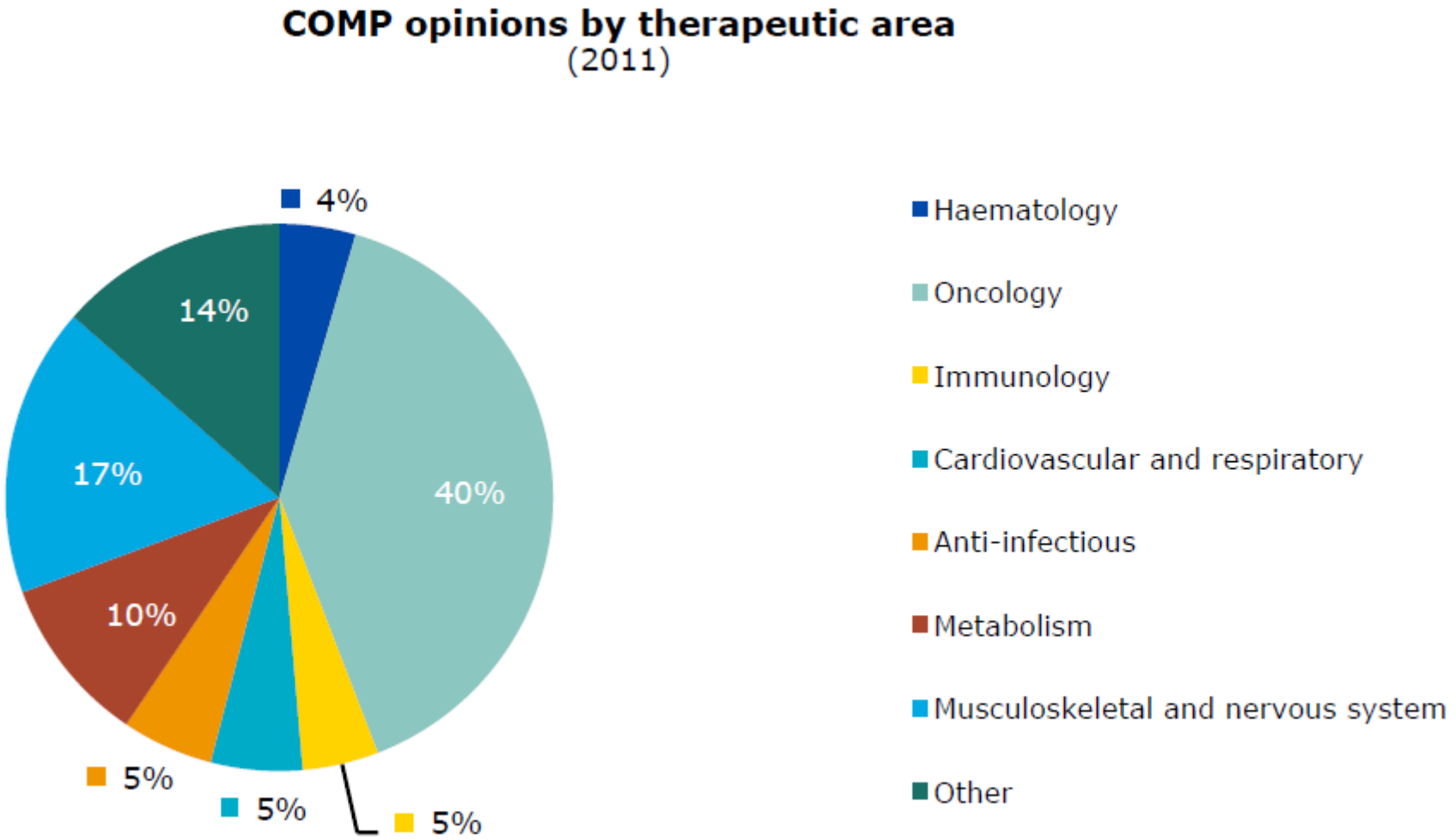
Náklady veřejného zdravotního pojištění na léčbu

Každý má právo na bezplatnou zdravotní péči za podmínek stanovených v zákoně.

Ale za jakou cenu ?

→ HTA

Léky na vzácná onemocnění (orphan drugs)



Finanční dostupnost léčiv pro vzácná onemocnění současný stav

Pokud má stávající systém uspokojit rostoucí poptávku (vyšší počet pacientů, vstup moderních a drahých léků, včasná léčba), nemůže to udělat jinak než šetřit v ostatních segmentech péče!

- úsporná opatření v systému zdravotního pojištění
  - vyřazení levných léčiv z úhrad z v.z.p.
  - zvyšování spoluúčasti tam, kde je to únosné a opodstatněné
- účelná farmakoterapie
  - kontrola duplicit preskripce a lékových interakcí
  - projekty racionalizace preskripce
  - centralizace péče a používání léčiv v souladu s EBM
  - zajištění pacientských registrů, osvěta veřejnosti
  - monitoring účelnosti léčby a nákladů

Nevýhody současného stavu (centrová léčba)

- podpora dostupnosti léčiv pouze nepřímými metodami (úspory v jiných segmentech využity k navýšení nákladů na centrové léky) – otázka společenské přijatelnosti a „spravedlnosti“
- současný finanční stav znemožňuje bezplatné poskytnutí léků všem pacientům se vzácným onemocněním ihned po diagnóze
- systém trpí nezamýšlenými administrativními bariérami (zdlouhavé řízení o stanovení ceny a úhrady léku)
- systém využívá úmyslně některé administrativní bariéry (limitace počtu pacientů v centrech, čekací seznamy)
- 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

Finanční dostupnost léčiv pro vzácná onemocnění budoucnost ?

Je nutné po celospolečenské diskuzi najít takovou cestu, která umožní

1. rychlou finanční dostupnost léků na vzácná onemocnění bez administrativních bariér,

2. ale jen tam, kde je to účelné, společensky a eticky přijatelné a rozpočtově udržitelné.

Cíl:

Transparentně stanovit kritéria, za kterých se léčivý přípravek bude hradit (skupiny pacientů, indikace, fáze onemocnění).

Pacientovi, který je k léčbě indikován, poskytnout léčbu včas, v souladu s nejmodernějšími poznatky vědy a bez bariér.

MINISTERSTVO ZDRAVOTNICTVÍ
ČESKÉ REPUBLIKY

Děkuji za pozornost!

Mgr. Filip Vrubel
odbor farmacie