

PHARMECA

**Jak mohou pacientské organizace
ovlivnit zpřístupnění léků pro
vzácná onemocnění u nás doma**

Jindřich Kotrba

18.4.2015

Souhrn témat

- Užití neregistrovaného léku
- Klinické hodnocení
- Registrace léků
- Stanovení úhrady
- Evropské patientské registry

Zpřístupnění (dostupnost) léků

- I) **EXISTENCE NA TRHU:**
 - a) **rozhodnutí o registraci léku?**
 - Registrovaný přípravek
 - Neregistrovaný přípravek
 - b) **fyzická přítomnost?**
 - Zahájení/přerušování/ukončení dodávek do ČR
 - Paralelní export/import
 - Stažení šarže z trhu
- II) **FINANČNÍ DOSTUPNOST** = má úhradu ZP?

Užití neregistrovaného léku

	Na přímou odpovědnost lékaře/zdrav. zařízení	Specifický léčebný program	Zvláštní léčebný program
P o d m í n k y	Není v oběhu v ČR lék obdobných terapeutických vlastností	Pokud za situace mimořádné potřeby není dostupný registrovaný lék.	Dosud nebyl v praxi použit.
	Jde o lék již registrovaný v jiném státě	<i>U pacientů s chronicky invalidizujícím nebo závažným onemocněním nebo s onemocněním považovaným za život ohrožující.</i>	
	Takový způsob léčby je lege artis	<i>Dotyčný léčivý přípravek musí být buď předmětem žádosti o registraci nebo předmětem klinického hodnocení.</i>	
	Nejde o lék obsahující GMO		

Klinické hodnocení

- V rámci klinické studie je hodnocený lék dostupný bezplatně pouze vymezené skupině pacientů, kdy v případě dvouramenných zaslepených studií nemá pacient jistotu, zda je léčen účinnou látkou nebo placebem.
- V rámci studií jsou sledovány tyto větve:
 - větev s nasazenou hodnocenou léčbou
 - kontrolní větev, které může být nasazeno placebo nebo standardní léčba
- Je zajištěno doléčení pacientů bez nutnosti převedení na standardní léčbu i po skončení studie?
- Je dána u pacientů v kontrolním rameni možnost pokračovat v léčbě hodnoceným lékem?

Registrace léku

- Zpravidla lze uvést na trh v ČR pouze LP s registrací
 - a) udělenou SÚKL nebo
 - b) udělenou Evropskou lékovou ag.
- Výjimky z registrace upravuje § 25 odst. 2 písm. a) až i) zákona o léčivech
- SÚKL stanovuje úhradu lékům registrovaným nebo jimž byl schválen specifický léčebný program

Poregistrační studie bezpečnosti

- jakákoli studie týkající se registrovaného humánního LP prováděná za účelem zjištění, popsání nebo kvantifikace bezpečnostního rizika, potvrzení bezpečnostního profilu tohoto LP nebo zjištění míry účinnosti opatření prováděných v rámci řízení rizik

Neintervenční poregistrační studie

- jakákoli studie, při níž je registrovaný LP používán **běžným způsobem** a v souladu s podmínkami jeho registrace a při níž použití LP není určeno zařazením pacienta do takové studie, ale rozhodnutím ošetřujícího lékaře
- u pacientů se nepoužijí **žádné dodatečné diagnostické nebo monitorovací postupy** a pro analýzu shromážděných údajů se použijí epidemiologické metody
- neintervenční poregistrační studie zahrnují zejména studie epidemiologické, farmakoekonomické a výzkumné

Připomínkování ve správních řízeních

- Ačkoliv nejsou účastníky správního řízení, tak mohou zaslat své vyjádření SUKLu ke konkrétní sp.zn.
- Dosud SUKL se vždy připomínkou pacientů nebo jejich organizací zabýval, ačkoliv ve vypořádání neopomněl uvést, že nejsou účastníky správního řízení o stanovení úhrady léku

Stanovení úhrady lékům v ČR

- Dostupnost pro pacienta = **dostupnost finanční**
- Úhrada je přiznána pouze tehdy, pokud jsou **splněna kritéria** stanovená zákonem/vyhláškou
- Splnění kritérií musí výrobci SUKLu prokazovat ve správním řízení s možností odvolání k MZ.
- **Rozsah dokumentace** předkládané s žádostí o stanovení úhrady LP musí odpovídat současným poznatkům o LP a obsahovat veškeré informace týkající se LP bez ohledu na to, zda jsou pro něj příznivé, nebo nepříznivé. Zejména musí být uvedeny všechny významné podrobnosti týkající se účinnosti, bezpečnosti a porovnání nákladů a přínosů spojených s použitím LP v běžné klinické praxi

Léky pro vzácná onemocnění

- Podmínka vysoké inovativnosti je typicky splněna, pokud **neexistuje účinná alternativa**
- Často proto hrazeny v režimu **dočasné úhrady 2+1 rok** (se závazkem výrobce na doléčení rozléčených pacientů)
- Povinnost výrobce sbírat **data z klinické praxe** (registr) pro stanovení trvalé úhrady - naráží na malý počet pacientů se vzácným onemocněním - otázka mezinárodní spolupráce?

Evropské registry pro vzácná onemocnění?

- Jedním ze strategických cílů Evropské komise je vytvoření **Evropské platformy** pro registry vzácných onemocnění poskytující společné přístupy a nástroje pro existující a budoucí registry vzácných onemocnění v EU.
- **PARENT** - společný projekt spolufinancovaný Evropskou komisí a některými členskými státy (květen 2012- květen 2015) - cílem je podpora členských států v přípravě kompatibilních a přeshraničně použitelných registrů v klinické oblasti zvláštního významu
- EUCERD (European Union Committee of Experts on Rare Diseases) přijala 5.6.2013 toto doporučení: [EUCERD Core Recommendations on Rare Disease patient registration and data collection](#)

Průkaz účinnosti - hierarchie klinických důkazů



Při stanovení úhrady se u léku posuzuje

- a) jeho terapeutická účinnost a bezpečnost,
- b) závažnost onemocnění, k jejímuž léčení je určen,
- c) účastníkem řízení předložené hodnocení nákladové efektivity a dopadu na finanční prostředky zdravotního pojištění...(včetně výstupu z registru),
- d) **veřejný zájem...**,
- e) vhodnost cesty podání, lékové formy, síly a velikost balení,
- f) obvyklé dávkování,
- g) nezbytná délka léčby,
- h) **míra součinnosti** osoby, které je podáván,






Při stanovení úhrady se u léku posuzuje

- i) jeho nahraditelnost jiným léčivým přípravkem nebo potravinou pro zvláštní lékařské účely, hrazenou ze zdravotního pojištění a porovnání jejich cen a stanovených úhrad s cenou posuzovaného léčivého přípravku nebo potravinu pro zvláštní lékařské účely,
- j) předpokládaný dopad úhrady na finanční prostředky zdravotního pojištění,
- k) doporučené postupy odborných institucí a odborníků, a to vždy z hlediska nákladové efektivity a s ohledem na dopad na finanční prostředky zdravotního pojištění.

eunetha

- Spolupráce s EUCERD, EUPATI, PARENT
- ČR zastoupena prostřednictvím MZ

Klíčové fáze ve vstupu léku na trh a možnost zapojení pac. organizací

Použití neregistrovaného léku	
Klinické hodnocení	
Registrace léku (EMA)	
Poregistrační studie Pacientské registry	
Stanovení úhrady	

Děkuji Vám za pozornost.