



Η Θεραπευτική αντιμετώπιση των Σπανίων Παθήσεων από την πλευρά της Πολιτείας

Η μεγάλη πολυπλοκότητα και η ανεκπλήρωτη ανάγκη, όσο αφορά τις σπάνιες παθήσεις, μπορεί να είναι συντριπτική για ολόκληρο τον τομέα υγείας, για τους υπεύθυνους χάραξης πολιτικής, τους κλινικούς ιατρούς, τους επαγγελματίες, τους ερευνητές, τους ακαδημαϊκούς, τη βιομηχανία και ειδικά για τα άτομα που ζουν με μια σπάνια ασθένεια.



Οι Ιδιαιτερότητες των Σπανίων Παθήσεων

**Παθήσεις «ελλιπώς»
κατανοητές από τους
επαγγελματίες της υγείας**

- Γενικά, όσο μικρότερη είναι η επίπτωση, τόσο δυσκολότερα γνωστή ή κατανοητή είναι η πάθηση από τους επαγγελματίες υγείας.

**Μεγάλος αριθμός
ασθενειών με υψηλή
ετερογένεια**

- 6.000 έως 8.000 διαφορετικές παθήσεις
- Συχνά υψηλή φαινοτυπική ποικιλομορφία στις ατομικές διαταραχές

**Μικρός αριθμός ασθενών
ανά πάθηση**

- Δυσκολία στην μελέτη της πάθησης
- Δυσκολία στην ανάπτυξη (κλινικών μελετών) και την παραγωγή φαρμάκων

Οι Ιδιαιτερότητες των Σπανίων Παθήσεων

Πολιτικές για τα ορφανά φάρμακα

Οι πολιτικές που χαρακτηρίζουν την φαρμακευτική νομοθεσία και την πρόσβαση των ασθενών στα ορφανά φάρμακα είναι ετερογενείς ανάμεσα στις διαφορετικές χώρες σε όλο τον κόσμο και φυσικά στην Ευρώπη.

Είναι φυσικά γεγονός ότι, οι χώρες που απέκτησαν πολιτικές για τα ορφανά φάρμακα αυξήθηκε σημαντικά, σε παγκόσμια κλίμακα, από το 2013 και μετά.



Το Ευρωπαϊκό Κοινωνικό-Πολιτικό Πλαίσιο



Το Ευρωπαϊκό Κοινωνικό-Πολιτικό Πλαίσιο

- «Η κοινωνία δεν μπορεί να αποδεχτεί ότι ορισμένοι από τους πολίτες της στερούνται τα οφέλη της ιατροτεχνολογικής προόδου απλά **επειδή ο αριθμός των ανθρώπων που πάσχουν είναι μικρός**. Ως εκ τούτου, εναπόκειται στις δημόσιες αρχές να παράσχουν τις αναγκαίες ρυθμίσεις και τα κίνητρα και να προσαρμόσουν τις διοικητικές τους διαδικασίες, έτσι ώστε να καταστήσουν όσο το δυνατόν πιο εύκολη την παροχή φαρμακευτικών προϊόντων σε αυτούς τους ασθενείς, προϊόντα που θα είναι εξίσου ασφαλή και αποτελεσματικά με κάθε άλλο φαρμακευτικό προϊόν και θα πληρούν τα ίδια πρότυπα ποιότητας.”

EU Charter of Fundamental Rights



Το Ευρωπαϊκό Ρυθμιστικό Πλαίσιο για τα Φάρμακα

- Στις 23 Φεβρουαρίου 1995, δημιουργήθηκε το «Expert group», που είχε σαν στόχο να συζητήσει τις συστάσεις για τις προτεραιότητες της ΕΥ σχετικά με την Έρευνα και το Ρυθμιστικό πλαίσιο που σχετίζεται με τις σπάνιες παθήσεις και τα ορφανά φάρμακα, και στις 16 Δεκεμβρίου 1999, η ΕΥ πέρασε το νόμο για τα ορφανά φάρμακα.

Ενισχύοντας την Ανάπτυξη Ορφανών Φαρμάκων

Ανάπτυξη Φαρμάκων

- Χαρακτηρισμός Ορφανών και συνδρομή στην κατάρτιση πρωτοκόλλων
- Επιστημονική επικύρωση/ κατευθυντήριες αναπτυξιακές πολιτικές

Οικονομικά κίνητρα

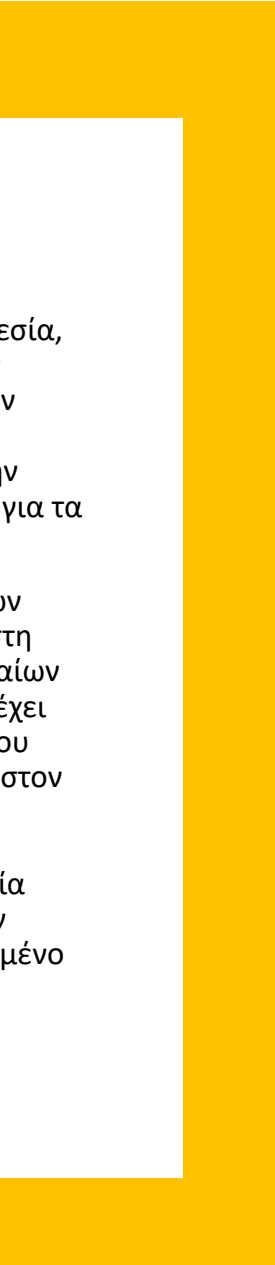
- Μείωση των τελών και εμπορική αποκλειστικότητα στην αγορά
- Οικονομική Βιωσιμότητα

Στήριξη στην Έρευνα

- Συμβουλευτικός ρόλος της COMP (Committee for Orphan Medicinal Products), στην πολιτική για τα ορφανά φάρμακα.
- «Αποθετήριο» γνώσης και αναγνώρισης στόχου – Δημόσιοι φορείς ρύθμισης



Ρυθμιστικό πλαίσιο – Ορφανά Φάρμακα

- Ένα σημαντικό κίνητρο που προσφέρεται, από τη νομοθεσία, είναι η δυνατότητα για τους «κατασκευαστές» ορφανών φαρμάκων, να απολαμβάνουν μειώσεις των ρυθμιστικών τελών που καταβάλλονται στον οργανισμό. Μια ειδική συνεισφορά χορηγείται ετησίως στον οργανισμό, από την Ευρωπαϊκή Ένωση (Ε.Ε.), που αφορά τις μειώσεις τελών για τα ορφανά φαρμακευτικά προϊόντα.
 - Η πολιτική του EMA, σχετικά με το επίπεδο των μειώσεων τελών, αντικατοπτρίζει την προτεραιότητα που δίδεται στη «συνδρομή πρωτοκόλλου» και τη στήριξη των μικρομεσαίων επιχειρήσεων (SMEs). Η «συνδρομή πρωτοκόλλου» παρέχει στους «κατασκευαστές» τις επιστημονικές συμβουλές που απαιτούνται για την υπέρβαση των τεχνικών δυσκολιών στον σχεδιασμό και τη διεξαγωγή των μελετών που είναι απαραίτητες για την τεκμηρίωση της ποιότητας, της ασφάλειας και της αποτελεσματικότητας – μια διαδικασία που αυξάνει τις πιθανότητες επιτυχίας και στοχεύει στην επιτάχυνση της πρόσβασης των ασθενών σε ένα εγκεκριμένο προϊόν
- 

Ρυθμιστικά και οικονομικά πλεονεκτήματα

Οι εταιρείες που αναπτύσσουν "ορφανά" φάρμακα απολαμβάνουν σημαντικά οφέλη, συμπεριλαμβανομένης μιας διαδικασίας ταχείας άδειας κυκλοφορίας (MA), έναν συχνά περιορισμένο φάκελο έγκρισης του προϊόντος (άδεια υπό όρους, κυρίως βιβλιογραφικά δεδομένα) και ένα 10-ετή μονοπώλιο αγοράς.

Τα "ορφανά" φάρμακα προσφέρουν στις εταιρείες που τα παράγουν και οικονομικά κίνητρα. Οι κλινικές δοκιμές είναι μικρές και ως εκ τούτου γενικά λιγότερο δαπανηρές. Πολύ υψηλές τιμές μπορούν να απαιτηθούν επειδή δεν υπάρχει θεραπευτική εναλλακτική λύση και ο πληθυσμός των ασθενών είναι μικρός, περιορίζοντας σημαντικά τη διαπραγματευτική ισχύ των ασφαλιστικών ταμείων ή των «αποζημιωτικών» οργανισμών του κράτους. Τέλος πρέπει να σημειώσουν ότι τα έξοδα μάρκετινγκ είναι σημαντικά χαμηλότερα, αφού μόνο μια «χούφτα» ειδικών είναι πιθανό να μπορεί να συνταγογραφήσει το φάρμακο.

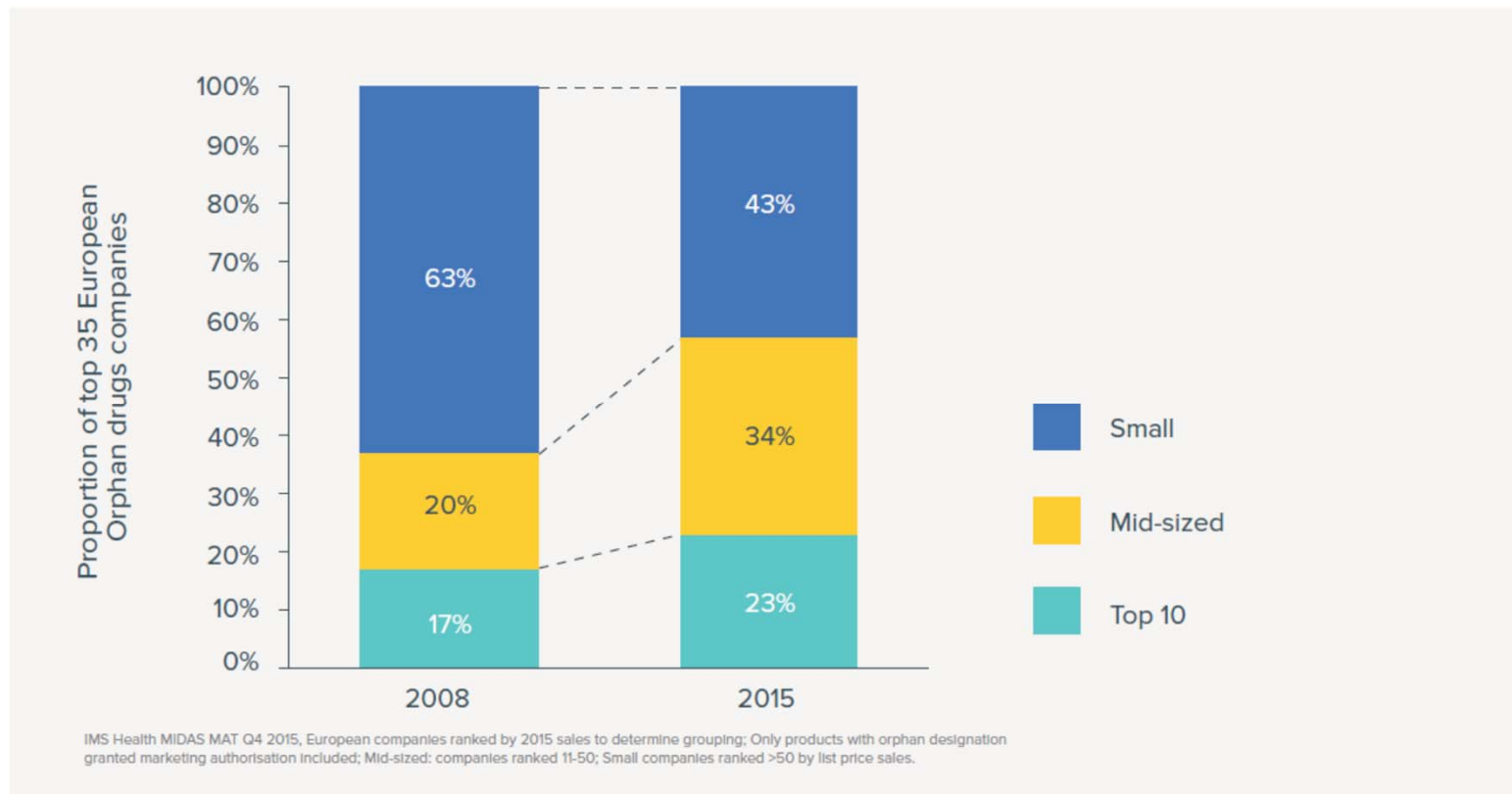
Πολιτική για τη μείωση των τελών των ορφανών φαρμάκων 2017

Type of application	% reduction to the total applicable fee	
	Non-SME applicant	SME applicant
Protocol assistance (non-paediatric-related ²)	75%	100%
Protocol assistance (paediatric-related ³)	100%	100%
Inspection (pre-authorisation)	100%	100%
Application for a marketing authorisation	10%	100%
Post-authorisation activities, including annual fees, during the first year after marketing authorisation	0%	100%

Επισκόπηση της μείωσης τελών ανά τύπο διαδικασίας το 2017

Procedure/Type of Application	No. of transactions 2017	Fee reductions 2017	
		Euro	% of total
Protocol Assistance (including follow-up)	164	8,395,750	63.3%
Initial Marketing Authorisation	26	3,051,520	23.0%
Inspections	63	1,275,900	9.6%
Type IA / IB Variations	7	41,200	0.3%
Type II Variations	4	294,600	2.2%
Transfer	1	7,100	0.1%
Annual fees	2	202,400	1.5%
Total	267	13,268,470.00	100.0%

Ανάπτυξη ορφανών φαρμάκων ανά τύπο εταιρείας στην Ευρώπη



Οι
Σημαντικότερες
Προκλήσεις
στην
Αντιμετώπιση
των Σπανίων
Παθήσεων

- Η πρόσβαση στα ορφανά φάρμακα ποικίλλει σημαντικά σε ολόκληρη στην Ε.Ε. Οι διαφορές που υπάρχουν στις εθνικές διαδικασίες, όσον αφορά την πρόσβαση στην αγορά και την αποζημίωση των φαρμάκων αυτών από τα ασφαλιστικά ταμεία των χωρών, αποτελούν σημαντικό παράγοντα στον καθορισμό της έκτασης του προβλήματος της πρόσβασης των ασθενών στα ορφανά φάρμακα.



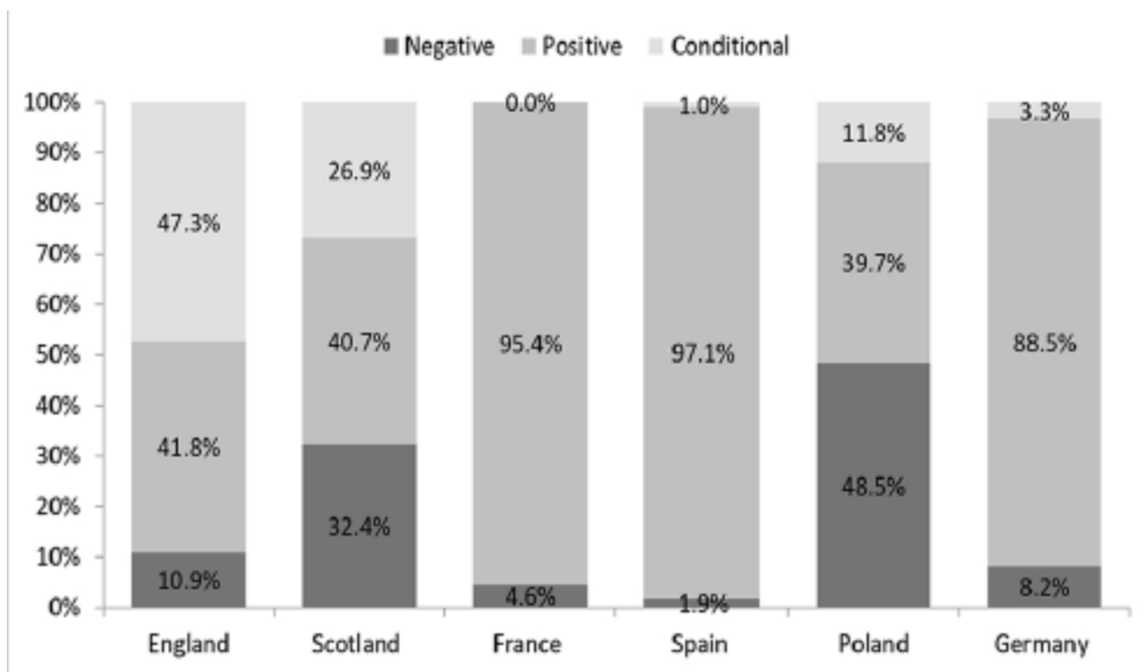
Access to orphan drugs in Europe

Country	Early access	Access	Comments
Sources: EMEA, London. Abbreviations : •UC : Compassionate Use •NP : Nominative Base of Patients •TUA : Temporary Use Authorisation			
GERMANY	No	Easy	Nothing particular
AUSTRIA	UC/NP	Slow	Nothing particular
BELGIUM	UC/NP	Slow ++	Nothing particular
DENMARK	UC/NP	Complex	Nothing particular
FINLAND	UC/NP	Complex	Nothing particular
FRANCE	TUA	Rapid	Coordination at OMS level
SPAIN	UC/NP	Classic	Nothing particular
GREECE	UC/NP	Classic	Nothing particular
IRELAND	UC/NP	Classic	Nothing particular
ITALY	TUA	Classic	Nothing particular
LUXEMBOURG	UC/NP	Classic	Nothing particular
THE NETHERLANDS	UC/NP	Classic	Improvement to be discussed
PORTUGAL	Depends on the case	Depends on the case	Special funds awarded
THE UNITED KINGDOM	UC/NP	Slow	Considered as expensive
SWEDEN	UC/NP	Easy	Nothing particular

Οι Σημαντικότερες Προκλήσεις στην Αντιμετώπιση των Σπανίων Παθήσεων

- Λόγω των διαφορών στη νομοθεσία, η ταχύτητα πρόσβασης σε ορφανά φάρμακα δεν είναι η ίδια στις 15 ευρωπαϊκές χώρες, όπως μπορούμε να δούμε στον διπλανό πίνακα

Οι Σημαντικότερες Προκλήσεις στην Αντιμετώπιση των Σπανίων Παθήσεων



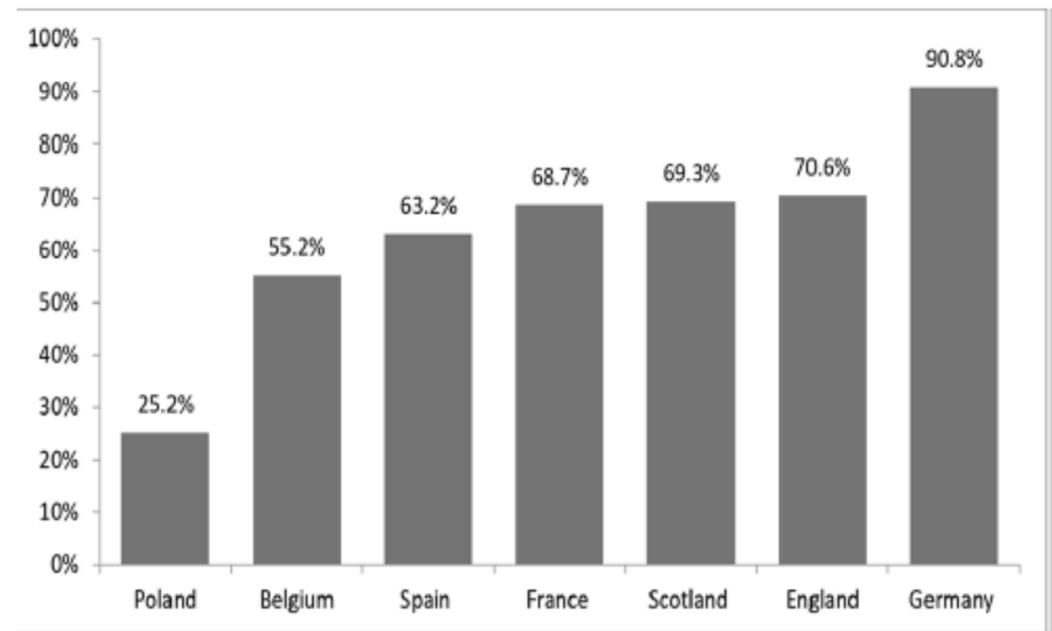
- Στον διπλανό πίνακα, βλέπουμε το ποσοστό θετικών, αρνητικών και υπό όρους, εγκρίσεων αποζημίωσης για ορφανά φάρμακα (όλα) σε χώρες της Ε.Ε.¹.

¹ "Reimbursement Status and Recommendations Related to Orphan Drugs in European Countries" - 2019

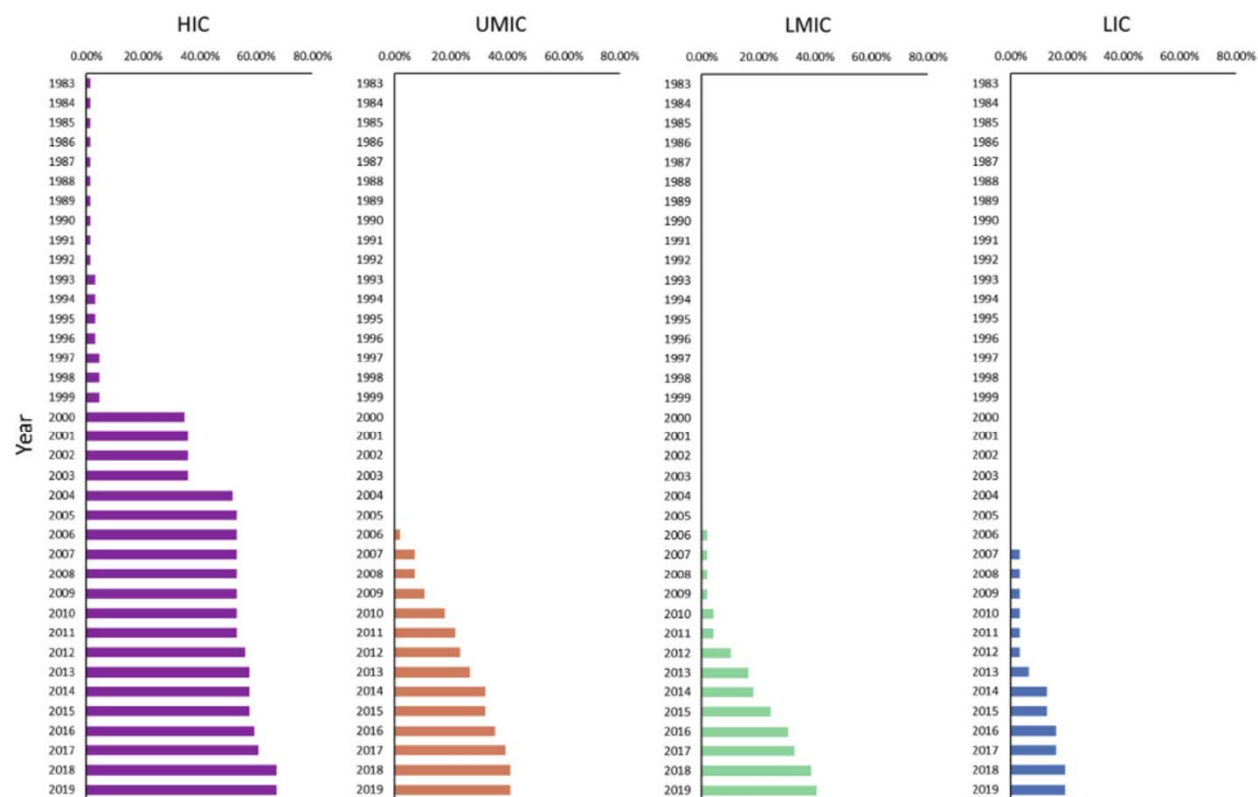
Οι Σημαντικότερες Προκλήσεις στην Αντιμετώπιση των Σπανίων Παθήσεων

- Ποσοστό των αποζημιούμενων ορφανών φαρμάκων στις 5 χώρες της Ε.Ε.¹.

¹ "Reimbursement Status and Recommendations Related to Orphan Drugs in European Countries"- 2019

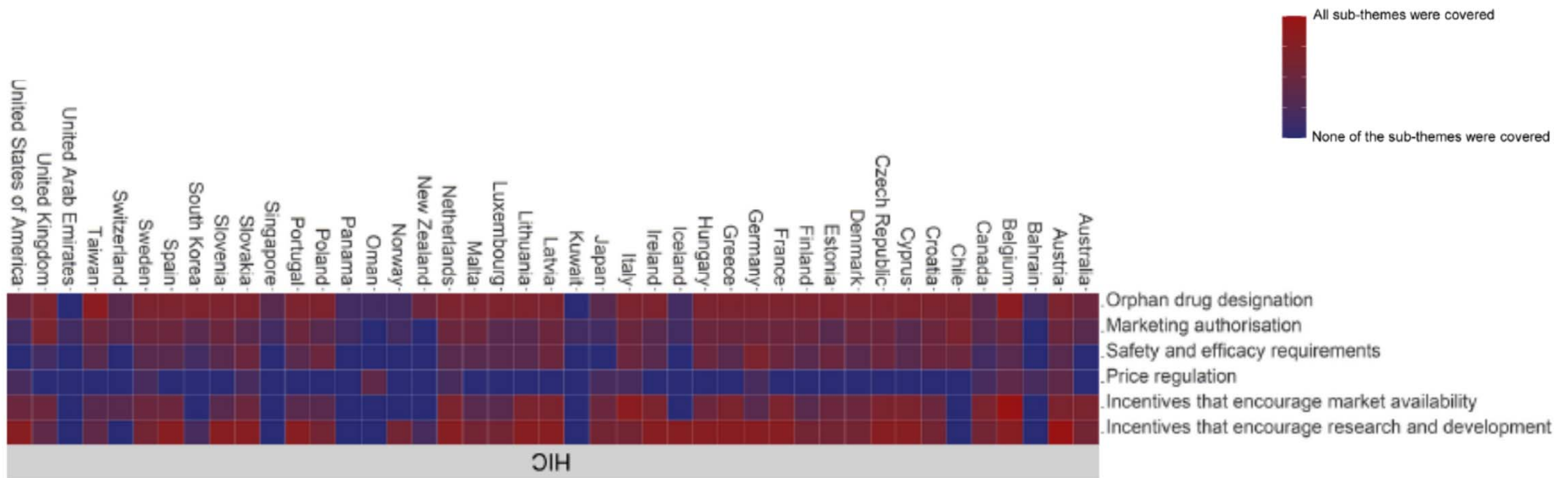


Συνολικό ποσοστό
χωρών με
καθιερωμένη
πολιτική ορφανών
φαρμάκων,
ανάλογα με το
εισόδημα.



HIC indicates high-income countries; LIC, low-income countries; LMIC, lower-middle income countries; UMIC, upper-middle-income countries.

Πεδίο πολιτικής για τα ορφανά φάρμακα



Πηγή: Access and Unmet Needs of Orphan Drugs in 194 Countries and 6 Areas

Πολιτικές για τα ορφανά φάρμακα

- Ωστόσο, εντοπίστηκαν ανισότητες, που σχετίζονται από διαφορές στη γεωγραφική κατανομή και τα επίπεδα εισοδήματος και επηρεάζουν τον καθορισμό των ODP. Επιπλέον, εντοπίστηκαν κενά πολιτικής στη ρύθμιση των τιμών, τα κίνητρα που ενθαρρύνουν τη διαθεσιμότητα της αγοράς, αλλά και στα κίνητρα που ενθαρρύνουν την έρευνα και την ανάπτυξη, προκειμένου να υπάρξει βελτίωση της πρόσβασης σε διαθέσιμα και προσιτά ορφανά φάρμακα.

Πεδία Πολιτικής

Πεδίο

Ορισμοί

Πρόσβαση

Ικανότητα ή δυνατότητα λήψης κατάλληλης θεραπείας, εάν χρειάζεται, για την επίτευξη του καλύτερου δυνατού αποτελέσματος. Μετριέται στην βάση της φυσικής προσβασιμότητας, της οικονομικής προσιτότητας και την αποδοχή, και όχι απλά η κατάλληλη παροχή της θεραπείας.

Διαθεσιμότητα

Επάρκεια της προμήθειας για την απαιτούμενη θεραπεία ή την παρουσία πολιτικής

Αποζημίωση

Ορθολογική απόφαση σχετικά με το χρηματικό ποσό που οι «πληρωτές» είναι πρόθυμοι να πληρώσουν για να καλύψουν υπηρεσίες και φάρμακα για λογαριασμό των τελικών χρηστών

Άδεια κυκλοφορίας

Η έκδοση έγκρισης κυκλοφορίας του φαρμάκου, από την αρμόδια ρυθμιστική αρχή κάθε χώρας, για εμπορία ή δωρεάν διανομή προϊόντων μετά από εκτενή επιστημονική αξιολόγηση

Κανονισμός λειτουργίας

Πολιτική που ορίζεται από ένα θεσμικό φορέα για να ασκεί έλεγχο σύμφωνα με το ισχύον νομοθετικό πλαίσιο

Θέματα που αφορούν την
χάραξη πολιτικής

Θέματα

Προσδιορισμός των Ο.Φ. (Orphan drug designation)

Άδεια κυκλοφορίας

Απαιτήσεις ασφάλειας και αποτελεσματικότητας

Τιμολογιακή Πολιτική (Price regulation)

Κίνητρα και μέτρα που ενθαρρύνουν τη
διαθεσιμότητα των φαρμάκων στην αγορά

Κίνητρα που ενθαρρύνουν την έρευνα και την
ανάπτυξη



Όραμα

- Τα καλύτερα δυνατά αποτελέσματα υγείας και ευεξίας για τους Έλληνες που ζουν με μια σπάνια ασθένεια.





Ανάπτυξη Εθνικού πλάνου για τις σπάνιες παθήσεις

- **Βασικές Παράμετροι Στρατηγικής**

- Οι Σπάνιες Παθήσεις και οι Ασθενείς θα πρέπει να γίνουν πιο «ορατοί», στην πολιτεία και τους επαγγελματίες της υγείας.
- Χαρτογράφηση των σπάνιων παθήσεων που παρατηρούνται στην χώρα μας, από το Εθνικό Σύστημα Υγείας.
- Βελτίωση των επιδημιολογικών δεδομένων που αφορούν τις σπάνιες παθήσεις.
- Θα πρέπει να αναπτυχθεί μια επιδημιολογική πλατφόρμα για τις σπάνιες παθήσεις, στην οποία θα περιλαμβάνονται και τα μητρώα των ασθενών που πάσχουν από σπάνιες παθήσεις.
- Βελτίωση της γενικής γνώσης, αλλά και ενημέρωση των επαγγελματιών υγείας για τις σπάνιες παθήσεις
- Θα πρέπει να λάβουμε σοβαρά υπόψη μας, ότι η Πρωτοβάθμια Φροντίδα Υγείας πρέπει να έχει ένα εξέχοντα ρόλο και στην κατηγορία των σπάνιων παθήσεων, αφού αποτελεί την πρώτη επαφή του ασθενή με το σύστημα υγείας.

Ανάπτυξη Εθνικού πλάνου για τις σπάνιες παθήσεις

- **Βασικές Παράμετροι Στρατηγικής**

- Βελτίωση των ασθενών στην πρόσβαση θεραπειών για σπάνιες παθήσεις.
- Θα πρέπει να εστιάσουμε την προσοχή μας στον συντονισμό και την βελτίωση της κλινικής φροντίδας προς αυτούς τους ασθενείς, μέσω του καθορισμού εξειδικευμένων κέντρων για τις σπάνιες παθήσεις (κέντρα εμπειρογνωμοσύνης).
- Θα πρέπει να γίνεται ταχύτερα η διάγνωση της πάθησης, και αυτό προϋποθέτει την ενίσχυση και βελτίωση των διαγνωστικών μέσων που αφορούν τις σπάνιες παθήσεις και την εφαρμογή διαγνωστικών standards και συγκέντρωση της διαγνωστικής εμπειρίας.
- Εφαρμογή και παρακολούθηση της πορείας υλοποίησης του πλάνου μέσα από την χρήση KPIs.
- Δημιουργία μονίμων επιτροπών στο Υπουργείο Υγείας, σχετικά με τις σπάνιες παθήσεις.
- Οριοθέτηση και αναγνώριση των δυνατοτήτων που οι οργανώσεις ασθενών διαθέτουν, και οι οποίες μπορούν να συμβάλλουν αποφασιστικά στην αντιμετώπιση της διαχείρισης των προβλημάτων που ανακύπτουν

Βασικοί Πυλώνες Προτεραιότητας

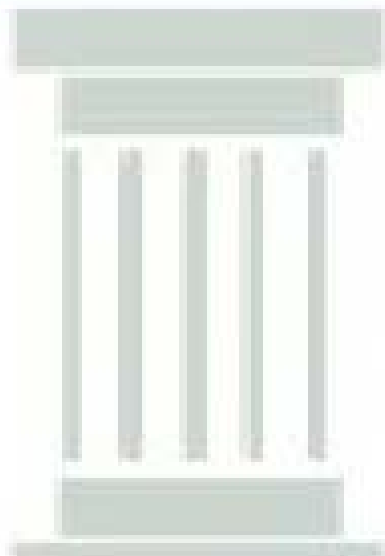
Αρχές που πρέπει να διέπουν την πολιτική

- Ανθρωποκεντρισμός – Ασθενοκεντρική πολιτική
- Ισότιμη πρόσβαση για όσους έχουν ανάγκη φροντίδας και υποστήριξης
- Βιώσιμα συστήματα και εξειδικευμένο εργατικό δυναμικό

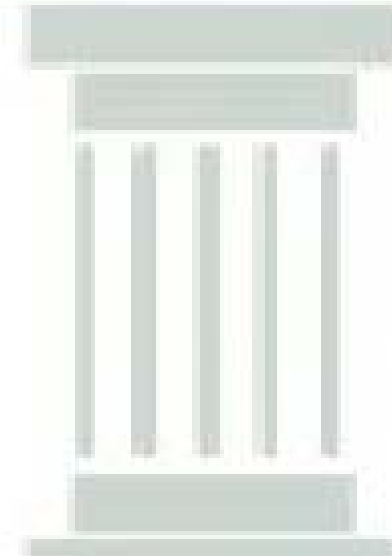
Ευαισθητοποίηση και εκπαίδευση



Φροντίδα και υποστήριξη



Έρευνα και δεδομένα



Η ανάγκη για μία εθνική Πολιτική για τις σπάνιες παθήσεις

Αναγκαία η συμμετοχή και εμπλοκή όλων των
ενδιαφερομένων

Συνεργατική διακυβέρνηση και ηγεσία

Ανάπτυξη κρατικών, εθνικών και διεθνών σχέσεων
ανάμεσα στους ενδιαφερόμενους φορείς

ολοκληρωμένη, υψηλής ποιότητας συλλογή και
αποτελεσματική χρήση δεδομένων σπάνιων
ασθενειών

1^{ος} Πυλώνας: Ευαισθητοποίηση και εκπαίδευση

- Ανάπτυξη μιας εθνικής στρατηγικής ενημέρωσης των επαγγελματιών της υγείας, όσο αφορά τις σπάνιες παθήσεις, που να ανταποκρίνεται στις τρέχουσες, αλλά και μελλοντικές απαιτήσεις και εξελίξεις, συμπεριλαμβανομένης της επίδρασης της γονιδιωματικής (genomics).
- Διασφάλιση ότι, οι Έλληνες που έχουν μια σπάνια πάθηση, θα έχουν και πρόσβαση στις διαθέσιμες θεραπείες, αλλά και σε πληροφορίες και εκπαίδευση που θα τους επιτρέπει να συμμετέχουν ενεργά στην κοινωνική και επαγγελματική ζωή.
- Μακροχρόνια εκστρατεία ενημέρωσης και ευαισθητοποίησης των πολιτών, σχετικά με τις σπάνιες παθήσεις, με εστίαση στα μέτρα πρόληψης και έγκυρης διάγνωσης.

2^{ος} Πυλώνας: υποστήριξη και φροντίδα των ασθενών με σπάνιες παθήσεις

- Διασφάλιση έγκαιρης και ακριβούς διάγνωσης των ασθενών.
- Να καταστήσουμε εφικτό να έχουν όλοι οι Έλληνες πολίτες δίκαιη πρόσβαση στην καλύτερη δυνατή και διαθέσιμη τεχνολογία υγείας.
- Να προχωρήσουμε σε όλες εκείνες τις ενέργειες που θα αυξήσουν την εμπιστοσύνη ανάμεσα στους ασθενείς, τους επαγγελματίες υγείας και την πολιτεία.
- Να ενσωματώσουμε την ψυχική υγεία και την συναισθηματική ευεξία, σαν εργαλεία φροντίδας και υποστήριξης των πολιτών με σπάνιες παθήσεις.
- Να παρέχουμε ολοκληρωμένη φροντίδα και υποστήριξη σε άτομα με σπάνιες παθήσεις, κατανοώντας τόσο την προσωπική όσο και την οικογενειακή κατάσταση αυτών των ατόμων.

3^{ος} Πυλώνας: Έρευνα και Δεδομένα

- Να προχωρήσουμε συντονισμένα στην συλλογή δεδομένων για να διευκολύνουμε την παρακολούθηση της πορείας των σπανίων παθήσεων, αυξάνοντας την γνώση μας για αυτές, την ενημέρωση σχετικά με τη διαχείριση της φροντίδας, την έρευνα και τον σχεδιασμό συστημάτων υγείας.
- Να αναπτύξουμε μια εθνική στρατηγική για την έρευνα, βάση των δυνατοτήτων μας και βάση προτεραιοτήτων, όσο αφορά τις σπάνιες παθήσεις για την προώθηση, συμβάλλοντας συστηματικά και αποφασιστικά στην αντιμετώπιση των κενών που υπάρχουν στις πολιτικές μας.
- Να προσπαθήσουμε να μεταφράσουμε τις επιστημονικές κατακτήσεις, της έρευνας και της καινοτομίας, σε κλινική φροντίδα για τους ασθενείς με σπάνιες παθήσεις.

**The more complex the
world becomes, the
more difficult it
is to complete
something without the
cooperation with others**

~ Alexander Fleming ~



www.StatusMind.com