

ΠΡΟΣΒΑΣΗ ΤΩΝ ΑΣΘΕΝΩΝ ΜΕ ΣΠΑΝΙΕΣ ΠΑΘΗΣΕΙΣ ΣΤΑ ΟΡΦΑΝΑ ΦΑΡΜΑΚΑ

Αντώνιος Αυγερινός, MPhil, PhD
Φαρμακοποιός, Υποστράτηγος ε.α.



- Μετ' εμποδίων η πρόσβαση ενός εκατομμυρίου Ελλήνων με «σπάνιες παθήσεις» στις θεραπείες τους.
- Καθυστερούν να ενταχθούν στη «θετική λίστα» τα «ορφανά φάρμακα»
- Αρκετοί ασθενείς αναγκάζονται να πληρώνουν τη θεραπεία τους παρότι ανήκουν στην κατηγορία των χρονίως πασχόντων, ενώ πολλοί ταλαιπωρούνται λόγω της μείωσης των προϋπολογισμών των νοσοκομείων και του «πλαφόν» της συνταγογράφησης.
- «Αξία ανεκτίμητη» για τον σπάνιο ασθενή η σωστή και έγκαιρη διάγνωση, ιδίως όταν υπάρχει θεραπεία που έχει αναπτυχθεί και κυκλοφορεί!

Με τον όρο «σπάνιες παθήσεις» αναφερόμαστε σε ένα ευρύ φάσμα παθήσεων, που η κάθε μία αφορά εξαιρετικά μικρό αριθμό πασχόντων.

Το γεγονός, ωστόσο, ότι οι σπάνιες παθήσεις είναι 6.000 έως 8.000, ανεβάζει σημαντικά τον συνολικό αριθμό των πασχόντων.

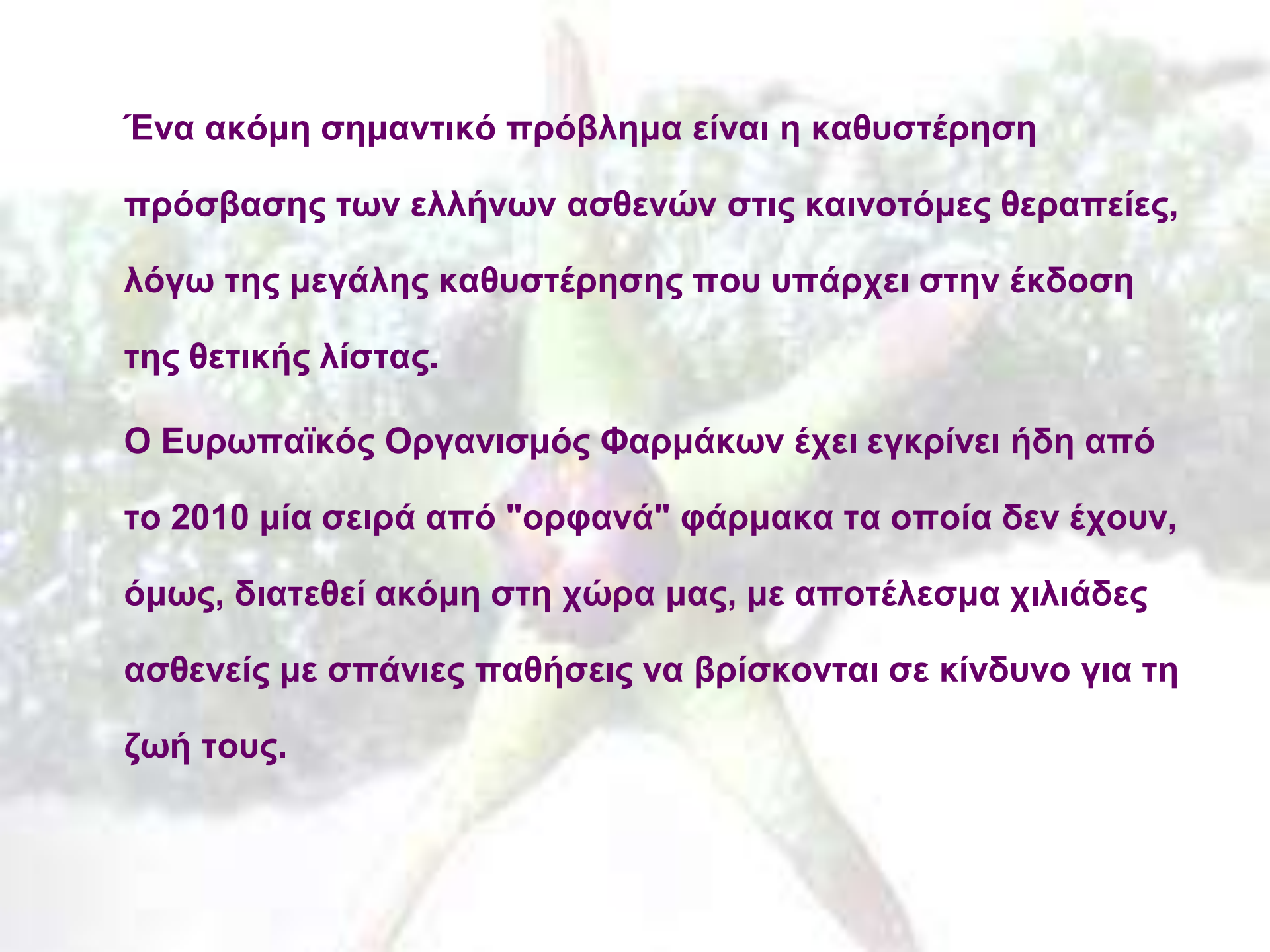
Εκτιμάται ότι σήμερα στην Ελλάδα οι «σπάνιοι ασθενείς» ανέρχονται σε σχεδόν ένα εκατομμύριο.

Οι «σπάνιες παθήσεις» αφορούν νόσους που αποδίδονται σε γονιδιακές αλλοιώσεις με σημαντική πιθανότητα κληρονομικής μετάδοσής τους, οι οποίες οδηγούν σε αυξημένη νοσηρότητα, μείωση του προσδόκιμου επιβίωσης και ανάγκη για συνεχή θεραπεία. Λόγω της σπανιότητάς τους, πολλά από τα νοσήματα αυτά δεν είναι γνωστά στον ιατρικό κόσμο. Ένας γιατρός μπορεί να έχει διδαχθεί ορισμένα από αυτά στην Ιατρική Σχολή, αλλά να μην τα έχει συναντήσει στην καθημερινή πράξη. Έτσι, σε ορισμένες περιπτώσεις η διάγνωση μίας σπάνιας πάθησης, μπορεί να γίνει έπειτα από 10 ή 15 χρόνια.

Έρευνα του Ευρωπαϊκού Οργανισμού για τις Σπάνιες Παθήσεις, έδειξε ότι για το 25% των ασθενών χρειάστηκαν από 5 έως 30 χρόνια μέχρι να διαγνωστεί η ασθένεια. Στο 40% των ασθενών έγινε αρχικά λανθασμένη διάγνωση της νόσου και υποβλήθηκαν σε λανθασμένη αγωγή, όπως χειρουργική επέμβαση ή ακόμη και ψυχιατρική θεραπεία. Αξιοσημείωτο είναι επίσης, πως υπάρχουν μόνο μερικές δεκάδες θεραπείες που έχουν αναπτυχθεί.

Πολλά προβλήματα πρόσβασης αντιμετωπίζουν καθημερινά οι πάσχοντες από «σπάνιες νόσους», καθώς, σε αρκετές περιπτώσεις, οι ασθενείς καλούνται να πληρώσουν παρότι είναι χρονίως πάσχοντες, ενώ σε άλλες, ταλαιπωρούνται, καθώς οι ιατροί του ΕΟΠΥΥ επικαλούνται το “πλαφόν” της συνταγογράφησης.





Ένα ακόμη σημαντικό πρόβλημα είναι η καθυστέρηση πρόσβασης των ελλήνων ασθενών στις καινοτόμες θεραπείες, λόγω της μεγάλης καθυστέρησης που υπάρχει στην έκδοση της θετικής λίστας.

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έχει εγκρίνει ήδη από το 2010 μία σειρά από "ορφανά" φάρμακα τα οποία δεν έχουν, όμως, διατεθεί ακόμη στη χώρα μας, με αποτέλεσμα χιλιάδες ασθενείς με σπάνιες παθήσεις να βρίσκονται σε κίνδυνο για τη ζωή τους.

Ορφανά φάρμακα: φάρμακα υψηλής αξίας, κόστος και αποζημίωση

Οι σπάνιες παθήσεις αντιμετωπίζονται με τα "ορφανά" φάρμακα.

Τα διαθέσιμα σήμερα ορφανά φάρμακα, αντιμετωπίζουν ένα πολύ μικρό ποσοστό των σπάνιων ασθενειών, καθώς, ενώ οι σπάνιες παθήσεις αριθμούνται σε 6.000 - 8.000, οι διαθέσιμες γι' αυτές θεραπείες είναι μόνο μερικές δεκάδες.

Από οικονομικοτεχνική άποψη, η επιδημιολογία των σπανίων παθήσεων, καθιστά την ανάπτυξη ορφανών φαρμάκων σε σύγκριση με μία πιο «τυπική» διαδικασία παραγωγής φαρμάκων, μία πολύ ακριβή διαδικασία.

Το γεγονός πως οι θεραπείες αυτές στοχεύουν στην αντιμετώπιση της ίδιας της ασθένειας και όχι των συμπτωμάτων της, προσδιορίζει και τα υψηλότερα standards R&D που απαιτούνται για την ανάπτυξή τους.

Περαιτέρω, το κόστος ανάπτυξης αυτών των υψηλής αξίας φαρμάκων, είναι αντιστρόφως ανάλογο ως προς το μέγεθος της αγοράς στην οποία απευθύνονται – γεγονός, που δεν συνεπάγεται την απόσβεση του κεφαλαίου που επενδύεται για αυτή τους την ανάπτυξη.

Το 50% των δαπανών για τα σπάνια νοσήματα αφορούν στην αξία της απολεσθείσας παραγωγικότητας.

Η απουσία διαθέσιμης θεραπείας επιφέρει σημαντική επιβάρυνση της κλινικής εικόνας, ανυπολόγιστες συνέπειες για τον ασθενή, αλλά και σημαντικές δαπάνες για το σύστημα Υγείας.

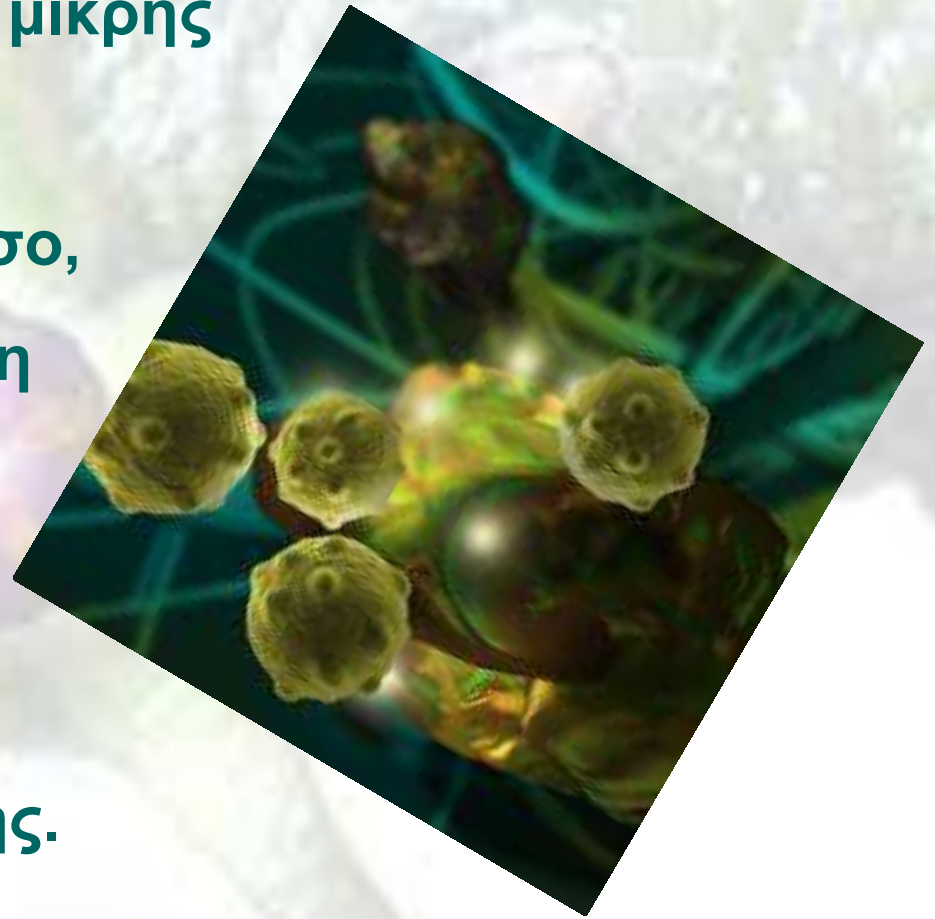
Για να υπάρχουν κίνητρα για ανάπτυξη των σκευασμάτων αυτών, οι αξιολογήσεις γίνονται με βάση τον λόγο του κόστους ανά κερδισμένο έτος ζωής. Κατά κύριο λόγο, λαμβάνονται υπόψη μία σειρά άλλων παραγόντων, όπως η απουσία εναλλακτικών θεραπειών ή το σημαντικό κόστος που θα έπρεπε να επωμιστεί ο ασθενής σε περίπτωση μη αποζημίωσης.

Για να ενθαρρυνθεί η παραγωγή και διάθεσή τους, τα κράτη παρέχουν κίνητρα. Στις ΗΠΑ, έχουν εγκριθεί περίπου 243 φάρμακα από το 1983, αλλά στην Ευρωπαϊκή Ένωση καθυστέρησε να δημιουργηθεί ένα ανάλογο περιβάλλον για την παραγωγή των σκευασμάτων.

Η αρμόδια Επιτροπή του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων δημιουργήθηκε το 2000 και έκτοτε έχει δεχθεί 1.235 αιτήσεις. Από αυτές, έχει αποφανθεί θετικά για τις 850 και έχει εγκρίνει μόλις 75 ορφανά φάρμακα.



Το μέσο ετήσιο κόστος θεραπείας ανά πάσχοντα από σπάνια νόσο, ανέρχεται στην Ευρώπη στα 32.500 ευρώ. Λόγω της μικρής συχνότητας των νοσημάτων, ωστόσο, η φαρμακευτική δαπάνη για τις σπάνιες νόσους δεν ξεπερνά το 4% της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης.



Η Ελλάδα δεν διαθέτει εθνικό πλαίσιο κινήτρων για την κυκλοφορία και διάθεση ακριβών φαρμάκων όπως ορίζεται από τους οικείους ευρωπαϊκούς κανονισμούς.



Το υφιστάμενο σχετικό καθεστώς δεν διαφοροποιείται από εκείνο των υπόλοιπων φαρμακευτικών προϊόντων, κάτι το οποίο δημιουργεί εμπόδια πρόσβασης των ασθενών στις συγκεκριμένες θεραπείες.

**Είναι αναγκαία η θέσπιση ενός Εθνικού Πλαισίου
Κινήτρων στην Ελλάδα, για την κυκλοφορία των
εν ισχύ και εγγεγραμμένων στο Κοινοτικό Μητρώο
Ορφανών Φαρμάκων,
που να διασφαλίζει
την απρόσκοπτη πρόσβαση
των ασθενών σε θεραπείες υψηλής καινοτομίας.**



Δεδομένης της οικονομικής κρίσης στην Ελλάδα είναι απαραίτητες οι στρατηγικές παρεμβάσεις και η αναδιοργάνωση του κλάδου της υγείας.

Η Ελλάδα, ως κράτος μέλος της Ε.Ε, έχει υποχρέωση να εναρμονιστεί με τους δύο Ευρωπαϊκούς Κανονισμούς (Ε.Κ. 141/2000 & Ε.Κ. 847/2000) και να θεσπίσει ένα Εθνικό Πλαίσιο Κινήτρων για την Κυκλοφορία των εν ισχύ Ορφανών Φαρμάκων στη χώρα μας. Στη συνέχεια, τα κίνητρα αυτά, πρέπει να κοινοποιηθούν στην Ευρωπαϊκή Επιτροπή και τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων (EMA).

**Στα πλαίσια αυτά, πρέπει σαφώς να ορίζεται
με δίκαιο και σύννομο τρόπο το καθεστώς
τιμολόγησης και αποζημίωσης των
Ορφανών Φαρμάκων,
καθώς και να αξιολογούνται
τα κανάλια διανομής με γνώμονα
την εύκολη πρόσβαση των ασθενών σε
κάθε σημείο της Ελλάδας.**



Η έλλειψη Εθνικού Πλαισίου Κινήτρων για την Κυκλοφορία των εν ισχύ Ορφανών Φαρμάκων στην Ελλάδα:

- ❖ δημιουργεί στρεβλώσεις στην τιμολόγηση αυτών
- ❖ προκαλεί κωλύματα στη διάθεσή τους και
- ❖ αποθαρρύνει την ανάπτυξη της επιχειρηματικής δραστηριότητας στη χώρα μας.

Η ορθολογική ρύθμιση του κλάδου των ορφανών φαρμάκων, μπορεί να οδηγήσει σε σημαντικά οφέλη για τον κρατικό προϋπολογισμό.

Είναι ενδεικτικό ότι σε πολλές περιπτώσεις ασθενών, κάποια ορφανά φάρμακα επειδή δεν κυκλοφορούν στην Ελλάδα,

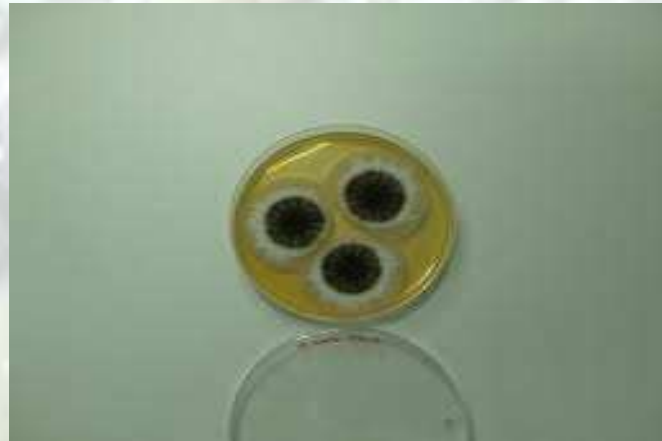
εισάγονται από το ΙΦΕΤ (Ινστιτούτο Φαρμακευτικής Έρευνας και Τεχνολογίας) γεγονός που αποβαίνει εξαιρετικά επιζήμιο για την Πολιτεία.



Οι εκάστοτε Φορείς Κοινωνικής Ασφάλισης πληρώνουν πολύ υψηλότερες τιμές για την εισαγωγή αυτών των φαρμάκων, ενώ με τη σειρά του το Κράτος χάνει:

- ❖ **πολύτιμες εισφορές που αφορούν σε εισπράξεις φόρων, Φ.Π.Α., rebate, clawback, εισφορές σε ταμεία και**
- ❖ **θέσεις εργασίας επιστημονικού προσωπικού που θα εξασφάλιζε η επιχειρηματική δραστηριοποίηση στη χώρα μας, των εταιρειών που είναι οι κάτοχοι της άδειας κυκλοφορίας των φαρμάκων αυτών.**

Η Συμβολή των Αρχών Υγείας και επιχειρήσεων προς την κατεύθυνση αυτή, είναι απαραίτητη για την εφαρμογή των βέλτιστων στρατηγικών παρέμβασης.



Η θέσπιση του Εθνικού Πλαισίου για την Κυκλοφορία των εν ισχύ Ορφανών Φαρμάκων, θα ενθαρρύνει την έλευση μεσαίων ή μικρών εταιρειών βιοτεχνολογίας με ορφανά φάρμακα, που σήμερα δεν δραστηριοποιούνται στην Ελλάδα.

Οι φαρμακευτικές εταιρείες, μέχρι πρότινος δεν ήταν πρόθυμες να αναπτύξουν τέτοια φάρμακα υπό συνήθεις συνθήκες αγοράς, καθώς το κόστος παραγωγής και εμπορίας τους, δεν θα μπορούσε να καλυφθεί από τις αναμενόμενες πωλήσεις των φαρμάκων αυτών, χωρίς την παροχή κινήτρων. Ο δρόμος άνοιξε, όταν τα κίνητρα αυτά θεσπίστηκαν το 2000 με τους οικείους Ευρωπαϊκούς Κανονισμούς (Ε.Κ).

ΠΡΟΤΑΣΕΙΣ ΓΙΑ ΤΗΝ ΥΠΟΣΤΗΡΙΞΗ ΤΩΝ ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ

- Να εξασφαλιστεί ένας σωστός, σύννομος και δίκαιος τρόπος τιμολόγησής τους,
 - για την Ελλάδα, η ex-factory τιμή να προκύπτει από το μέσο όρο όλων των Ευρωπαϊκών χωρών και να ισοδυναμεί με την Νοσοκομειακή τιμή στη χώρα μας, η οποία άλλωστε αποτελεί και τη μοναδική ισχύουσα τιμή.
- Να μην εφαρμόζονται έκτακτες ανατιμολογήσεις και να ανακοστολογούνται μια φορά κάθε χρόνο με το πρώτο Δελτίο Τιμών του έτους

ΠΡΟΤΑΣΕΙΣ ΓΙΑ ΤΗΝ ΥΠΟΣΤΗΡΙΞΗ ΤΩΝ ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ

- Να εντάσσονται άμεσα στη θετική λίστα των αποζημιούμενων φαρμάκων
 - εξασφαλίζοντας μηδενική συμμετοχή των ασθενών στη θεραπεία με ορφανά φάρμακα, (όπως αυτά σήμερα συμπεριλαμβάνονται στον κατάλογο του Ν.3816).
- Να διατίθενται από όλα τα κανάλια διανομής, δηλαδή και από ιδιωτικά φαρμακεία όταν η Άδεια Κυκλοφορίας το επιτρέπει. Κατ' αυτόν τον τρόπο διευκολύνεται η πρόσβαση των ασθενών, ακόμη και εκείνων που διαμένουν σε απομακρυσμένες περιοχές της χώρας μας.

Επιπλέον, καθώς τα Ορφανά Φάρμακα διατίθενται αποκλειστικά σε Νοσοκομειακή Τιμή, και ο μοναδικός πελάτης είναι το ίδιο το κράτος, θεωρείται δίκαιο να μην εφαρμόζεται clawback.

Η τιμολόγηση και αποζημίωση των ορφανών φαρμάκων πρέπει να γίνεται με δίκαιο, σύννομο και ορθολογικό τρόπο, ώστε:

- να μην επιβαρύνεται ο Κρατικός Προϋπολογισμός**
- να διασφαλίζεται η επιχειρηματική δραστηριότητα**
- να παρέχεται απρόσκοπτη πρόσβαση των ασθενών στις καινοτόμες θεραπείες τους με ορφανά φάρμακα.**

ΠΡΟΣΒΑΣΗ ΤΩΝ ΑΣΘΕΝΩΝ ΜΕ ΣΠΑΝΙΕΣ ΠΑΘΗΣΕΙΣ ΣΤΑ ΟΡΦΑΝΑ ΦΑΡΜΑΚΑ

Αντώνιος Αυγερινός, MPhil, PhD
Φαρμακοποιός, Υποστράτηγος ε.α.