

Στο στόχαστρο οι ασθενείς με σπάνιες παθήσεις;



Του καθηγητή Δημοσθένη Μπούρου, MD, PhD, FERS, FCCP, FAPSR*



Τα πρωτότυπα φάρμακα είναι καινοτόμα

φάρμακα που αναπτύσσονται μετά από πολυετή εργαστηριακή και κλινική έρευνα και αποτελούν ένα ισχυρό όπλο για την αντιμετώπιση των ασθενειών και τη βελτίωση της ποιότητας της ζωής των ασθενών. Είναι το αποτέλεσμα μιας χρονοβόρας διαδικασίας που απαιτεί υψηλές επενδύσεις, όμως η αποτελεσματικότητά τους, σε σχέση με τα θεραπευτικά οφέλη, τα καθιστά σε υψηλή θέση μεταξύ των φαρμακευτικών επιλογών. Λόγω του υψηλού κόστους ανάπτυξης και παραγωγής τα

πρωτότυπα φάρμακα καλύπτονται από δίπλωμα ευρεσιτεχνίας για συγκεκριμένο χρονικό διάστημα, μετά τη λήξη του οποίου ονομάζεται «εκτός πατέντας πρωτότυπο φάρμακο» και η τιμή του μειώνεται δραστικά (στην Ελλάδα κατά 50%).

Μια κατηγορία των καινοτόμων φαρμάκων αφορά τα ονομαζόμενα «ορφανά» φάρμακα. Ο χαρακτηρισμός "ορφανά" δόθηκε στα φάρμακα που δημιουργήθηκαν για την αντιμετώπιση και θεραπεία των Σπανίων Παθήσεων, καθώς αυτές παρουσιάζονται σε χαμηλό ποσοστό στο σύνολο του παγκόσμιου πληθυσμού και δεν "υιοθετούνται" από τα ερευνητικά προγράμματα της φαρμακοβιομηχανίας. Σημειώτεον ότι μια ασθένεια ή διαταραχή ορίζεται στην Ε.Ε. ως «σπάνια» όταν προσβάλλει 5 στα 10.000 άτομα. Προκειμένου να ενθαρρύνονται οι φαρμακοβιομηχανίες να προβαίνουν στην αναζήτηση καινοτόμων φαρμάκων έχουν από καιρού θεσπισθεί ειδικά κίνητρα. Σημειώτεον ότι μόνο για 5% από τα 6-8.000 σπάνια νοσήματα υπάρχει φαρμακολογική θεραπεία, ενώ τα περισσότερα από αυτά αφορούν τον καρκίνο, δεδομένου ότι τα ορφανά ογκολογικά φάρμακα αποτελούσαν το 33% των εγκρίσεων την περίοδο 2006 – 2011.

Μετά την έγκριση κυκλοφορίας από τους αρμόδιους φορείς ενός καινοτόμου φαρμάκου και μέχρις ότου αυτό τιμολογηθεί και εισαχθεί στη λίστα αποζημίωσης διαρρέει συνήθως μεγάλο χρονικό διάστημα, προφανώς για συγκράτηση της φαρμακευτικής δαπάνης των χωρών. Δικαιολογημένα οι θεράποντες και οι ασθενείς επιθυμούν να έχουν ένα καινοτόμο φάρμακο εγκαίρως διαθέσιμο, ιδίως όταν αυτό έχει αποδειχθεί ότι βελτιώνει σημαντικά το προσδόκιμο επιβίωσης και την ποιότητα ζωής των ασθενών, ιδιαίτερα όταν δεν υπάρχει εναλλακτική θεραπεία.

Πολλές φορές οι φαρμακοβιομηχανίες στο διάστημα μεταξύ έγκρισης και κυκλοφορίας στην αγορά ενός καινοτόμου φαρμάκου υψηλού κόστους για σπάνιο νόσημα το διαθέτουν δωρεάν βάσει συγκεκριμένου ονομαστικού προγράμματος ασθενούς, μετά από πρόταση του θεράποντα, της συγκατάθεσης του ασθενούς και την έγκριση από το επιστημονικό συμβούλιο του νοσοκομείου και του ΕΟΦ εν συνεχεία.

Μέχρι σήμερα η τιμή αποζημίωσης του φαρμάκου στη χώρα μας ορίζεται από τον μέσο όρο της τιμής των τριών χωρών με την χαμηλότερη τιμή κυκλοφορίας. Ελπίζουμε ότι η προτεινόμενη τροπολογία αποζημίωσης των καινοτόμων φαρμάκων ότι δεν θα έχει ως συνέπεια την καθυστέρηση κυκλοφορίας των στη χώρα μας και ότι οι φαρμακευτικές εταιρείες θα συνεχίσουν να καλύπτουν, μέσω προγραμμάτων, την σχετική δαπάνη μέχρι την έγκριση της κυκλοφορίας ειδικά των ορφανών φαρμάκων.

**** Ο Δημοσθένης Μπούρος , MD, PhD, FERS, FCCP, FAPSR είναι καθηγητής Πνευμονολογίας – Φυματιολογίας στο Εθνικό και Καποδιστριακό Πανεπιστήμιο Αθηνών και Πρόεδρος της Εταιρείας Σπανίων Παθήσεων και Ορφανών Φαρμάκων.***