

EUCERD Joint Action / Work Package 4 EUROTERV Nemzeti Konferencia

5. tématerület ÁRVA GYÓGYSZEREK ÉS TERÁPIÁS KÉSZÍTMÉNYEK RITKA BETEGEKNEK

Releváns kivonat a

TANÁCS AJÁNLÁSÁBÓL

A ritka betegségekkel kapcsolatos teendőkről

(2009/C 151/02)

2013.10.25

A TANÁCS AJÁNLÁSA (részlet)

(Az Unió Tanácsa) “EZENNEL AJÁNLJA a tagországok számára:

V. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS TAPASZTALATOK GYŰJTÉSÉT EURÓPAI SZINTEN

Gyűjtsék össze a ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti tapasztalatokat, és támogassák ezzel az európai szintű összegzést, hogy elősegítsék:

- (e) az árva gyógyszerek gyógyászati- vagy klinikai szintű hozzáadott értékéről készült tagországi értékelő jelentést, hogy az összegyűjtött releváns tudás és tapasztalat segítségével minimalizálják a ritka betegek árva gyógyszerekhez való hozzáféréseinek késedelmét.”

EUCERD AJÁNLÁSOK A RITKA BETEGSÉGEK NEMZETI TERVÉNEK / STRATÉGIÁJÁNAK FŐ INDIKÁTORAIRA

EUCERD fő indikátorok ajánlásának teljes szövege:

http://www.eucerd.eu/wp-content/uploads/2013/06/EUCERD_Recommendations_Indicators_adopted.pdf

Fő indikátorok

N°15. Az EU-ban engedélyezett és a tagországokban elérhető árva gyógyszerek száma (pl. befogadott, OEP által finanszírozott)

A tagországban elérhető és az EU-ban elérhető árva gyógyszerek számának összevetése

N°16. Az engedélyezés előtti gyógyszeralkalmazásra vonatkozó létező nemzeti eljárásról

Van-e olyan nemzeti eljárás, amely az árva gyógyszer betegek számára való biztosítását előbbre tartja az forgalmazási engedélyezésnél?

A VITA IRÁNYELVEI

5. tématerület

ÁRVA GYÓGYSZEREK ÉS TERÁPIÁS KÉSZÍTMÉNYEK RITKA BETEGEKNEK

Néhány adat az árva gyógyszerekről

Árva gyógyszerek Magyarországon

- Klasszikus ártámogatás (Eü90) 6 db
- Intézményi felhasználás (tétéles) 4 db
- Egyedi méltányosság 13+8 db
- Fekvőbeteg egyedi 6 db
- Speciális fekvőbeteg 1 db

1. Az árva gyógyszerek kutatásának támogatása

- Milyen támogatásban részesülnek a kis- és közepes vállalkozások, miután a készítményük árva gyógyszernek minősült? **Nem releváns**
- Van-e olyan **speciális program, amely elősegíti a kiválasztott árva gyógyszerek továbbfejlesztését?** **Nincs, de a betegszervezetek esetenként szorgalmazzák (pl. firazyl)**
- Vitassák meg azokat a nemzeti ösztönzőket, amelyek erősítik a ritka betegségek kutatását az árva gyógyszerek fejlesztése érdekében. **Fiatalkutatók támogatása, alapítványi, pályázati forrásokból**
- Milyen mechanizmusokkal lehetne elősegíteni a Ritka Beteg Központok szakemberei által tervezett kis-populációs klinikai vizsgálatok kialakítását? **Információáramlás jaívtása, engedélyezési eljárások gördülékenyebbé tévése**

2. A kezeléshez való hozzáférés

- Hogyan javíthatjuk és gyorsíthatjuk az árva gyógyszerek engedélyezésének és befogadásának nemzeti eljárását a gyógyszerhez jutás javítása érdekében? **információ áramlás elősegíti**
- A **CAVOMP (Clinical Added Value for Orphan Medicinal Products – Az árva gyógyszerek egészségnyeresége)** értéke segít az árva gyógyszerek által eredményezett egészségnyereség tagországi megítélésében: **igen**
- Ismert az Önök országában az EUCERD által meghatározott CAVOMP eljárás? **igen**
- Kész-e az Önök országa arra, hogy támogassa a tudásmegosztást a tagországok és az uniós intézmények között a CAVOMP tudományos értékeléséről? **igen**

2. A kezeléshez való hozzáférés

A „CAVOMP információs folyamata” 4 periódust definiál, amelyek a lehető legjobb információ áramlást biztosítják, és lehetővé teszik az értékelő jelentések megosztását a tagországokkal és az uniós intézményekkel.

- Hogyan vesz majd részt az Önök országa ebben a folyamatban: ***igen, mindegyikben***
 - 1. periódus: korai párbeszéd
 - 2. periódus: Összegző jelentés és bizonyítékok meghatározása / bizonyító eljárási terv
 - 3. periódus: a bizonyító eljárás végrehajtásának követése
 - 4. periódus: relatív hatékonyság értékelése

2. A kezeléshez való hozzáférés

- Vitassák meg, hogy fontos-e olyan szakpolitika bevezetése, amely az árva gyógyszerek engedélyezését és finanszírozását időnként felülvizsgálja az értékelő jelentések alapján?
- A **GYEMSZI (HTA)** szakemberei részt vesznek-e: ***igen, jelenleg is***
- az EMA (European Medicines Agency) Protocol assistance/ scientific advice tevékenységében? ***igen***
- Az EMA és más HTA szervezetek közötti párbeszédben, különös tekintettel az EUnetHTA? ***igen***
- Milyen intézkedéseket kell tenni, hogy a fentiek biztosítva legyenek?

2. A kezeléshez való hozzáférés

- A GYEMSZI az EU Cross-Border Care Directive szerinti állandó együttműködési mechanizmust alkalmazza a technológiai értékelésben? *igen*

Milyen intézkedéssel lehet ezt elérni?

- Részt vesz-e Magyarország a “**MOCA**” (**Mechanisms for Coordinated Access to ODs**) önkéntes ad-hoc munkacsoportban, amelyet a tagállamok önkéntesség alapon hoztak létre arra, hogy megvitassák az új árva gyógyszerek számát egy közös EU transzparens érték keretében? *Folyamatban van a csatlakozási tárgyalás*

2. A kezeléshez való hozzáférés

- Milyen intézkedések támogatják az árva gyógyszerek elérhetőségét és hozzáférését a szakértői központokon keresztül? **Egyedi méltányosság**
- Különös időt szenteljenek a **nemzeti/központi árva gyógyszer kasszának** (vagy a kassa nemzeti koordinációjának)
(így pl. annak elkerülését, hogy az árva gyógyszer kasszát kórházak/szakértői központok menedzseljék mindenféle koordináció nélkül) **OEP koordinálja, szakértők állandó meghívásával, illetve a betegszervezetek is részt vesznek egy-egy megbeszélésen**
- **Árva gyógyszer információ és hozzáférés:** az érintettek informálása az árva gyógyszerekről a leghatásosabb? **Szakértői, kezelői központok a betegszervezeten keresztül terjesszék ki a tájékoztatást**
(vagyis, hogy elkerülhető legyen a hozzáférés késedelme)

3. Engedélyezés előtti használat

- Hogyan lehet erősíteni az engedélyezés előtti használat* programjait?
Információ!
- Hogyan lehet a leghatékonyabban informálni a betegeket, betegszervezeteket és egészségügyieket az árva gyógyszerek engedélyezés előtti használati lehetőségeiről? **Rendszeres és többsíkú (elektronikus hírlevél, konferencia stb.) tájékoztatás**
- Hogyan lehet létrehozni ilyen programokat, ha nem léteznek? **vannak**

*(*engedély előtti használat = célja, hogy a ritka betegségekben szenvedő betegeket egyes gyógyszerekhez már azelőtt hozzájuttassák, hogy ezeket jóváhagyták és/vagy visszatérítették volna)*

3. Engedélyezés előtti használat

- Mint a klinikai vizsgálatoknál, egy *engedélyezés előtti használati program munkacsoportot* lehet létrehozni a nemzeti gyógyszerészeti szervezet (GYEMSZI) eljárásrendje alapján, amely koordinálja az eljárást. **Vannak ilyenek**

Vitassák meg, hogy miként lehet a munkacsoportot létrehozni és csatlakozni hozzá.

- Magyarország betartja-e az EU ide vonatkozó szabályozását és a kapcsolódó EMA értesítési kötelezettséget az árva gyógyszerek engedélyezés előtti használatára vonatkozó programoknál? **be**

3. Engedélyezés előtti használat

- Hogyan lehet azokat a cégeket támogatni, amelyeknek nehézségeik vannak az engedélyezés előtti használati programjukban? ***Nem releváns és óvatosan***
- Ha a gyógyszerellátás korlátozott, van-e valamilyen irányelv a limitált mennyiség elosztására, ha az igény nagyobb, mint a lehetőség? ***Irányelv nincs, nem is volna etikus, esetleg életkor, várható életkor/túlélés***
- Hogyan lehet a betegeket (betegszervezeteket) az engedélyezés előtti használati programok létrehozásába, menedzselésébe bevonni? ***Információáramlással, beteg-orvos klubok, szakmai konferenciákon reprezentáns***

4. Gyógyszerkészítmény nem előírás szerinti használata

- Lehet-e a gyógyszert a beteggel megtéríteni, ha az általa nyújtott előny lehetősége fennáll? ***Egyedi mérlegelést igényelve, igen***
- Hogyan javítható és egyszerűsíthető a nem előírás szerű alkalmazás és a hozzá kapcsolódó térítési rendszer? ***Pontos dokumentálás, átláthatóság, elektronikus nyilvántartás, GYEMSZI-OGYI-nál kidolgozott eljárásrend van***

4. Gyógyszerkészítmény nem előírás szerinti használata

- Milyen intézkedések szükségesek ahhoz, hogy az engedélyezett indikációtól eltérő célra használt gyógyszerekkel kezelt betegkohorszokra vonatkozó **ideiglenes terápiás protokoll** jóváhagyásra kerüljön? Kérjük, mindkét esetet vitassák meg:
 - 1) A kérdéses, a nem előírás szerinti használat hatékonyságának és biztonságának részletesebb dokumentálására irányuló klinikai vizsgálat folyamatban van, és a forgalomba hozatali engedély módosítása a későbbiekben elképzelhető; **„feltételes engedélyezés”** és
 - 2) Ilyen vizsgálatok jelenleg nem folynak és nem valószínű, hogy a jövőben sor kerülne rájuk, ehhez ugyanis a betegek nem előírás szerinti használati esetszáma kicsi. **Néhány beteget érintő esetekben természetesen „protokoll” nem szükséges, illetve személyre szabott.**

4. Gyógyszerkészítmény nem előírás szerinti használata

- Hogyan dönthető el, hogy **milyen utó-engedélyezési hatékonysági és biztonsági vizsgálat** szükséges ahhoz, hogy dokumentálva legyenek a nem előírás szerinti használat tapasztalatai? **Betegség és gyógyszerfüggő**
- Van-e méretbeli küszöbérték, ahol az ilyen alkalmazások sokkal szisztematikusabbá válnak? **nincs**
- Vitassák meg a szakértői központok lehetőségeit a gyógyszerek nem előírás szerinti alkalmazása előnyeinek és kockázatainak értékelésében. **Jelentős véleményformáló erő**

4. Gyógyszerkészítmény nem előírás szerinti használata

- Milyen intézkedések ösztönzik az engedélyezett gyógyszerek nem előírás szerinti alkalmazásával kapcsolatos adatgyűjtést? **Off-label adatlap kitöltése**
- Vitassák meg a különböző érintettek bevonását a (létező) nyilvántartások optimalizálásába és adaptációjába, amelyek támogatják a nem előírás szerű alkalmazással kapcsolatos adatgyűjtést. **Betegségfüggő, adott területek szakemberei, nemzetközi regiszterekben részvétel stb.**

5. Gyógyszerbiztonság

Az EU gyógyszerbiztonsági szabályozásának való megfelelés

- **A kedvezőtlen gyógyszer reakciók „spontán” jelentései:** hogyan ösztönözzük a betegeket és egészségieket, hogy esetenként jelentsenek a nemzeti hatóságnak? **Szorosabb ellenőrzéssel, pl. kötelező továbbképzés**
- Milyen intézkedés szükséges ahhoz, hogy a kedvezőtlen gyógyszer reakciókat „hivatalból” jelentsék? **gyakoribb, szorosabb ellenőrzés, nehéz objektivan**
- Hogyan kell az ilyen jelentési rendszert kialakítani?
- Milyen intézkedések szükségesek, hogy biztosítsuk a jelentési rendszer környezetét, a nemzeti kontakt pont felállítását, a jelentés infrastruktúráját? **GYEMSZI-OGYI megfelelő osztálya**

5. Gyógyszerbiztonság

- Milyen stratégiát kell kidolgozni – bevonva a gyógyszeripart, az egyetemeket és az egészségügyi kormányzatot – hogy az adatgyűjtést kiterjesszük és a betegség-specifikus nyilvántartás részévé tegyük, kielégítve az utó-marketing vizsgálat követelményeit?
- ***A Nemzeti Tervnek gyakorlatba ültetése***
- ***Hiányoljuk az eszközöket és a diagnosztika elhelyezését***

JAVASLATOK

5. tématerület

ÁRVA GYÓGYSZEREK ÉS TERÁPIÁS KÉSZÍTMÉNYEK RITKA BETEGEKNEK