

Το status των Ορφανών Φαρμάκων, η Ευρωπαϊκή πραγματικότητα και η Ελληνική εμπειρία

Δρ. Χρήστος Δάκας

Executive Director, Country Manager Greece, Cyprus & Malta

Novartis Gene Therapies

«Σπάνιοι» ασθενείς - παγκόσμια



ΗΠΑ

< 6,37 ανά 10.000
κατοίκους (<200.000
ασθενείς σε
πληθυσμό 314 εκ.
κατοίκων)



ΕΕ

< 5 ανά 10.000
κατοίκους (<250.000
ασθενείς σε
πληθυσμό 506 εκ.
κατοίκων) - περίπου
37 εκατ. άτομα
πάσχουν στην Ε.Ε.



Ιαπωνία

< 4 ανά 10.000
κατοίκους (<50.000
ασθενείς σε
πληθυσμό 128 εκ.
κατοίκων)

Σπάνιες Παθήσεις & Προκλήσεις

Οι Σπάνιες Παθήσεις

- Προσβάλλουν όχι περισσότερα από 5 στα 10.000 άτομα στην Ευρωπαϊκή Ένωση EU (Orphan Drug Regulation 141/2000)
- 6.000 με 8.000 οι σπάνιες καταγεγραμμένες παθήσεις
- Συχνά χρόνιες, εκφυλιστικές, θανατηφόρες και σε μεγάλο ποσοστό > 40% αφορούν σε παιδιά

Προκλήσεις

- Ανεπάρκεια εξειδίκευσης στις σπάνιες παθήσεις, οδηγεί σε:
- Αδυναμία διάγνωσης ή «εσφαλμένη» διάγνωση ή καθυστέρηση. Το 25% των ασθενών διαγιγνώσκονται από 5-30 χρόνια από την έναρξη των συμπτωμάτων.
- Λήψη «λανθασμένης» και «επιβλαβούς» φαρμακευτικής αγωγής. Το 40% των ασθενών αρχικά έχουν λάβει «λανθασμένη» διάγνωση.
- Σωματικές ή ψυχολογικές βλάβες.

Ορφανά Φάρμακα & Προκλήσεις



Ορισμός

- Φάρμακα για τη θεραπεία των σπανίων παθήσεων
- «Ορφανά Φάρμακα»
- Καινοτομία
- Αφορούν μικρό αριθμό ασθενών ανά ένδειξη
- Κλινικά προγράμματα πολύ υψηλού ρίσκου
- Υπό συνήθεις συνθήκες αγοράς, δεν υπάρχει ενδιαφέρον για ανάπτυξη και κυκλοφορία αυτών των φαρμάκων
- Μοναδικό Brand Name

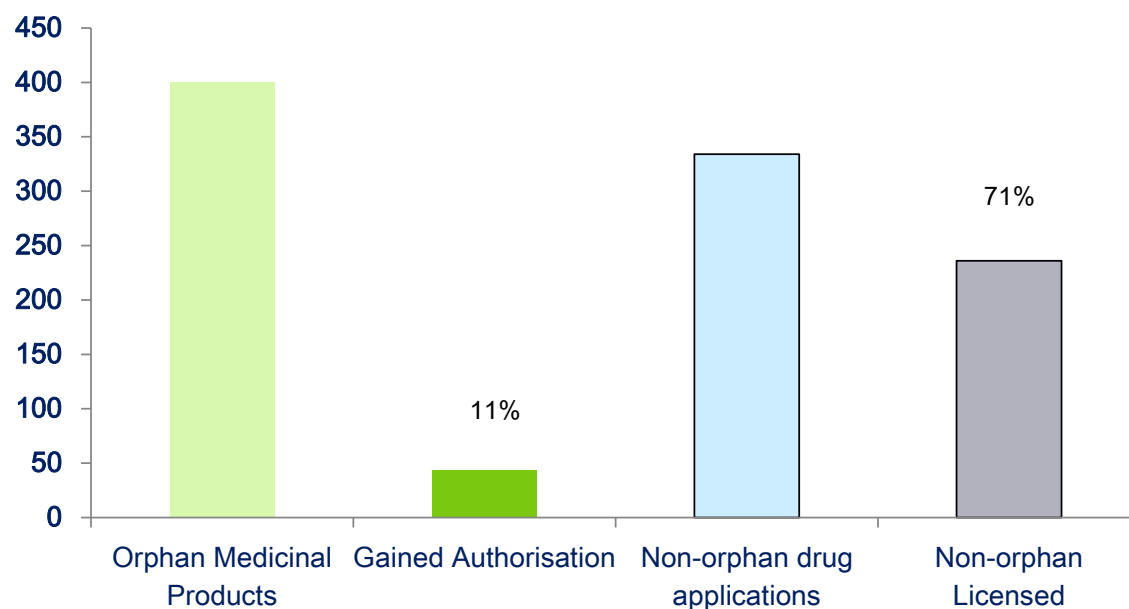
Ορφανά Φάρμακα & Προκλήσεις



Προκλήσεις

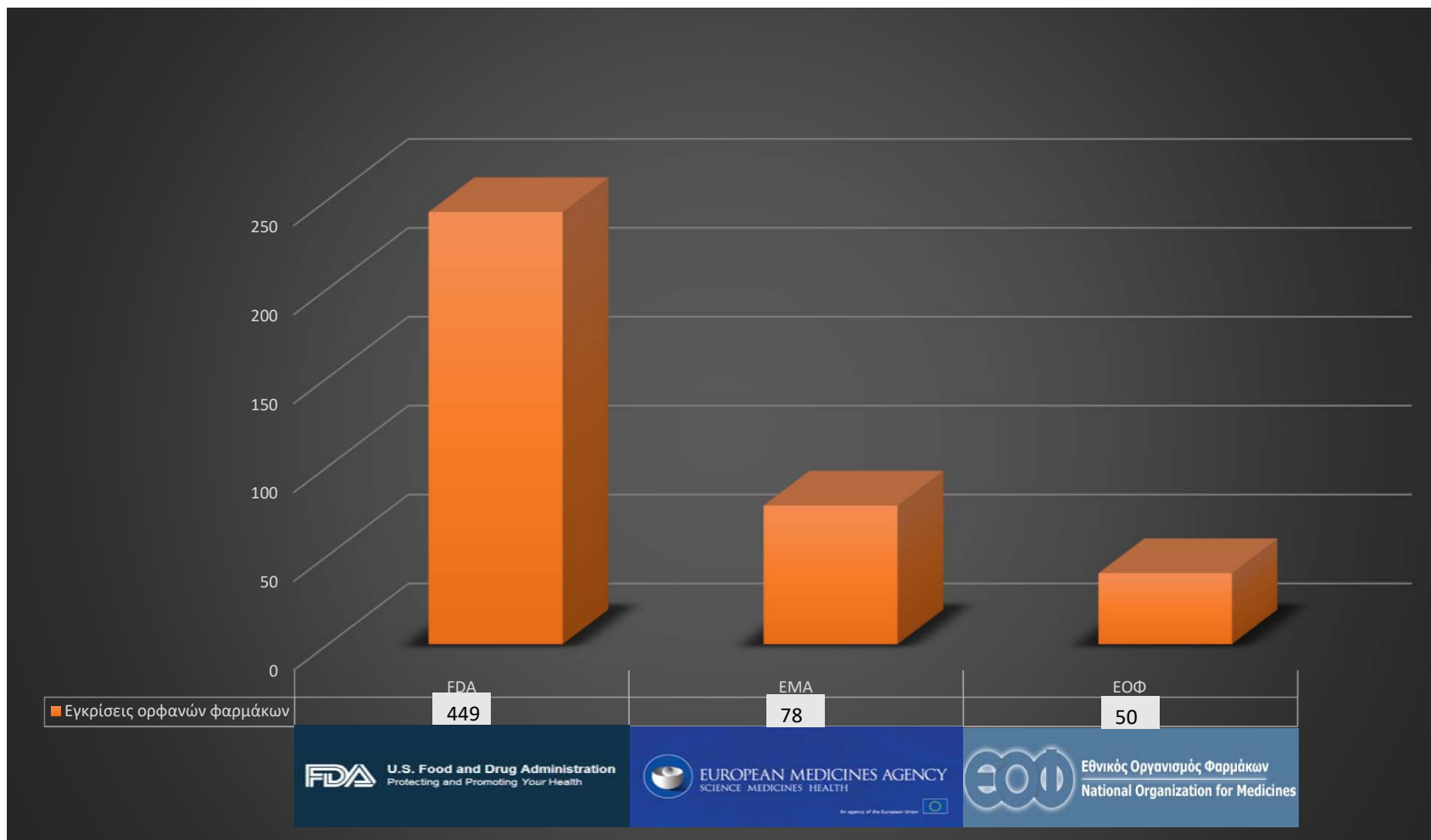
- Λίγοι Ασθενείς με μεγάλη γεωγραφική διασπορά
- Περιορισμένη εμπειρία
- Η ποιότητα των κλινικών δεδομένων δεν διαφοροποιείται από εκείνη των μη-ορφανών φαρμάκων: θετικό όφελος/ ρίσκο
- Η ανακάλυψη και η ανάπτυξη δεν αρκούν. Σημαντική είναι η πρόσβαση σε αυτή τη θεραπεία
- Η «εκπαίδευση» της ιατρικής κοινότητας αναφορικά με τη σωστή διάγνωση, τις τεχνικές και αλγορίθμους θεραπευτικούς ή διαγνωστικούς
- Η βιωσιμότητα των ορφανών φαρμάκων

Τα ορφανά φάρμακα, έχουν υψηλό ρίσκο επένδυσης



Ο «βαθμός επιτυχίας» από την Έρευνα στην Κυκλοφορία, είναι πολύ μικρός για τα Ορφανά Φάρμακα.

Ορφανά Φάρμακα - παγκόσμια



Ορφανά Φάρμακα - Ελλάδα

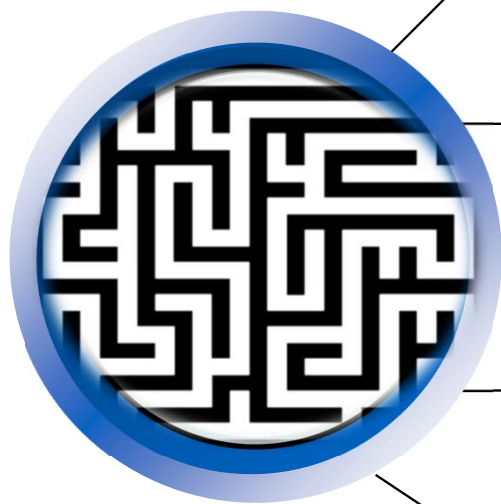


- **50** ορφανά φάρμακα κυκλοφορούν και αποζημιώνονται εξολοκλήρου από τα ασφαλιστικά ταμεία.

Διανέμονται από:

- δημόσια νοσοκομεία
 - νοσοκομειακά φαρμακεία
 - ιδιωτικά φαρμακεία
- **21** διανέμονται μέσω ΙΦΕΤ (διαδικασία έκτακτης εισαγωγής)

Τιμολογιακή Πολιτική ένας γραφειοκρατικός λαβύρινθος



3% είναι η φαρμακευτική δαπάνη για ορφανά φάρμακα επί του συνόλου της (2 δισ. ευρώ)

Νοσοκομειακές τιμές του εξωτερικού => ex factory τιμές στην Ελλάδα

Ανατιμολόγηση ορφανών φαρμάκων: με το σύνολο των φαρμάκων χωρίς καμία εξαίρεση.

Καθυστέρηση τιμολόγησης & υπαγωγής στη θετική λίστα- γενική η ερμηνεία για την έγκριση των ορφανών φαρμάκων στη θετική λίστα

Παράδειγμα VPRIV: Μάϊος 2011 η κατάθεση για τιμή-> Μάϊος 2014 η επίσημη κυκλοφορία στην Ελλάδα (έχει λάβει έγκριση από τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων με επιταχυνόμενη διαδικασία από το 2010) ??????

Πρόσβαση στη θεραπεία: *ένας (ακόμη) γραφειοκρατικός λαβύρινθος*

Συνεχείς περικοπές στη φαρμακευτική δαπάνη και στη νοσοκομειακή φαρμακευτική δαπάνη

Συμμετοχή των ασθενών στη δαπάνη

Χρονοβόρες διαδικασίες έγκρισης τιμής και ένταξης σε θετική λίστα

Αδυναμία πρώιμης πρόσβασης σε θεραπείες

Χρονοβόρες διαδικασίες και εγκρίσεις κλινικών μελετών

Απουσία βάσης δεδομένων (registries) για σπάνιες παθήσεις στην Ελλάδα



Standard health technology assessment criteria are not designed for rare diseases

Clinical trials lack large data sets

Typical clinical trial patient numbers for common and rare diseases^{1,2}



Diabetes =
4,000



Short Bowel Syndrome = **43**

Rare disease clinical trials make assessment challenging



Often lack diagnostic tests and have smaller numbers of patients to participate in trials^{3,4}



Frequent absence of large scale data-sets to demonstrate treatment value⁴



Difficulties in conducting double-blind studies due to size³

As a result, assessment processes for rare disease medicines lead to substantial delays or failure to gain access⁵

1. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5047004/>

2. Jeppesen PD. *Gastroenterology*. 2012 Dec;143(6):1473-1481.e3. doi: 10.1053/j.gastro.2012.09.007. Epub 2012 Sep 11

3. Cornu C, et al (2013). Experimental designs for small randomised clinical trials: an algorithm for choice. *Orphanet J Rare Dis*. 8: 48

4. Augustine EF et al (2013). Clinical Trials in Rare Diseases: Challenges and Opportunities. *J Child Neurol*. 28(9): 1142-1150

5. ISPOR 8-8 Challenges in Assessing Appraising Rare Disease Diagnostics Treatments - DRAFT for REVIEW

Πρόσβαση στη θεραπεία

Ο σπουδαίος ρόλος του ΙΦΕΤ

- Εισαγωγές ορφανών φαρμάκων (μοντέλο «έκτακτης εισαγωγής»)
- Σημαντική συμβολή στην αρχική διαχείριση της πρόσβασης στη θεραπεία
- Συγκεκριμένος αριθμός ασθενών, έστω και με χρονοκαθυστερήσεις λαμβάνουν το φάρμακο



ΟΜΩΣ...

- Δεν μπορεί :
- Να υποκαταστήσει το έργο και τις υποχρεώσεις μιας φαρμακευτικής εταιρείας
- Να διασφαλίσει την επάρκεια της Ελληνικής αγοράς σε «ορφανά» φάρμακα
- Να προσφέρει καθολική, εύκολη και χωρίς διακρίσεις πρόσβαση όλων των ασθενών στα «ορφανά φάρμακα»

Πρόσβαση στη θεραπεία

Ο καθοριστικός ρόλος του ιατρού



Ο μη ενημερωμένος ιατρός:

- Αντιμετωπίζει δυσκολία / καθυστέρηση στη διάγνωση λόγω απουσίας πλαισίου επιμόρφωσης για τις σπάνιες ασθένειες (μπορεί να μην συναντήσει ποτέ στην καριέρα του ασθενή με σπάνια πάθηση)

Ο ενημερωμένος ιατρός:

- Γραφειοκρατικές αγκυλώσεις. Έχει τον χρόνο να τις αντιμετωπίσει?
- Ενημέρωση των ασθενών και φροντιστών τους για το νόσημά τους και πληροφόρησή τους για τις διαθέσιμες θεραπευτικές προσεγγίσεις

Η πρόσβαση των ασθενών με σπάνιες ασθένειες θα πρέπει να είναι εύκολη γιατί...



Ο αριθμός των ασθενών με σπάνια νοσήματα είναι μικρός



Ο αριθμός των υπό αγωγή ασθενών με σπάνια νοσήματα είναι προβλέψιμος



Επιβάλλεται να αποτελεί εθνική προτεραιότητα η παροχή φροντίδας στις πιο ευπαθείς ομάδες



Η αποτελεσματική θεραπευτική προσέγγιση των ασθενών με σπάνια νοσήματα εξοικονομεί πόρους

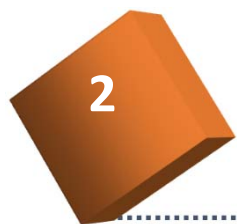


Υπάρχουν αποτελεσματικοί τρόποι εξισορρόπησης της φαρμακευτικής δαπάνης για ορφανά φάρμακα

Ανοίγοντας το δρόμο στην πρόσβαση 3 άξονες



Βελτίωση των παρεχόμενων υπηρεσιών υγείας προς τους ασθενείς με Σπάνια Νοσήματα

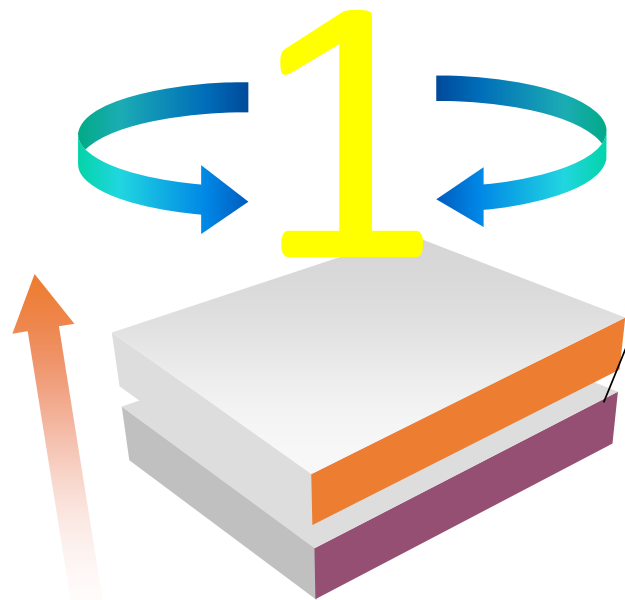


Εξορθολογισμός της φαρμακευτικής δαπάνης για Σπάνια Νοσήματα



Ενίσχυση της έρευνας και αξιοποίηση των αποτελεσμάτων της στη θεραπεία

1. Βελτίωση των παρεχόμενων υπηρεσιών υγείας προς τους ασθενείς με Σπάνια Νοσήματα



Ενημέρωση των ιατρών και των ασθενών και φροντιστών τους για το νόσημά τους και πληροφόρησή τους για τις διαθέσιμες θεραπευτικές προσεγγίσεις

Διευκόλυνση της πρόσβασής τους στη θεραπεία

Αύξηση της διάγνωσης

Προτεινόμενα μέτρα

Σαφής Διαχωρισμός των «Ορφανών Φαρμάκων» στον δικτυακό τόπο του ΕΟΦ και ειδική σήμανση για αυτά που έχουν άδεια κυκλοφορίας στην Ελλάδα - Αρμόδιος Φορέας: ΕΟΦ

Αξιοποίηση της βάσης δεδομένων του Orphanet για τις πρακτικές κατευθύνσεις που αφορούν Κέντρα Αναφοράς, Εργαστήρια Γενετικού Ελέγχου, Κατάλογο Σπανίων Παθήσεων κλπ - Αρμόδιος Φορέας: Υπουργείο Υγείας

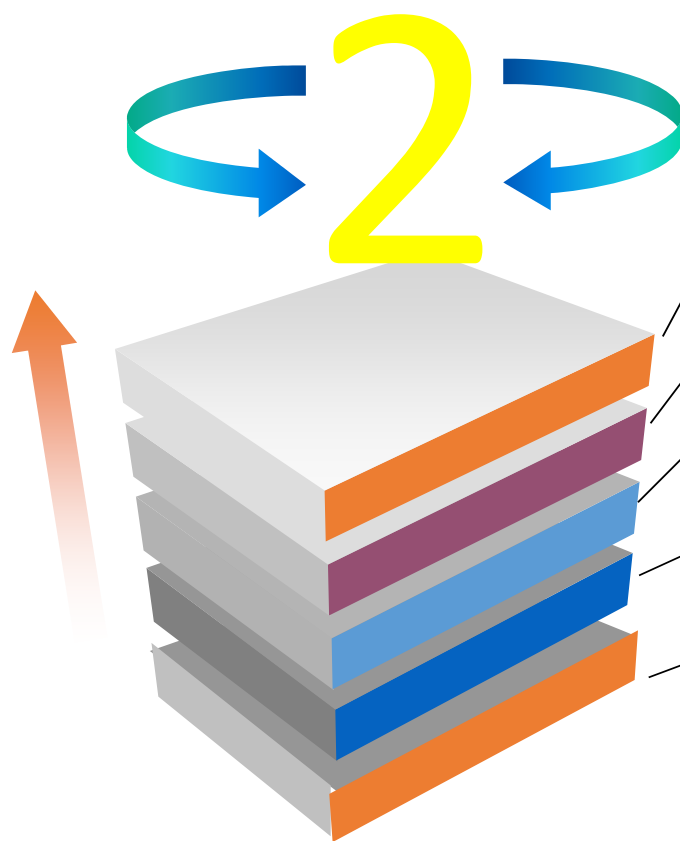
Εξασφάλιση της άμεσης πρόσβασης των ασθενών μέσω της επίσπευσης των διαδικασιών που απαιτούνται για την έκδοση τιμής και υπαγωγής στη θετική λίστα - Αρμόδιος Φορέας :ΕΟΦ

Διασφάλιση της δια βίου μηδενικής συμμετοχής για τους ασθενείς με σπάνια νοσήματα, μέσω άμεσης ένταξης στον Κατάλογο φαρμάκων του Νόμου 3816 - Αρμόδιος Φορέας : ΕΟΦ

Εξαίρεση των ορφανών φαρμάκων από τα όρια συνταγογράφησης των γιατρών που συνταγογραφούν για τον ΕΟΠΥΥ - Αρμόδιοι Φορείς: ΕΟΠΥΥ, ΗΔΙΚΑ

Η διασφάλιση της εύκολης πρόσβασης και ασφαλούς διακίνησης με βάση τις κατευθυντήριες γραμμές σχετικά με την ορθή πρακτική διανομής φαρμάκων για ανθρώπινη χρήση (2013/C 68/01)

2. Εξορθολογισμός της φαρμακευτικής δαπάνης για Σπάνια Νοσήματα



Ο αριθμός των ασθενών με σπάνια νοσήματα είναι μικρός

Ο αριθμός των υπό αγωγή ασθενών με σπάνια νοσήματα είναι προβλέψιμος

Αποτελεί εθνική προτεραιότητα η παροχή φροντίδας στις πιο ευπαθείς ομάδες

Η αποτελεσματική θεραπευτική προσέγγιση των ασθενών με σπάνια νοσήματα εξοικονομεί πόρους στο σύστημα υγείας

Υπάρχουν αποτελεσματικοί τρόποι εξισορρόπησης της φαρμακευτικής δαπάνης για ορφανά φάρμακα

Προτεινόμενα μέτρα

Προώθηση των απαραίτητων ενεργειών για τη δημιουργία registries για τα σπάνια νοσήματα – Σύνδεσή του με Ηλεκτρονική Συνταγογράφηση

Προαγωγή της εκπαίδευσης των εμπλεκόμενων ιατρικών ειδικοτήτων και ενίσχυση της μεταξύ τους συνεργασίας – Δημιουργία Centers of Excellence

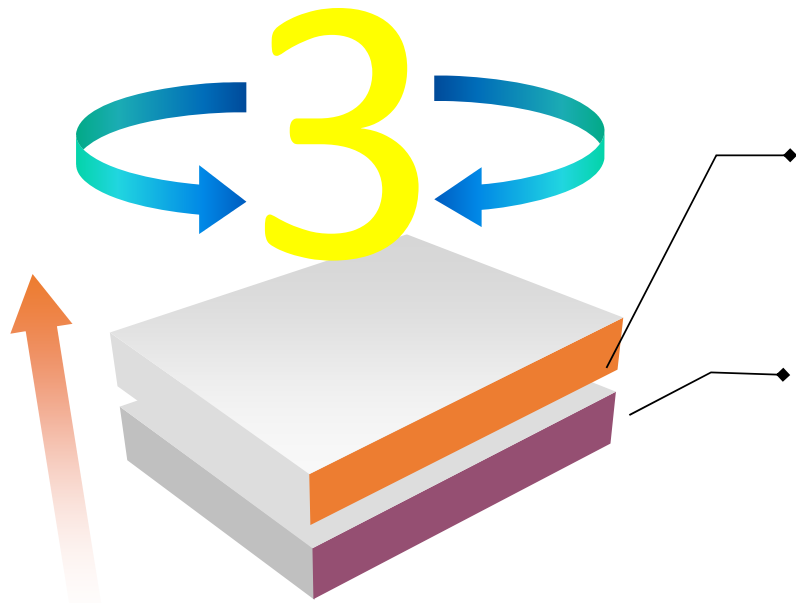
Δυνατότητα πρώιμης πρόσβασης σε ασθενείς χωρίς εναλλακτικές θεραπείες

Αλλαγή μεθόδου καθορισμού τιμής ορφανών φαρμάκων για τη διασφάλιση της επάρκειάς τους στην Ελληνική αγορά

Αναζήτηση Ευρωπαϊκών προγραμμάτων στήριξης για Έρευνα και Διευκόλυνση στη Πρόσβαση (π.χ. HORIZON 2020)

Αρμόδιοι φορείς: ΕΟΦ, ΕΟΠΥΥ, ΗΔΙΚΑ, ΔΥΠε

3. Ενίσχυση της έρευνας και αξιοποίηση των αποτελεσμάτων της στη θεραπεία



Εξασφάλιση της συνέχειας στην εφαρμογή μιας αποτελεσματικής στρατηγικής για την αντιμετώπιση των σπανίων νοσημάτων και την κάλυψη των αναγκών των ασθενών

Απόκτηση άμεσων στοιχείων για την αποτελεσματικότητα των ορφανών φαρμάκων που θα οδηγήσει σε μείωση της επιβάρυνσης της φαρμακευτικής δαπάνης

Προτεινόμενα μέτρα

Επιτάχυνση των διαδικασιών εγκρίσεων Κλινικών Μελετών Φάσης IIb και III, που αφορούν σε σπάνια πάθηση και φάρμακο με χαρακτηρισμό «ορφανό»

Αυστηρότητα στην εφαρμογή των ειδικών όρων και υποχρεώσεων της Άδειας Κυκλοφορίας που βαρύνουν τον ΚΑΚ

Εθνικό πλαίσιο κινήτρων για την κυκλοφορία «Ορφανών Φαρμάκων»

Αρμόδιοι φορείς: ΕΟΦ, Υπουργείο Υγείας, Υπουργείο Εργασίας,
Υπουργείο Ανάπτυξης

Συμπεράσματα

Η άμεση και έγκαιρη πρόσβαση των ασθενών στη θεραπεία με ορφανά φάρμακα, συνιστά προτεραιότητα στην Ευρώπη από το 2000.

Η Ευρωπαϊκή Πολιτική για τα ορφανά φάρμακα, είναι ένα επιτυχημένο έργο

- *8 ΟΦ πριν την Ευρωπαϊκή νομοθεσία, σήμερα 140*
- *Θετική οικονομική επίπτωση στην Ευρώπη*

Υπάρχουν και περισσότερες ανάγκες

- *Αρκετοί ασθενείς ακόμη χωρίς θεραπεία*
- *Η επιτάχυνση της πρόσβασης στις διαθέσιμες θεραπείες*

- *Η θέσπιση, ενίσχυση και εφαρμογή των Εθνικών Πλαισίων Κινήτρων της Κυκλοφορίας των Ορφανών Φαρμάκων παραμένει προτεραιότητα για τα Κράτη-Μέλη της Ε.Ε.*

Προτάσεις

Επάρκεια της Ελληνικής αγοράς σε «ορφανά φάρμακα»

Καθολική, εύκολη και χωρίς διακρίσεις πρόσβαση των Ελλήνων ασθενών στις θεραπείες με ορφανά φάρμακα.

Ανάπτυξη ενός κράτους Πρόνοιας και Προστασίας της Δημόσιας Υγείας, με τη φροντίδα και μέριμνα των «ευαίσθητων ομάδων ασθενών», όπως είναι οι ασθενείς που πάσχουν από σπάνιες παθήσεις.

Χωρίς επιπλέον οικονομική επιβάρυνση για τους φορείς Κοινωνικής Ασφάλισης και κατ' επέκταση του κρατικού προϋπολογισμού αλλά με περαιτέρω όφελος για τους Φορείς Κοινωνικής Ασφάλισης.

Ενθάρρυνση της βιοτεχνολογικής φαρμακοβιομηχανίας για διάθεση όλων των ορφανών φαρμάκων και στην Ελλάδα, επιβραβεύοντας την καινοτομία.

Ανάπτυξη πλαισίου κινήτρων για την έλευση νέων εταιρειών, κατόχων της άδειας κυκλοφορίας καινοτόμων ορφανών φαρμάκων, συμβάλλοντας στην ανάπτυξη της οικονομίας της χώρας μας.

Εναρμόνιση και του «Ελληνικού» περιβάλλοντος με τις επιταγές των Ευρωπαϊκών Κανονισμών για τα ορφανά φάρμακα και την άμεση πρόσβαση των ασθενών σε αυτά.

Ευχαριστώ!

Ερωτήσεις

