
Vzácná onemocnění a hlavní události ve zdravotnictví

březen 2017

Vážení přátelé,

přinášíme Vám březnové číslo Čavonovin, ve kterém bychom rádi upozornili na důležité události v oblasti vzácných nemocí a zdravotnictví, které se během uplynulého měsíce objevily v médiích.

V Mendelově muzeu Masarykovy univerzity v Brně si ve středu 1. března odborníci připomněli Den vzácných onemocnění, který připadl na 28. února.

Přinášíme též rozhovor s JUDr. Lenkou Teskou Arnoštovou o patientských právech a podpoře patientských organizací.

Organizace EURORDIS zveřejnila pozvánku na členskou chůzi, která se bude konat v Budapešti. Na setkání jsou zváni i nečlenské patientské organizace, vědci, zdravotníci, zástupci akademické obce a další.

Srdečně zdraví

Anna Arellanesová, předsedkyně ČAVO

Vzácná onemocnění

U tisícovek nemocných lékaři netuší, jak je léčit

Moderní medicína umí vyléčit ještě před nedávnem fatální choroby. Stále však zbývají vzácné nemoci, kdy lékaři nevědí, čím nemocný vlastně trpí a jak mu pomoci a úředníci ho neumí zařadit do systému sociální péče. Poslední únorový den proto lékaři vyhlásili jako Den vzácných onemocnění, aby si veřejnost uvědomila, že je několik tisíc chorob, na které není účinný lék.



[CELÝ ČLÁNEK](#)



V České republice přibývá pacientů, kterým v léčbě výrazně pomáhají inovativní léky

V České republice přibývá pacientů, kterým v léčbě jejich nemocí výrazně pomáhají takzvané inovativní léky. Jen Všeobecná zdravotní pojišťovna hradí léčbu těmito prostředky víc než šestadvacet tisícům nemocných, což je téměř o padesát procent víc než v roce 2010. Avšak v Česku na tomto poli všechno dobře nefunguje. Proces schvalování a zpřístupňo-

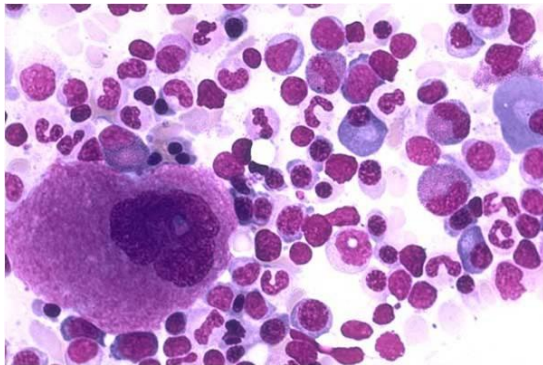
vání nejmodernějších léků pacientům je u nás nejpomalejší z celé Evropy.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Problémem u vzácných onemocnění jsou klinické studie

Vzácných onemocnění dokáží lékaři v současnosti diagnostikovat téměř 7000. Pacienti trpící těmito raritními chorobami se potýkají s množstvím problémů, které nemocní s běžnými nemocemi neznají. Proti vzácným onemocněním jsou vyvíjeny tzv. orphan drugs. Záslouhou výzkumníků se jich jenom v roce 2016 objevilo čtrnáct.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



Přínos nových léků v léčbě mnohočetného myelomu

Nejde o časté onemocnění, řadí se spíše k těm vzácnějším. Zajímavé je, že první zmínka o mnohočetném myelomu (MM) byla publikována roku 1889 v Prager Medizinische Wochenschrift – profesor Otto Kahler jej popsal jako onemocnění svého kolegy. Až do počátku třetího tisíciletí se jednalo o chorobu velmi těžko léčitelnou, což nyní po vstupu nových léčivých přípravků již neplatí. "

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Diagnostika vzácných onemocnění

Stovkám pacientů v Česku chybí diagnóza a trvá i několik let, než se příčinu nemoci dozvedí. Týká se to především takzvaných vzácných chorob. Přesto, že se jejich databáze rozrůstá, některé syndromy stále čekají na objevení. Znalost nemoci má přitom zásadní vliv na léčbu.

[CELÝ ČLÁNEK](#)





Jeden ze dvou tisíc. V Brně připomněli vzácná onemocnění

Vzácná onemocnění si lidé připomínají poslední únorový den. Při té příležitosti se sešli odborníci v Mendelově muzeu Masarykovy univerzity v Brně.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Zdravotnictví

Pacienti často nevědí, kde hledat pomoc

Rozhovor s JUDr. Lenkou Teskou Arnoštovou o patientských právech a podpoře patientských organizací.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



DRG

SYSTEM

DRG se začne používat od roku 2019–2020

DRG by se v Česku mělo plošně začít používat při vykazování akutní lůžkové péče od roku 2019–2020. Lékaře by změna neměla zatížit, budou jako dosud zapisovat do nemocničního informačního systému, co dělali, a tzv. kodéři v každé nemocnici data převedou do nového systému. MT to řekl ředitel Ústavu zdravotnických informací a statistiky (ÚZIS) ČR doc. RNDr. Ladislav Dušek, Ph. D.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Ze světa



EURORDIS zve do Budapešti na členskou chůzi

Organizace EURORDIS zveřejnila pozvánku na členskou chůzi, která se bude konat ve dnech 19. – 20. května v Budapešti v hotelu Danubius Hotel Helia. Na setkání jsou zváni i nečlenské pacientské organizace, vědci zdravotníci, zástupci akademické obce a další.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Celé články

U tisícovek nemocných lékaři netuší, jak je léčit

Moderní medicína umí vyléčit ještě před nedávnem fatální choroby. Stále však zbývají vzácné nemoci, kdy lékaři nevědí, čím nemocný vlastně trpí a jak mu pomoci a úředníci ho neumí zařadit do systému sociální péče. Poslední únorový den proto lékaři vyhlásili jako Den vzácných onemocnění, aby si veřejnost uvědomila, že je několik tisíc chorob, na které není účinný lék.

Narodí se dítě a něco není v pořádku. Jen nikdo neví, co. Má problémy se srdcem, vracejí se mu zánehy průdušek, málo roste a intelektový vývoj se opoždí. Nepomůže první lékař, ani druhý, ani třeba desátý. Choroba jejich dítěte nemá jméno a až genetické vyšetření odhalí, u čtvrtiny jde o neznámou nemoc, zbytek trpí některou velmi vzácnou poruchou, na níž mnohdy nejsou léky a medicína v pomoci pacientovi tápe.

"U vzácných genetických syndromů není onemocnění často ani popsáno a obtížně se hledá gen, který jej způsobuje. Vycházíme z klinických příznaků a snažíme se podle nich odhalit diagnózu, případně popsat novou, což u některých lidí trvá roky a u jiných se nám to zatím nepovedlo," podotýká MUDr. Markéta Havlovicová, zástupkyně přednosty Ústavu biologie a lékařské genetiky ve Fakultní nemocnici v pražském v Motole.

Když už se po úmorném běhání od specialisty ke specialistovi podaří určit diagnózu, utrpení nekončí, ale je alespoň jasné, na co je třeba se připravit. Pokud jde o dítě, rodičům se uleví alespoň psychicky, protože si matka například nemusí dávat za vinu, že něco v těhotenství opomněla. Navíc mají jasno, jestli je riskantní pořídit si další dítě.

Náhodné mutace

"Řada z onemocnění vznikají jako nová genetická mutace. Tím pádem ani otec ani matka tuto mutaci nenesou. Byla to zkrátka náhoda a při plánování dalšího potomka se nemusejí obávat zvýšeného genetického rizika," uklidňuje Havlovicová. Důležité je to například i kvůli sociálce, pokud má úředník odborně potvrzenou diagnózu, jsou mnohem vstřícnější v přiznání sociální pomoci.

V první řadě jde však o medicínský problém a stanovená diagnóza pomůže alespoň plánovat léčbu příznaků a vyloučit léčbu, u které se ví, že by pacienta poškodila víc než běžnou populaci, například místo rentgenu použít jiné způsoby diagnostiky a léčby.

Vzácná onemocnění jsou většinou velmi komplikovaná a vyžadují spolupráci lékařů mnoha specializací, kteří mají co nejvíce zkušeností s léčbou konkrétní diagnózy. Některými nemocemi v Česku trpí třeba jen tři čtyři pacienti, podle odborníků by péče o ně měla být soustředěna do odborných center, které by dokázaly efektivně spolupracovat s podobnými centry v zahraničí.

Je málo expertů, pomůže centralizace

"Tento systém se formuje na úrovni Evropské unie v podobě tzv. Evropské referenční sítě a bylo by dobře, abychom ho měli i u nás v ČR," říká profesor Milan Macek, přednosta Ústavu biologie a lékařské genetiky v pražském v Motole a vedoucí Národního koordinačního centra pro vzácná onemocnění. Doporučuje to i přes to, že to znamená mnohdy nepohodlné dojíždění.

"Jestli jednoho dne taková centra budeme mít, budou se lidé snáze orientovat. O tom, že je někde specialista, který umí pomoci lidem s konkrétní vzácnou nemocí, se dnes dozvíte často od podobně nemocných pacientů, pokud se třeba někde sdružují," říká Anna Arellanesová, předsedkyně ČAVO.

Jako vzácná se označují taková onemocnění, která se vyskytují v méně než pěti případech z 10 tisíc. Vzácnost onemocnění je pro pacienty handicapem. Většinou se jedná o málo známé a málo probádané nemoci. Vzácných diagnóz je popsáno mezi 6 a 8 tisíci. Každý rok je popsáno několik stovek nových a účinná léčba je dostupná jen pro několik desítek z nich. Na poslední únorový den připadá Den vzácných onemocnění, smyslem je ukázat široké veřejnosti i těm, kdo se podílejí na rozhodování o otázkách zdravotní a sociální péče, co vzácná onemocnění jsou a co znamenají pro život pacientů.

Zdroj: tyden.cz

V České republice přibývá pacientů, kterým v léčbě pomáhají inovativní léky

Barbora TACHECÍ, moderátorka

V České republice přibývá pacientů, kterým v léčbě jejich nemocí výrazně pomáhají takzvané inovativní léky. Jen Všeobecná zdravotní pojišťovna hradí léčbu těmito prostředky víc než šestadvaceti tisíci nemocných. Což je téměř o padesát procent víc, než v roce 2010. To je určitě skvělá zpráva. Bohužel ale v Česku na tomto poli všechno dobře nefunguje. Proč? Protože proces schvalování a zpřístupňování nejmodernějších léků pacientům je u nás nejpomalejší z celé Evropy. Mým hostem je doktor Tomáš Doležal, ředitel Institutu pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment. Zdravím vás, pane doktore, dobrý den.

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

Hezký podvečer.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Takže proč je to tak pomalé? Proč schvalovací a ten zpřístupňovací proces u těch úplně nejmodernějších léků máme nejpomalejší z celé Evropy?

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

My ho máme jeden z nejpomalejších. Nedá se říct, že úplně nejpomalejší. Ono záleží, s čím se srovnáváte. Protože samozřejmě ty bohatší země jsou rychlejší, ty chudší země si dávají na čas, aby oddálily náklady. Ale ten důvod je jediný. Je to tím, že nové léky jsou nákladné, posuzuje se jejich přínos společnosti, jejich nákladovost, jejich efekty. A ten administrativní proces je složitý, dlouhý a zdravotní pojišťovny samozřejmě mají snahu ty léky oddalovat, aby nemusely platit tak vysoké náklady. Je to něco, co logicky nastává. A samozřejmě ne vždycky je to ve prospěch pacienta.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Čili je to ta optika, díky za každý den, kdy nemusím za tak drahé léky platit ze strany pojišťoven.

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

To je velký cynismus samozřejmě. Ale je to, je to tak. Na druhou stranu je potřeba říci, že ceny nových léků jsou extrémně vysoké. Náklady na léky rostou dynamicky. Ale třeba u těch nových léků se pořád pohybujeme v jednotkách procent oproti celkovým nákladům zdravotních pojišťoven na, na péči.

Takže není to něco, co devastuje české zdravotnictví finančně. Je to otázka priorit. Jestli chceme v českém zdravotnictví platit jednoduché zákroky, které pacienti jsou schopni, jestli chceme třeba, aby pojišťovny nám platily i levná antibiotika, léky na chřipku, nachlazení. Anebo jestli chceme tam nechat ty peníze na složité situace, komplikace, kdy léky stojí statisíce a miliony. Je to volba každé společnosti.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Co jsou to vlastně, jak je definován onen vysoce inovativní lék?

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

V české legislativě to má takovou speciální kategorii. Ale obecně inovativní léky jsou léky, které samozřejmě přichá..., přinášejí zásadní zlepšení oproti předchozí léčbě, která do té doby byla dostupná. To znamená, prodlužuje život, zvyšuje kvalitu života, anebo třeba brání komplikacím, které nastanou. Třeba u chronických nemocí, jako je cukrovka, lupénka, nebo další nemoci. Takže má jednoznačně prokázaný přínos. A to je velký rozdíl u léků a u jiných technologií, že u léků se přísně testuje, jestli mají přínos. A jak jsou nákladné. Což bohužel u ostatních medicínských technologií česká republika nedělá.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Dobře. Ale v okamžiku, kdy například vzhledem k tomu, jak ty inovativní léky jsou drahé, a je to logické, že jsou drahé, protože vývoj každého léku je prostě nesmírně nákladný, včetně nejručnějších výzkumů a tak dále. A jestli třeba český stát dospěje k závěru, a teď nevím, kdo přesně, ale někdo v té hierarchii těch, co o tom rozhodují, že prostě tento lék je příliš drahý na to, co přinese, tak to se taky může stát? Děje se to?

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

To už je realita dnešních dnů. Jsou léky, které se do toho systému řádného pojištění nedostanou, protože překročí takzvanou hranici ochoty platit. To se, o tom se moc neví, nemluví nahlas. Ale v lécích se aplikuje něco, čemu se říká horní hranice. A pokud ten lék je dražší vůči tomu, co přináší, tak ho ten systém odmítá. Je to něco, co se používá zase jenom u léků, ale ne u jiných nákladů ve zdravotnictví. Dochází tam k disbalanci. A odlišné optice.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Řekněte mi, pane doktore, jakých léků například se tohle týká? Jaký typ léků je českou stranou odmítnut, protože ten poměr cena - výkon prostě není optimální?

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

Největší problémy mají léky v oblasti onkologie, které jsou hodně drahé. Ty nové léky hodně drahé. A pak jsou to také léky na vzácná onemocnění, protože tam ten výzkum a vývoj je extrémně nákladný. Vzhledem k malým počtům pacientů. A také ty náklady na ty léky jsou vysoké. Takže největší problém mají ty nejdražší léky v těchto dvou oblastech. Vzácné nemoci a nádorové nemoci.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Tak, ale speciálně u těch nádorových nemocí vzhledem k tomu, jak velký podíl lidí touto nemocí trpí, tak jak je možné, že kolem toho nevzniklo žádné, žádné mediální ani jiné bouře? Vono, ono se o tom moc neví, že?

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

Také mě to překvapuje. Přitom v zahraničí tyto diskuse probírají, probíhají velice bouřlivě. Diskutuje se o tom, jak se nastavují ceny léky, léků, jestli je to všechno v pořádku. A samozřejmě pacientské organizace, dlužno říct, jsou v zahraničí mnohem aktivnější, než v České republice.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

A rozumím tomu dobře tak, pane doktore, že pokud jde o ty nová inovativní, ta nová inovativní léčiva v onkologii, tak na západoevropských trzích už jsou prostě léky lepší, než které používáme my tady?

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

Na ty západní trhy, na ty bohatší trhy, by se dalo říci, se dostanou dříve. To každopádně. V řádech, my odhadujeme, nebo i zahraniční statistiky odhadují, že do Čech to trvá rok a půl od registrace do úhrady. Jsou země, které dokáží ty léky zařadit za dva, tři, čtyři měsíce, ty bohatší země. Takže jsou tam dříve. A pro více pacientů. Nejsou tak omezeny, jako v České republice. A samozřejmě ve východních, ve východních zemích obecně.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Jasně. Doktor Tomáš Doležal, šéf Institutu pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment byl mým hostem. Pane doktore, děkuju.

Tomáš DOLEŽAL, doktor, ředitel, Institut pro zdravotní ekonomiku a Technology assessment

Také děkuji. Na shledanou.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Na shledanou. A naším dalším hostem je Simona Zábranská, šéfka Klubu nemocných cystickou fibrózou. Připomínám, že lidé, kteří touto chorobou trpí, se obvykle dožívají pětatřiceti let. Paní Zábranská, já vás zdravím, dobrý den.

Simona ZÁBRANSKÁ, šéfka Klubu nemocných cystickou fibrózou

Dobrý den, dobrý den.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Řekněte, kolik lidí v Česku právě cystickou fibrózou trpí? A jak se ta nemoc projevuje?

Simona ZÁBRANSKÁ, šéfka Klubu nemocných cystickou fibrózou

Hm. Cystická fibróza, je to vlastně závažné vrozené onemocnění, nevyléčitelné onemocnění. A v České republice máme asi šest set nemocných. Vlastně dá se říct, že každý rok se v České republice narodí kolem dvaceti, dvaceti pěti nových pacientů s cystickou fibrózou.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Jasně. A rozumím tomu dobře tak, že právě pro tuto chorobu, na tuto chorobu jsou účinné ty inovativní léky, o kterých jsme mluvili s panem doktorem Doležalem. Je to tak?

Simona ZÁBRANSKÁ, šéfka Klubu nemocných cystickou fibrózou

Ano, přesně tak.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

A na trhu je už čtyři roky nový přípravek. A já se ptám tedy, jak, kolik stojí, jak, jak je dostupný těm nemocným právě touto nemocí?

Simona ZÁBRANSKÁ, šéfka Klubu nemocných cystickou fibrózou

Hm. Vlastně cystická fibróza se doposud léčila tradičními způsoby. To znamená, byla to symptomatická léčba, která vlastně se léčila antibiotiky, léčily se záněty. A teď vlastně v tom roce 2013 přišel první kauzální lék, který už konečně míří na podstatu toho onemocnění. Je to genetické onemocnění, takže pro cystickou fibrózu to je vlastně léčení chloridového kanálu v buňce. A tento lék skutečně těm našim pacientům velmi pomáhá. Zvyšuje se doba přežití našich pacientů, zvyšuje se kvalita života. A naši pacienti v tuto chvíli ten lék buď dostávají ještě vlastně od pharma firmy, to jsou pacienti, kteří

byli na klinických studiích. Anebo to mají na takzvaný paragraf 16, který je trošičku komplikovanější, protože lékař musí každé vlastně za tři měsíce znovu žádat o tento lék pro svého pacienta. Takže ne všechny pacienti, kteří mohou dostat tento lék, jsou tím léčeni. Já jenom chci ještě říct, že jak je to genetické onemocnění, tak vlastně v České republice se tímto lékem může léčit pouze asi dvacet pět pacientů. Protože to je na specifickou, takzvanou Keltskou mutaci.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Já tomu rozumím. Čili co byste nejvíc, a myslím teď vy jako nemocní cystickou fibrózou, o kterých máte přehled, tak co byste v tuto chvíli potřebovali nejvíc ze strany zdravotnictví českého?

Simona ZÁBRANSKÁ, šéfkyně Klubu nemocných cystickou fibrózou

My bychom, my bychom potřebovali, aby se začalo na, na ty léky na vzácná onemocnění pohlížet trošičku jinak. Protože ono skutečně léčba těmi léky je extrémně vysoká. Ale na druhou stranu třeba tento konkrétní lék, tak umožní to, že pacient se třeba znovu vrací do života. Začíná pracovat a nemusí brát sociální dávky. Znovu začíná žít, začíná cestovat, zakládá rodinu, může žít normálně. Takže tam je vlastně pro toho pacienta obrovsky pozitivní jak osobní, tak si myslím i společenský dopad. Protože i ty návštěvy v nemocnicích, jestli je ta léčba těmi antibiotiky, všechno se to snižuje. V podstatě dá se říct, že v počátcích i nuluje. A to je, to je vlastně to, co my bychom chtěli říct veřejnosti, že oni vidí tu vysokou nákladnou léčbu, ale za tím ještě je něco daleko jiného. Je tam jednak pacient, ale jsou tam i pro tu společnost další, další benefit.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

Říká Simona Zábranská, ředitelka Klubu nemocných cystickou fibrózou paní Zábranská. Děkuju.

Simona ZÁBRANSKÁ, šéfkyně Klubu nemocných cystickou fibrózou

Já vám taky děkuju, mějte se hezky, na shledanou.

Barbora TACHECÍ, moderátorka

I vy.

Zdroj: ČRo plus

Problémem u vzácných onemocnění jsou klinické studie

Josef Zábranský

Vzácných onemocnění dokáží lékaři v současnosti diagnostikovat téměř 7000. Pacienti trpící těmito raritními chorobami se potýkají s množstvím problémů, které nemocní s běžnými nemocemi neznají. Proti vzácným onemocněním jsou vyvíjeny tzv. orphan drugs (doslovný překlad do češtiny „sirotčí léky“). Zaslouhou výzkumníků se jich jenom v roce 2016 objevilo čtrnáct.

Velkou roli hraje genetika

„Vzácné nemoci mají značné množství různorodých projevů. Nespojuje je nic kromě jejich ojedinělosti, neboť postihují nanejvýš jednoho člověka ze dvou tisíc. Na 80 procent těchto nemocí je geneticky podmíněných. Často jsou diagnostikovány u dětí, které se ale zhruba ve třetině případů nedožijí ani pěti let,“ uvedla na tiskové konferenci Asociace inovativního průmyslu (AIFP) 23. února 2017 v Praze MUDr. Kateřina Kopečková z FN Motol, onkoložka se specializací na vzácné dětské nádory a odbornice v oblasti diagnostiky a léčby vzácných onemocnění.

V České republice žije podle odhadů České asociace pro vzácná onemocnění (ČAVO) 600 až 800 tisíc lidí se vzácnou nemocí. V Evropské unii se jedná o více než 30 milionů lidí, celosvětově pak o více než 350 milionů pacientů.

Přestože podle evropských kritérií platných i v České republice je tedy za vzácnou chorobu považována ta, kterou trpí nanejvýše jeden člověk z 2000, problémem je, že některé dříve velmi vzácné choroby kolem této hranice oscilují. „Je tomu tak proto, že se daří vyléčit mnoho pacientů, kteří by dříve zemřeli. Jiní alespoň přežívají déle. V onkologii se to týká mnohočetného myelomu, Hodgkinovy choroby a lymfomů obecně,“ připomněla MUDr. Kopečková.

Přitom vzácných nemocí neustále přibývá. Podle nejnovějších údajů Evropské lékové agentury (EMA) dokonce tempem pět za týden. „Jedním z hlavních důvodů je, že čím dál přesnější a detailnější diagnostika i znalosti genetiky odhalují vnitřní různorodost některých nemocí, které jsme dříve viděli jako jeden celek,“ připomněl Mgr. Jakub Dvořáček, výkonný ředitel AIFP.

Problémem je dostupnost léčiv

V současnosti stále není proti zhruba 95 procentům vzácných nemocí známa léčba. Někdy lék existuje, ale není dostupný pro všechny pacienty, kteří by z něj mohli mít prospěch. Problém je ryze ekonomický. Z důvodu náročného výzkumu a vývoje léčivého přípravku a nízkého počtu pacientů bývá léčba pro jednoho pacienta často velmi drahá. Zdravotní systém léčbu zdaleka neposkytuje všem potřebným. Svě o tom ví rodina 27letého Martina Krčka z Kladna, který ochrnl kvůli vzácné vrozené Duchennově svalové dystrofii. Na existující inovativní lék nemá nárok, protože jej zdravotní pojišťovny hradí jen těm pacientům, kteří ještě chodí. Martin Krček však musel usednout na invalidní vozík už jako dvanáctiletý školák. „Když víte, že existuje lék, který by mohl postup nemoci zastavit, ale Martin na něj nedosáhne kvůli penězům, je to hrozný pocit. Snad by se mohl přístup státu přehodnotit. Na drahou léčbu závažných vzácných nemocí, za které si nikdo sám nemůže, by se společnost pacientům měla složit,“ zdůraznila na tiskové konferenci pacientova matka Ilona Krčková.

Vstup léků do systému je v ČR zdoluhavý

Řadu překážek, kterým nemocní, lékaři, výzkumníci i samotné léky čelí, se postupně daří odstraňovat. Farmaceutické firmy, kterým by se za běžných podmínek nemohl výzkum léků proti vzácným nemocem vyplatit, mají ve vyspělých zemích určité pobídky (například delší garantovanou dobu, po kterou jiný výrobce nesmí přijít s konkurenčním lékem). Počet pacientů léčených ve specializovaných centrech pro vzácné nemoci postupně roste. „Z mého pohledu ale přetrvává největší překážka, a tou je zdoluhavý proces vstupu léků do systému. Řízení o stanovení úhrady mezi regulátory a pojišťovkami je u orphan léků velice dlouhé. Táhne se obvykle dva roky od povolení léku na evropské úrovni. V západoevropských zemích je tato doba mnohem kratší. Pacienti se vzácnými nádory – což jsou mimo jiné všechny nádory u dětí – si nemohou dovolit čekat,“ uvedla MUDr. Kopečková.

Léky pro vzácná onemocnění jsou hodnoceny Státním ústavem pro kontrolu léčiv (SÚKL) podle jejich dopadu do rozpočtu, závažnosti onemocnění, přínosu v léčbě a nenahraditelnosti léčivého přípravku. „V Německu jsou hrazeny z 90 %, což činí nejméně 50 milionů eur a 3,1 % všech zdravotnických nákladů v zemi,“ řekla MUDr. Kopečková.

V České republice uhradily Všeobecná zdravotní pojišťovna a Svaz zdravotních pojišťoven orphan léky v hodnotě přes 2 miliardy korun v letech 2011 a 2012 (poslední data). I zde je zřejmý nárůst, neboť v roce 2007 tato částka činila pouze něco přes 780 milionů.

Přicházejí však i dobré zprávy pro lékaře a zejména pro pacienty trpící vzácnými onemocněními. Onkologové specializující se na vzácné nádory aktuálně získali několik nadějných léků. „Přelomový je příchod prvního léku, který prodlužuje dobu dožití u pacientů se sarkomem měkkých tkání, a to zhruba o jeden rok. Předchozí dostupná léčba jen oddalovala progresi. Máme také nové léky proti karcinomu štítné žlázy či proti osteosarkomu u dětí a mladých dospělých,“ připomněla onkoložka K. Kopečková.

Klinické zkoušky jsou náročné

Na cestě za novými způsoby léčby vzácných onemocnění stojí také další překážky. Každý léčivý přípravek musí v průběhu svého vývoje uspět v řadě klinických zkoušek, což zejména u vzácných nemocí je proces mimořádně náročný. „Provádění klinických hodnocení v oblasti vzácných onemocnění patří mezi nejnáročnější výzkumné činnosti vůbec. A to jak z pohledu nároků na odbornost personálu, tak s ohledem na technické a logistické zabezpečení či finanční nároky. Návratnost investic je přitom velmi nejistá,“ připomněla MUDr. Beata Čečetková, Ph. D., předsedkyně platformy pro klinické studie Asociace inovativního farmaceutického průmyslu. Klinické hodnocení u vzácných onemocnění přitom běžně trvá 10, ale také až 14 let.

Zároveň připomněla, že realizace klinického hodnocení u vzácných onemocnění je zejména v raných fázích možná pouze ve specializovaných centrech, která by měla být materiálně a personálně vybavena i pro jejich provádění. „U tohoto typu onemocnění je zcela klíčová spolupráce s patientskými organizacemi a skupinami pacientů, a to napříč regionem. Existence veřejně dostupných dat a patientských registrů zvyšuje možnost zařadit potřebný počet pacientů a tím i možnost zařadit danou zemi či centrum do klinických zkoušek,“ uvedla MUDr. Čečetková.

Celkově bylo do klinických zkoušek zapojeno v roce 2015 v České republice více než 26 000 pacientů. „Počet nově zařazených i celkový počet zařazených pacientů postupně klesá. V roce 2015 bylo nově

zařazeno 6812 pacientů, přičemž v roce 2013 jich bylo ve studiích téměř 9000. Největší pokles zaznamenala onkologie, kde počet zapojených pacientů klesl z 4500 v roce 2011 na méně než 1500 pacientů v roce 2015,“ zdůraznila MUDr. Čečetková.

Východní Asie nabízí lepší podmínky

Trendy jsou takové, že z důvodu stoupající finanční náročnosti jsou studie přesouvány na farmaceutické rozvojové trhy, především pak do východní Asie. V budoucnu lze očekávat pokles počtu prováděných klinických studií díky nižšímu počtu podaných žádostí na provádění studií. „S rostoucím významem personalizované medicíny lze očekávat větší zaměření na rané fáze klinických studií. Nezbytný je rozvoj center excelence – specializovaných zdravotnických zařízení, materiálně a personálně vybavených pro provádění klinických zkoušek. Pro studie u vzácných onemocnění je výběr lokalit realizace klinických studií podle regionálních charakteristik – namísto národních – zcela klíčový,“ řekla MUDr. Čečetková.

Česká republika má z hlediska vhodného prostředí pro studie řadu výhod. Země má dobrou geografickou polohu, dodržuje patentovou ochranu léčiv, jsme relativně levní z hlediska úspory nákladů a daří se nám nabírat do studií vhodné pacienty. „Výhodou je i náš kvalitní systém dokumentace, pozitivní přístup lékařů k účasti v klinických studiích a v neposlední řadě jejich vysoká odbornost. Našimi nevýhodami jsou přílišná regulace, nerozvinuté zázemí pro realizaci raných fází studií, velikost populace a rozloha v konkurenci okolních států a regionů,“ připomněla MUDr. Čečetková. Pro udržení pozitivních dopadů klinických hodnocení je zejména u vzácných onemocnění klíčová spolupráce všech zúčastněných subjektů – zadavatelů, lékařů, výzkumníků, zdravotnických zařízení, pacientů, patientských organizací a regulátorů.

„Pro zabezpečení dostupnosti klinických studií pro české pacienty je nutné dále podporovat rozvoj specializovaných center a zajistit jejich mezinárodní rozpoznatelnost a srovnatelnost s okolními státy. Obecně je pro studie třeba vytvořit lepší a kvalitnější administrativní a právní prostředí, zajistit informovanost o nich u odborné i patientské veřejnosti a posilovat spolupráci akademické a průmyslové obce,“ řekla MUDr. Čečetková.

Zdroj: Zdravotnické noviny

Přínos nových léků v léčbě mnohočetného myelomu

miš

Nejde o časté onemocnění, řadí se spíše k těm vzácnějším. Zajímavé je, že první zmínka o mnohočetném myelomu (MM) byla publikována roku 1889 v Prager Medizinische Wochenschrift – profesor Otto Kahler jej popsal jako onemocnění svého kolegy. Až do počátku třetího tisíciletí se jednalo o chorobu velmi těžko léčitelnou, což nyní po vstupu nových léčivých přípravků již neplatí.

MM je vzácné onemocnění, činí jedno procento všech zhoubných chorob a deset procent hematologických onemocnění, přičemž jde o druhé nejčastější krevní nádorové onemocnění. Postihuje spíše starší pacienty (medián věku 63 let), o něco častěji muže (v poměru k ženám 3 : 2). Incidence MM v naší populaci představuje v současnosti zhruba pět nemocných na sto tisíc obyvatel, přičemž u lidí do 40 let jde o onemocnění velmi raritní. Incidence se však rok od roku zvyšuje, přičemž mortalita v posledních letech spíše stagnuje nebo vzrůstá o pouhé desetiny procenta. To znamená, že se nyní více pacientů úspěšně léčí v porovnání s dobou před rokem 2000.

Jednoznačná příčina MM není známa, proto není možné zavést ani účinná preventivní opatření, nelze vyloučit vliv virové infekce, ionizujícího záření, častěji se vyskytuje u imunokomprimovaných jedinců a s nejvyšší pravděpodobností existují i genetické predispozice. MM vzniká na základě monoklonálních gamapatií neznámého významu (MGUS). Paraprotein (M-Ig) se tedy stal prvním nádorovým markerem; jedince s MGUS je nutné dlouhodobě sledovat, ale MM se vyvine jen u zlomku z nich.

Typickým průběhem MM je po asymptomatickém stadiu aktivní myelom, přičemž odpověď na léčbu první linie má prediktivní charakter. Objeví-li se další relapsy, prognóza pacienta je horší. Za vyléčeného lze považovat pacienta, který je dvanáct let bez relapsu. Jistým problémem může být stanovení kompletní remise, protože detekovatelné onemocnění, tedy takové, při němž se existuje 109 myelomových buněk, lze přirovnat ke špičce ledovce, pacienti s menší zátěží myelomovými buňkami unikají diagnóze (minimální reziduální nemoc).

Terapeutickým cílem je proto imunotypová kompletní remise, kdy nelze prokázat myelomové klonální buňky.

První účinnou látkou, která změnila prognózu nemocných, byl nechvalně známý thalidomid, který byl podáván pod názvem Contergan těhotným ženám k zvládnutí těhotenské nevolnosti v prvním trimestru. Počátkem šedesátých let užívání thalidomidu vyprovokovalo epidemii „conterganových dětí“ – tedy zvýšený výskyt amelií a dalších anomálií končetin. Pro nemocné s MM však znamenal (od roku 1999) naději na prodloužení doby přežití (OS) s velmi rychlým nástupem účinku. Je vhodný v indukční terapii, protože nepoškozuje kmenové buňky a doposud je nenahraditelný v léčbě relapsů. Vykazuje nízkou, predikovatelnou a většinou reverzibilní toxicitu a staršími pacienty je dobře snášen, zvyšuje jejich kvalitu života.

Dalším milníkem v úspěšné léčbě MM byl bortezomib (inhibitor proteasomu). V České republice se začal používat v roce 2005 u vybraných nemocných s relabujícím MM. Bortezomib byl u nás registrován v roce 2006 pro léčbu relapsu a v roce 2009 pro léčbu v první linii MM. V současné době je plně

hrozen u pacientů s relabujícím MM. U pacientů nevhodných do transplantačního programu je možné bortezomib podávat po domluvě s pojišťovnou i v první léčebné linii.

Lenalidomid patří do stejné skupiny jako thalidomid. Mechanismus účinku není zcela znám. Má schopnost aktivovat imunitní buňky, NK buňky a T lymfocyty, které jsou lenalidomidem stimulovány k zvýšené proliferaci a produkci IL-2 a IFN γ . Důležitou vlastností lenalidomidu je schopnost snižovat produkci nádorových cytokinů (TNF α , IL-6, IL-8 a VEGF), které působí intenzifikaci proliferační aktivity nádorových buněk i zvýšení rezistence k chemoterapii. Výsledky dvou klinických studií potvrdily dosažení léčebné odpovědi (CR + PR) u 60–61 procent nemocných léčených režimem obsahujícím lenalidomid oproti 20–24 procentům u nemocných s monoterapií dexamethasonem. Doba do progresu i celkové přežití byly významně delší u režimu s lenalidomidem. Následné analýzy dat z těchto studií prokázaly účinnost lenalidomidu u nemocných s refrakterním/relabujícím MM, kteří již byli léčeni dříve thalidomidem. Další studie svědčí o tom, že se účinnost lenalidomidu u předléčených nemocných pohybuje mezi 55–66 procenty, zatímco v první linii je léčebná odpověď až 80–95 procent.

Lenalidomid byl v prosinci 2008 registrován v České republice pro léčbu relapsu onemocnění. Od roku 2009 je plně hrazen v léčbě relapsu MM.

Carfilzomib byl Evropskou komisí schválen k použití v listopadu 2015. Jde o tetrapeptidický epoxyketonový inhibitor proteasomu, který se selektivně a ireverzibilně váže na N-terminální aktivní místa obsahující threonin na 20S proteasomu, což je proteolytická jádrová částice uvnitř 26S proteasomu, a vykazuje malou až žádnou aktivitu proti ostatním třídám proteáz. Carfilzomib prokázal antiproliferační a proapoptotickou aktivitu v preklinických modelech u hematologických nádorů. V klinických studiích u pacientů v rameni s přípravkem Kyprolis, lenalidomidem a dexamethasonem bylo prokázáno zlepšení přežití bez progresu nemoci v porovnání s pacienty v rameni s lenalidomidem a dexamethasonem (HR = 0,69 při jednostranné hodnotě $p < 0,0001$), což představuje 45% zlepšení PFS nebo 31% snížení rizika progresu. V ČR nemá carfilzomib stanovenou úhradu.

Pomalidomid (EMA jej schválila v roce 2013) má přímý tumoricidní účinek na MM, má imunomodulační účinky a inhibuje podporu stromálních buněk pro růst nádorových buněk MM. Pomalidomid zvyšuje imunitu zprostředkovanou T buňkami a NK buňkami a inhibuje tvorbu prozánětlivých cytokinů monocytů (např. TNF α a IL-6). Pomalidomid také inhibuje angiogenezi blokováním migrace a adheze endotelových buněk.

V klinických studiích prokázal pomalidomid v kombinaci s nízkými dávkami dexamethasonu vyšší léčebnou odpověď, delší dobu do progresu (PFS) i OS v porovnání s vysokými dávkami dexamethasonu v monoterapii. V mediánu sledování 10 měsíců došlo v rameni studie s pomalidomidem a nízkými dávkami dexamethasonu ke snížení míry progresu o 52 procent. PFS byl při léčbě s pomalidomidem o čtyři měsíce delší v porovnání s léčbou s vysokými dávkami dexamethasonu (HR = 0,48; 95% CI: –0,39 až –0,60; $p < 0,001$). OS byl v rameni s pomalidomidem významně delší (12,7 měsíce vs. 8,1 měsíce; HR = 0,74; 95% CI 0,56–0,97; $p = 0,03$).

Pomalidomid je v kombinaci s dexamethasonem hrazen v léčbě dospělých pacientů s relabujícím a refrakterním MM v třetí léčebné linii po předchozí terapii zahrnující jak lenalidomid, tak bortezomib s progresí onemocnění při poslední terapii, u kterých je jedinou další alternativou léčby (kromě pomalidomidu) léčba vysokodávkovaným dexamethasonem a není u nich indikována myeloablativní léčba s následnou transplantací krvetvorných buněk.

Daratumumab (schválen Evropskou komisí v roce 2016) je určen v monoterapii k léčbě dospělých pacientů s relabujícím a refrakterním mnohočetným myelomem, u nichž předchází léčba zahrnovala inhibitor proteasomu a imunomodulační látku a kteří při poslední terapii vykázali progresi nemoci. Daratumumab je zacílen na receptor CD38, který je výrazně exprimován na povrchu myelomových buněk. Daratumumab je první a jediná humánní monoklonální protilátka, která se váže na CD38 a indukuje smrt buňky několika způsoby, včetně imunomodulačních mechanismů a přímého působení na nádor.

Klinická účinnost byla ověřena studií SIRIUS, do níž vstupovali vysoce předlčení nemocní; medián předchozích linií léčby, které pacienti dostali, byl pět. Při léčbě daratumumabem u takto rizikové populace však ORR dosáhlo 31 procent. U řady pacientů se pak odpověď spolu s trváním léčby prohlubovala. Velmi dobré bylo i trvání odpovědi s mediánem 7,4 měsíce. Po prvním roce přežívalo 64 procent pacientů. Medián celkového přežití činil 17,5 měsíce.

I tento průlomový lék je podle www.sukl.cz bez úhrady.

Vzkaz do praxe

Bolesti, patologické fraktury a lytická kostní ložiska jsou často prvními příznaky onemocnění. Mnohdy může jít i o neuropatie, postižení ledvin (pro ukládání paraproteinu), časté infekce; anémie může být příznakem infiltrace kostní dřeně. Je-li zvýšená sedimentace erytrocytů (bez známek bakteriální infekce), je žádoucí myslet na MM a pacientovi doporučit diagnostiku a léčbu v některém z center pro léčbu MM. I v době vyšetřování CRP není vhodné zcela zapomínat na „starou“ sedimentaci.

Zdroj: Medical Tribune

Diagnostika vzácných onemocnění

Jakub ŽELEZNÝ, moderátor

Stovkám pacientů v Česku chybí diagnóza a trvá i několik let, než se příčinu nemoci dozvedí. Týká se to především takzvaných vzácných chorob. Přesto, že se jejich databáze rozrůstá, některé syndromy stále čekají na objevení. Znalost nemoci má přitom zásadní vliv na léčbu.

Barbora BRUNCLÍKOVÁ, redaktorka

Diagnóza syndrom kabuki. V Česku ho má 7 dětí. Způsobuje celou řadu obtíží. Postižení srdce, ztrátu sluchu i časté ušní infekce. Ovlivňuje taky intelekt, protože je nemoc vzácná, rodiče často dlouho neznají příčinu problému. V případě Daniela čekali celých 6 let.

Šárka KOREŇOVÁ, Danielova matka

Když jsem dostala tu informaci, že ta diagnóza je potvrzená, tak jsem z toho byla celkem zlomená a zklamaná. Ale na druhou stranu je to opravdu velká výhoda vědět, jakou má diagnózu to dítě.

Barbora BRUNCLÍKOVÁ, redaktorka

Rozpoznání nemoci je náročné. Třeba v případě Daniela napomohly polštářky na prstech. Až v posledních letech lékaři začali využívat další pomůcku, 3D skenování. Nemoci jde totiž od sebe často poznat podle obličejových znaků.

Markéta HAVLOVICOVÁ, zástupkyně přednosty Ústavu biologie a lékařské genetiky 2. LF UK a FN Motol

Toto je pro diagnostiku velmi pomocné, protože některé znaky se na tom 3D modelu právě tím, jak s tím můžeme pohybovat, zvýrazní.

Barbora BRUNCLÍKOVÁ, redaktorka

S obrazem pak mohou pracovat i antropologové. A určit znaky specifické pro konkrétní dosud méně známou nemoc. Do budoucna by mělo softwarové vyhodnocování diagnostiku usnadnit třeba i u syndromu kabuki.

Markéta HAVLOVICOVÁ, zástupkyně přednosty Ústavu biologie a lékařské genetiky 2. LF UK a FN Motol

Zvláštní tvar očí, zvláštní klenuté obočí, zvláštní utváření nosu i úst.

Barbora BRUNCLÍKOVÁ, redaktorka

Diagnostika vzácných onemocnění se v posledních letech výrazně zlepšila. Přibývají tak stovky chorob ročně. A to pomáhá prevenci i léčbě. Protože se často jedná o dědičné nemoci, mohou lékaři v rodinách pohlídat další těhotenství. Pokud je choroba zmapovaná, vědí předem, jak bude postupovat a mohou se na to připravit. Znalost příčiny navíc usnadňuje hledání léku. Cílená léčba je totiž u vzácných nemocí stejně vzácná jako ony samy.

Anna ARELLANESOVÁ, předsedkyně České asociace pro vzácná onemocnění

1 až 2 % máme takzvané ofrany, neboli sirotčí léky, léky na vzácná onemocnění, které jsou ovšem ve většině případů velmi náročné finančně.

Barbora BRUNCLÍKOVÁ, redaktorka

List vzácných onemocnění v současnosti čítá téměř 6 tisíc chorob. Každou z nich v Česku trpí jednotky až stovky pacientů. Ačkoliv samy o sobě jsou vzácné, v součtu jsou mnohem četnější. Je jimi postiženo 5 lidí ze 100. Barbora Brunclíková, Česká televize.

Zdroj: ČT1

Jeden ze dvou tisíc. V Brně připomněli vzácná onemocnění

Růžena Machálková

Brno - Dvaasedmdesátiletému Františku Pourovi diagnostikovali Idiopatickou plicní fibrózu před čtyřmi lety. Nemoc ho ale trápí mnohem déle. Jeho lékařka vzácnou chorobu nerozeznala. Než se Pour dostal k moderní léčbě, nemoc pokročila. Podobný osud trápí jednoho pacienta z dvou tisíc lidí. Vzácná onemocnění si lidé připomínají poslední únorový den. Ve středu se při té příležitosti sešli odborníci v Mendelově muzeu Masarykovy univerzity v Brně.

"Na vzácná onemocnění mnohdy neexistují dostatečně účinné léky a léčba je často velmi nákladná. V současnosti existuje více než sedm tisíc různých vzácných chorob. „Když je spojíme dohromady, jsou ve skutečnosti velice časté. S touto skupinou pracujeme téměř denně," vysvětlila Hana Ošlejšková z Kliniky dětské neurologie Fakultní nemocnice Brno.

O většině vzácných chorob často lidé nic netuší, dokud ne onemocní. „Vůbec jsem nevěděl, co nemoc obnáší. Hledal jsem informace na internetu a prožíval nelehké chvíle, když jsem četl, jakou mám prognózu," popsal Pour, který pochází z Písku.

Idiopatická plicní fibróza poškozují plicní sklípky, žijí je a nemocný se nemůže nadechnout. Postup nemoci zpomaluje léčba, která je v tuzemsku pouhých pět let. Pacienti se k ní však často nedostanou, protože se nemoc odhalí pozdě. Mezi další vzácné nemoci patří například vrozené puchýřnaté onemocnění s názvem nemoc motýlích křídel, kdy je kůže velmi křehká a zranitelná, nebo spinální svalová atrofie, při níž pacientovi ubývá svalstvo a následkem bývá nemožnost pohybu. Důležitá je v boji se vzácnými nemocemi i práce výzkumníků. Tématem středečního setkání proto bylo „Výzkum nám dává naději". „Nemusíme jej chápat pouze jako vědeckou práci ukrytou v laboratořích, ale také jako objevování možností, jak takto nemocným lidem a jejich rodinám pomáhat," uvedla primářka Oddělení lékařské genetiky Fakultní nemocnice Brno Renata Gaillyová, která akci zorganizovala.

Pomoci například rodičům, jejichž děti onemocní vzácnou chorobou, může také Centrum provázení. „Situace, kdy si rodiče musí vyslechnout špatnou zprávu o zdravotním stavu svého dítěte, se nedá s ničím srovnat. Pomoci chceme těmto rodinám tím, že je provedeme vším, co je při náročné léčbě čeká," upřesnil Jan Michalík z Centra provázení, které působí ve Fakultní nemocnici Brno."

Zdroj: Brněnský deník

Pacienti často nevědí, kde hledat pomoc

LUDMILA HAMPLOVÁ

Vztah mezi pacientem a lékařem by měl být vztahem důvěry a partnerství, říká Lenka Teska Arnoštová, náměstkyně ministra zdravotnictví a právnička, která se autorsky podílela na publikaci Zdravotnictví a právo, určené odborníkům i pacientům.

* LN Jak mohou pacienti, kteří znají svá práva, ovlivnit fungování zdravotnictví?

Pacientská práva nejsou něco abstraktního, ale zahrnují celou řadu konkrétních situací, kdy se jako pacient mohu rozhodovat a ovlivnit tak svůj zdravotní stav. Příkladem je třeba to, co zná většina z nás. Když se ocitneme v lékařské ordinaci, jsme ve stresu, cítíme ostych či nechceme vypadat hloupě, a tak mlčíme, i když nám řada věcí z toho, co lékař říká, není jasná. To pak může vést třeba k tomu, že nám budou předepsány nevhodné léky. Nejenom, že léčba pak nebude tak efektivní, jak by mohla být, ale ještě může dojít k poškození zdraví v důsledku nežádoucích lékových interakcí. Každý rok je v Česku hospitalizováno několik tisíc pacientů právě kvůli tomu, že při jejich léčbě byly léky nevhodně kombinovány. Přitom by mnohdy stačilo, kdyby se v ordinaci nebáli zeptat.

* LN Jsou zdravotníci připraveni na takto vybavené pacienty?

Jak kteří. Část bohužel dává přednost pasivnějším pacientům, kteří bez výhrad souhlasí. Ale to se mění. Řada lékařů vítá, když mají před sebou pacienty, kteří jsou informovaní – a tedy i zodpovědnější – a chtějí spolupracovat na své léčbě. Jsou aktivní, ptají se a zajímají se o to, co pro sebe mohou udělat. Myslím, že velmi dobrým příkladem jsou lékaři a lékařky, kteří pečují o pacienty se vzácnými onemocněními. Právě díky tomu, že v této oblasti velmi dobře spolupracují zdravotníci s patientskými organizacemi a samozřejmě jednotlivými pacienty, se společnými silami podařilo dosáhnout zlepšení péče.

* LN Kde pacienti nejčastěji tápou?

Mnohdy vůbec netuší, že mají zákonem garantovanou možnost získat druhý odborný názor a tato péče je jim plně hrazená z veřejného zdravotního pojištění. Přitom právě to, že se před zahájením náročné léčby či plánovaným rozsáhlým zákrokem poradím s dalším specialistou, může být rozhodující pro to, jak se nakonec rozhodnu léčit.

* LN V čem se změnilo postavení pacientů oproti minulosti?

Změna je opravdu velká. Dříve zákon o zdraví lidu z roku 1966 upravoval základní povinnosti pacientů, avšak patientských práv definoval minimum. Dnes je v legislativě zakotveno mnohem více patientských práv a současně máme k dispozici preciznější právní úpravu. Bohužel nám ale chybí lepší právní úprava pro patientské organizace, které by podle mě měly mít ve zdravotnickém systému větší slovo. Vzorem by pro nás mohly být země jako Británie, Německo, Norsko nebo Kanada, kde jsou patientské organizace mnohem více součástí zdravotnického systému a podílejí se na jeho změnách.

* LN Proč by právě patientské organizace měly mít větší vliv?

Pacientské organizace jsou důležitým partnerem jak pro lékaře, tak pro pacienty samotné. Sami lékaři přiznávají, že nemají na nemocné dost času. Jsou na ně kladeny vysoké nároky a musejí se také věnovat administrativě. Na druhé straně pacienti potřebují zodpovědět spoustu otázek, a pokud na ně nejdou odpovědi v ordinaci, začnou sami pátrat na internetu. Tam však mnohdy narazí na zcela nesmyslné informace. V této oblasti pacientské organizace již nyní pomáhají, a proto se je snažím co nejvíce podporovat. Současně tím, že sdružují pacienty jednotlivých diagnóz, za ně mohou hovořit jako jejich zástupci a zprostředkovávat jejich hlas v rozhodovacích procesech.

* LN Jakým způsobem je podporujete?

Zhruba každé tři měsíce probíhá na ministerstvu zdravotnictví setkání zástupců pacientských organizací, kde si předáváme informace a sbíráme nové podněty. Do budoucna bychom rádi tuto komunikaci a spolupráci systematizovali. Ministerstvo organizace podporuje prostřednictvím svých dotačních programů. Současně se však nyní snažíme nalézt udržitelný systém financování, který jim za splnění podmínek umožní stabilní výkon jejich činnosti. Nyní probíhá přípravná fáze projektu, jehož součástí by měl být i vznik servisního a rozvojového centra pro pacientské organizace při ministerstvu, včetně přístupného internetového portálu. Tam budou moci pacientské organizace získávat i sdílet potřebné informace. Pro samotné pacienty by měl sloužit jako rozcestník pro hledání informací, které jim pomohou s řešením jejich situace.

Zdroj: Lidové noviny

DRG se začne používat od roku 2019–2020, pro lékaře to nebude zátěž navíc

nam

DRG by se v Česku mělo plošně začít používat při vykazování akutní lůžkové péče od roku 2019–2020. Lékaře by změna neměla zatížit, budou jako dosud zapisovat do nemocničního informačního systému, co dělali, a tzv. kodéři v každé nemocnici data převedou do nového systému. MT to řekl ředitel Ústavu zdravotnických informací a statistiky (ÚZIS) ČR doc. RNDr. Ladislav Dušek, Ph. D. Zdůraznil, že nerozšiřování administrativy pro lékaře není snaha někomu se zalíbit. Jde hlavně o to, že pokud by se nové výkaznictví převedlo dominantně na bedra lékařů, stoupla by jejich už tak dost vysoká administrativní zátěž natolik, že by systém kvůli jejich nespolupráci plošně stejně nefungoval.

* Projekt nyní nazýváte DRG Restart, proč ta změna názvu?

DRG umožňuje transparentní platbu za homogenní skupiny diagnóz, které jsou vzájemně podobné klinicky i ekonomickými náklady. Je to kompromis mezi dvěma extrémy, výkonovým systémem, kdy se vykazují a hradí konkrétní výkony, a paušální platbou, kdy pojišťovny hradí paušál bez ohledu na to, jak se výkony u poskytovatelů kumulují. Předchozí vývoj DRG nebyl opřen o reprezentativní data z klinické a ekonomické praxe, a tudíž ani nemohl reprezentativně nastavit systém úhrad akutní lůžkové péče.

* Systém DRG budují i jiné země, má tedy každá země svůj model, nebo je univerzální systém DRG?

Je pravda, že systém se snaží zavádět mnoho vyspělých států, takže je od koho se učit. Zároveň je nutno říct, že neexistuje žádné jednotné mezinárodní DRG, každý stát si to dělá jinak, protože každý stát má jiný poměr péče nemocniční a mimonemocniční a procesy v ní. V Evropě je řada modelů DRG, některé jsou víc zaměřeny na průměrování diagnostických jednotek, některé méně. Ve smrtícím čase, který jsme na vytvoření českého DRG dostali, je převzetí zahraničního modelu téměř nemožné, protože by to zásadně změnilo styl vykazování zdravotní péče v každé jednotlivé nemocnici, a to my teď dělat nechceme, ani bychom to nestihli.

* Jaké tedy je vaše zadání?

Je de facto jednoduché – máme za úkol na reprezentativní sadě nemocnic nasbírat plně reprezentativní data o poskytované péči, tedy produkci, a k jednotlivým případům přiřadit reálné relevantní náklady a následně zaklasifikovat do jednotlivých DRG. Tady je právě problém, protože české zdravotnictví to nemá metodicky ošetřeno. Ve chvíli, kdy jsem projekt přebíral, neexistovala standardizovaná metodika oceňování hospitalizačních případů. Nemocniční informační a manažerské systémy nejsou dosud nastaveny na to, aby oceňovaly jednotlivé hospitalizační případy, protože ani výkaznictví vůči zdravotním pojišťovnám tak nestojí. Takže tady máme obrovskou heterogenitu v praxi, která není standardizována, a proto se k hodnocení nákladů stále používají pseudonáklady v podobě bodů za výkony a zvláště účtovaný materiál. Ani jedna komponenta však nevyjadřuje reálnou nákladovost nemocnic. Chybí metodika oceňování, a logicky tím pádem neumíme exaktně říct, kolik který hospitalizační případ stojí. Navíc náš stávající systém klasifikace hospitalizačních případů má daleko do optimální podoby, takže i ten musíme předělat.

* Co je základem pro vytvoření použitelného DRG?

Alfou a omegou není ÚZIS ČR, ale ochota referenčních nemocnic s námi spolupracovat. Pokud by s námi nemocnice nespolupracovaly, nemáme vůbec šanci něco nastavit. Tady musím říct, že máme víc štěstí než rozumu, a moc děkuji všem, protože máme ustavenou síť z více než čtyřiceti referenčních nemocnic, od velkých po malé, které s námi dlouhodobě spolupracují a dovedou nám prominout i lecjaké škobrtnutí, kterých se nejde vyvarovat. Sbíraná data by měla být lehce extrapolovatelná na celý systém akutní lůžkové péče.

* Můžete upřesnit současný stav projektu?

Máme ustavenou referenční síť a máme za sebou pilotní sběr dat za první čtyři měsíce roku 2016, který nás hodně poučil, byla to dost tvrdá zpětná vazba. My na základě toho teď aktualizujeme metodiku oceňování, metodiku klasifikační a další metodiky. Během ledna a února budeme objíždět jednotlivé nemocnice a metodiky s nimi dojednávat a probírat nastavení uvnitř nemocnic tak, abychom do června nasbírali poprvé plně reprezentativní ekonomická i klinická data ze všech referenčních nemocnic, a to za celý rok 2016. Poprvé tak budeme schopni provést plošné ocenění, přiřadit náklady hospitalizačním případům a ověřit nový výpočet relativních vah a nový klasifikační systém. To všechno by mělo spatřit světlo světa nejpozději v říjnu letošního roku. Bude to poprvé, což nestačí na to, abychom to natvrdo pustili jako rudé gardy do úhrad. To znamená, a tak je projekt také napsán, že v roce 2018 musí dojít k dalšímu opakovanému sběru za rok 2017 – to už bude kalibrační sběr, který snad udělá nastavení systému robustní. Během roku 2018 bychom také měli metodické nastavení systému promítnout do závazných norem, což je zejména Sdělení ČSÚ, které publikuje závazné klasifikační systémy. To je krok jedna. Krok dva je, že se systém DRG začne využívat při plánování úhrad akutní lůžkové péče v úhradové vyhlášce. Ministerstvo zdravotnictví bude dostávat aktuální podklady za předchozí rok od ÚZIS ČR, vždy na podzim, než přikročí k napsání úhradové vyhlášky. Tato flexibilita zpracování a předání dat umožní reagovat na reálný ekonomický vývoj v celém systému. Tzn. v případě, že v jednom roce dojde k navýšení platů v nemocnicích, ministerstvo na podzim obdrží informaci, jak by to měla úhradová vyhláška na následující rok reflektovat v oblasti úhrad.

* Jakým způsobem konkrétně zatíží nebo změní DRG výkaznictví nemocnic?

Po spuštění CZ-DRG budou zápisy z nemocničního informačního systému tak jako doposud do systému převáděny automaticky, po zaklasifikování případů kodéry v souladu s novým kodérským manuálem a stávající Metodikou pro pořizování a předávání dokladů, která byla vytvořena v součinnosti se zdravotními pojišťovnami a profesními sdruženími poskytovatelů zdravotních služeb. Pro referenční nemocnice to znamená určitou zátěž, proto bych chtěl, abychom v roce 2017 připravili návrh na jejich bonifikaci. Teď jsme na to získali program z evropských fondů, takže jsme schopni alespoň částečně krýt referenčním nemocnicím náklady, které s personálními investicemi v souvislosti s DRG mají. Nemocnice, které se podílejí na kalibraci systému, by měly být bonifikovány. To je ale jen můj subjektivní názor, který teprve musí být zpracován do konkrétní podoby. Kódování zdravotních služeb, to znamená výkaznictví na pojišťovnu, by měli v praxi dělat profesionální kodéři, kteří v současné době v systému nejsou. České zdravotnictví oproti zahraničí nezná pracovní pozici „kodér zdravotních služeb“. Proto ve stávajícím systému vykazování zdravotních služeb lékaře zatěžuje. Nový systém tuto zátěž nijak prohlubovat nebude. Naopak. V rámci projektu vznikají jednoznačná pravidla pro kódování hospitalizačních případů, takže lékař nebo kodér bude mít ulehčenou práci při kódování. Proto by nový systém neměl znamenat další administrativní zátěž lékařů, to by byl zárodek krachu systému DRG. V rámci projektu už nyní provádíme proškolení pracovníků referenčních nemocnic, kteří mají vykazování péče na starosti.

* Můžete už nyní říct, jak se změna projeví na příjmech nemocnic?

Férová odpověď je, že na to odpověď zatím neznám, ale znát ji budu. První simulaci, jak se systém promítne do case-mixů jednotlivých nemocnic, bychom měli udělat letos na podzim. To bychom měli mít data, teď je nemáme a jakákoli spekulace je mimo realitu. Do konce roku 2017 tedy bude možno simulačně říct, jak se DRG projeví na příjmech nemocnic, velkých i malých, resp. jak by měly, protože vypočtená nákladová hodnota případů referenčních nemocnic ještě neznamená, že by v tomto objemu měla nemocnice získat i úhradu, to by vlastně připomínalo výkonový způsob úhrady, avšak nyní za případy, nikoli za výkony, tak jak bylo nemocnicím hrazeno v 90. letech. Konečné stanovení úhrad za provedenou péči v nemocnicích je v gesci ministerstva zdravotnictví, v rámci dohodovacího řízení mezi plátcí a poskytovateli. Úkolem ÚZIS ČR tak bude na tato jednání připravit validní podklady z reprezentativního vzorku dat pro redistribuci úhrad v systému, nikoli definovat výši úhrad konkrétním poskytovatelům. Úhrady nemocnic vycházejí z jejich historických produkčních a úhradových dat, proto bych chtěl s vykřičníkem zdůraznit – je nám jasné, že systém nemůžeme nastavit tak, že stávající úhradová distribuce peněz na základě nového systému bude změněna revolučně. Musí to být evoluce, neumím si představit, že na základě nějakých výpočtů by někdo z měsíce na měsíc podepsal příjmy části nemocnic a jiným by zase řádově přidal. Proto simulaci musíme udělat – systém musí vést k evoluci, která směřuje k symptomatické hodnotě. Například by se DRG zavádělo postupně tak, že by se jím hradilo postupně stále větší procento péče. Druhý z modelů je, že simulace by konkrétním poskytovatelům umožnila si spočítat, jak na tom jsou a budou, a adaptovat se na nové podmínky včas. Určitě si neumím představit, že bychom se podepsali pod něco, co by systém násilně zcela přebudovalo, protože pak by to dopadlo na různé regiony různě silně, v některých regionech je kumulace velkých nemocnic, v některých regionech nikoli. Z vrtulníku se o tom hezky debatuje, ale dopad pak je veskrze lokální. Simulace je jedna z nejtěžších věcí, kterou musíme na prvních datech udělat.

* Takže systém DRG víc peněz do zdravotnictví nepřinese, měl by je ale mezi nemocnicemi lépe rozdělit.

Systém by měl být spravedlivější a naprosto přehledný. Směřujeme k tomu, že bude možné si celou agendu, včetně oceňování, zkoušet na webu. To znamená, že nic nebude v šuplíku, nebude tu žádná černá skříňka. Například klasifikační systém bude teď v lednu opublikován natvrdo a každý se může podívat na systém bazí, do kterých se případy budou klasifikovat. DRG Portál je přístupný nejen účastníkům projektu, ale každému, koho to zajímá. Zveřejnění klasifikačního systému je první krok, mechanismus ocenění z toho zatím nikdo nezjistí. Mechanismus ocenění a hlavně výsledky ocenění půjdou naostro ven v říjnu. Zveřejnění je šancí pro oponenturu a kritiku, systém pak můžeme postupně kultivovat.

* Jak spolupracujete na projektu se zdravotními pojišťovnami?

Zástupci pojišťoven jsou v tzv. expertní radě projektu, fakticky platí, že žádný metodický materiál nebude oficiálně publikován bez oponentury a připomínkového řízení pojišťoven. Já pojišťovny vnímám jako nadřízené partnery projektu, protože ony jsou plátcí a ony budou rozhodovat o tom, v jakém rozsahu agendu použijí a pustí ven. Myslím si, že mají velmi významnou roli, my k nim přistupujeme tak, že nic nebude publikováno bez jejich souhlasu a bez připomínkového řízení.

* Můžete také vyčíslit náklady projektu?

Vývoj je nyní hlavně kryt z operačního programu pro zaměstnanost, který na roky 2015 až 2020 poskytne 250 milionů korun. Program kryje zejména mzdové náklady související s vývojem v nemocnicích. Nelze také zastírat, že když budeme měnit datová rozhraní zdravotních pojišťoven, ponese to další náklady – ty se musejí v průběhu letošního roku teprve stanovit.

* Závěrem bych chtěla poznamenat, že ačkoli statistika je základem pro rozhodování politiků, vaše ředitelská kancelář tomu neodpovídá. Je to malá místnost v suterénu budovy ministerstva zdravotnictví s obyčejným stolem, počítačem a běžnou židlí.

Udivilo vás, že nemám velkou mramorovanou kancelář, kde sedím na otáčivém velkém měkkém křesle jako velký alfasamec? Já se ptám, myslíte si, že význam ředitele ÚZIS ČR určuje velikost jeho kanceláře a velikost jeho židle, nebo spíš jeho životopis? Ale vážně, má to jednoduché vysvětlení – mohl jsem mít velkou kancelář, ale využil jsem ji, abych měl přednáškovou místnost, a uklidil jsem se do této špeluňky. A židle – pro mě musí být přesně takováto, tvrdá a víceméně nepohodlná, protože v křesle bych okamžitě usnul, což by daňový poplatník jistě neviděl rád.

Jak to bylo s DRG Systém DRG byl vyvinut v roce 1982 v USA a plně rozvinut v Austrálii, kde se používá například i pro ošetřovatelství či psychiatrii. Právě australský systém se stal základem systému německého, který byl do praxe zaváděn v letech 2003 až 2009. Také v Česku se v předchozích letech na DRG pracovalo s cílem zprůhlednit toky peněz. Ověřoval se ale jen v několika nemocnicích. Zlom nastal v roce 2015, kdy byl vedením projektu pověřen doc. Ladislav Dušek. Nyní je v něm zapojeno přes 40 nemocnic.

Zdroj: Medical Tribune

Attend the EURORDIS Membership Meeting 2017 Budapest!

EURORDIS-Rare Diseases Europe represents over 700 member patient organisations.

Every year these members come together to network and participate in capacity-building workshops at the EURORDIS Membership Meeting (EMM).

This year, the EURORDIS Membership Meeting 2017 Budapest will take place from Friday 19 – Saturday 20 May at the Danubius Hotel Helia, Budapest.

Non-member patient organisations, researchers, healthcare professionals, academia and healthcare industry representatives are also invited to attend the EMM alongside over 200 patient advocates.

Register to attend!

See the EMM 2017 agenda.

2017 marks the 20th anniversary of EURORDIS. Sessions at day one of the EMM will focus on achievements of the last two decades and on how to build on the success of 20 years of rare disease advocacy.

On day two of the EMM, attendees will participate in workshops on European Patient Advocacy Groups and European Reference Networks, alternative therapies, paramedical therapies, "survival basics" for small patient organisations, and the topic of social revolution.

Six patient representatives will also have the opportunity to present innovative strategies, services or projects that could be useful for other patient groups in a soapbox session on the Saturday. If you are interested in participating, please email anja.helm@eurordis.org.

EURORDIS thanks the AFM-Téléthon, the European Commission and more than 10 companies for their support to this event. Corporate partnerships are still available, please contact jill.bonjean@eurordis.org for more information.

Please note that the General Assembly on Friday morning is open to EURORDIS members only, all other participants are welcome to join the afternoon session from 14:30 on the Friday and participate in all workshops on the Saturday.

Satellite meetings

Several satellite meetings will also take place ahead of the EMM on Thursday 18 May. The Council of National Alliances will meet (CNA members only). In addition, European Patient Advocacy Group (ePAG) representatives will come together and participate in a leadership training. If you are an ePAG representative and interested in attending please email lenja.wiehe@eurordis.org.

ePAGs bring together elected patient representatives and affiliated organisations who will ensure that the patient voice is heard throughout the development of the new European Reference Networks. Elected ePAG patient representatives liaise with these organisations to ensure true repre-

sentation of the patient voice by participating in the Board and sub-clinical committees of their respective ERN. Is your patient organisation interested in joining an ePAG or would you like to become an ePAG representative? Read more or email lenja.wiehe@eurordis.org.

Eva Bearryman, Communications Manager, EURORDIS

Zdroj: eurordis.org