



Πανελλήνια Ένωση Σπανίων Παθήσεων
Greek Alliance for Rare Diseases



Member of
EURORDIS
Rare Diseases Europe



ΣΠΑΝΙΕΣ ΠΑΘΗΣΕΙΣ ΚΑΙ ΚΑΙΝΟΤΟΜΙΑ

4ο Πανελλήνιο Συνέδριο Ε.ΛΕ.ΦΙ

Όλγα Οικονόμου, MSc, PhD

Δ/ντρια Φαρμακοποιός ΕΣΥ/Διδάκτωρ Ιατρικής

Πρόεδρος ΠΕΣΠΑ

Σπάνιες Νόσοι:

- Στην Ευρώπη μία ασθένεια χαρακτηρίζεται ως σπάνια όταν επηρεάζει έναν στους 2,000 ανθρώπους
- Περίπου 30 εκατομμύρια άνθρωποι στην Ευρώπη υποφέρουν από μία σπάνια ασθένεια.
- Στην Αμερική, σπάνια ασθένεια θεωρείται εκείνη που επηρεάζει λιγότερους από 200,000 Αμερικανούς
- Συνολικά $\approx 7,000$ ασθένειες επηρεάζουν 250,000,000 ανθρώπους παγκοσμίως αλλά μόνο οι 250-300 σπάνιες νόσοι αντιμετωπίζονται με φάρμακα που έχουν εγκριθεί στις Ηνωμένες Πολιτείες

«Av»...

- Θα γίνει έγκαιρα η διάγνωση
- Ο γιατρός γνωρίζει
- Θα βρεθεί κατάλληλη θεραπεία
- Αυτή η θεραπεία θα είναι διαθέσιμη
- Αυτή η θεραπεία θα είναι προσβάσιμη, από οικονομικής απόψεως
- Ο ασθενής θα μπορέσει να λάβει τη θεραπεία στη χώρα του, εφόσον αυτή είναι διαθέσιμη
- Υπάρχει η δυνατότητα πρώιμης πρόσβασης σε θεραπεία
- Διεξάγονται κλινικές δοκιμές που να δίνουν την ελπίδα για **νέα φάρμακα-την ελπίδα στη ζωή-συμμετοχή ή πρώιμη πρόσβαση**

- Τα ορφανά φάρμακα αφορούν μικρό αριθμό ασθενών
- Οι ασθενείς με σπάνιες παθήσεις ζουν χρόνια με αβεβαιότητα έως ότου διαγνωσθεί η ασθένειά τους καθώς και έως ότου βρεθεί η κατάλληλη θεραπεία
- Τα συγκεκριμένα φάρμακα αποτελούν συνήθως τη μόνη επιλογή των ασθενών και για αυτό το λόγο έχουν υψηλή αξία και υψηλές τιμές
- Η πρόσβαση σε ένα ορφανό φάρμακο εξαρτάται από την πολιτική της εταιρείας στη συγκεκριμένη χώρα και την απόφαση των εθνικών αρχών σχετικά με την αποζημίωση του συγκεκριμένου φαρμάκου
- Η κοινωνική πολιτική και ο πολιτισμός μιας χώρας χαρακτηρίζεται και από τα μέτρα στήριξης των σπανίων ασθενών και της προσβασιμότητας σε θεραπείες.
- Υπολογίζεται ότι το 1% των σπανίων νοσημάτων έχουν θεραπεία.
- Πολλές φορές η χρήση HTA (Αξιολόγηση της Τεχνολογίας της Υγείας), η οποία αποτελεί την οικονομική αξιολόγηση των παρεμβάσεων στην υγεία συνήθως τις βρίσκει μη αποτελεσματικές με βάση το κόστος τους-γεγονός που δεν συνάδει με τις κοινωνικές αξιώσεις

Προκλήσεις.....

Οι ερευνητές και οι κανονιστικοί οργανισμοί για το φάρμακο (πχ. ΕΟΦ), αντιμετωπίζουν **ποικιλία προκλήσεων** κατά την διάρκεια του κύκλου ζωής για την **έρευνα και ανάπτυξη** ενός προϊόντος για σπάνιες παθήσεις.

Αυτό οφείλεται κυρίως στο μικρό μέγεθος του πληθυσμού για την έρευνα, την έλλειψη γνώσης για την ιστορία και εξέλιξη της ασθένειας, τη δυσκολία της πλήρους κατανόησης των βασικών μηχανισμών που προκαλούν την ανωμαλία, και την διαφοροποίηση στη σοβαρότητα της ασθένειας, στην έκφρασή της και τη πορεία της.

Οι παραδοσιακές προσεγγίσεις στις σπάνιες παθήσεις δεν έχουν τον ίδιο ρυθμό με τις εξελίξεις στη βασική επιστήμη και την απαιτούμενη προσοχή για να <μεταφραστούν >.

Η επιστήμη χρειάζεται για την αντιμετώπιση αυτών των προκλήσεων, τα διαγνωστικά τεστ, τα μητρώα, και τον καινοτόμο σχεδιασμό κλινικών μελετών.

Ο EMA (European Medicines Agency) διαδραματίζει καθοριστικό ρόλο στη διευκόλυνση της ανάπτυξης και της έγκρισης φαρμάκων που αφορούν σπάνιες ασθένειες, τα ορφανά φάρμακα.

(http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp)

Οι σπάνιες ασθένειες παίζουν καθοριστικό ρόλο στην καινοτομία και στην εξέλιξη της ιατρικής και φαρμακευτικής επιστήμης. Οι περισσότερες σπάνιες ασθένειες είναι γενετικές ανωμαλίες ή άτυπες εκδηλώσεις ανοσολογικών ή ογκολογικών ασθενειών.

Πρόσφατα, η ανάπτυξη φαρμάκων έχει επικεντρωθεί **στην κατηγοριοποίηση των ασθενειών σε γενετικό** επίπεδο κάτι το οποίο έχει επιτρέψει την εξακρίβωση μοριακά προσδιορισμένων στόχων και την **ανάπτυξη στοχευμένων θεραπειών.**

Οι κλινικές μελέτες στρέφονται τώρα σε μικρότερες υποκατηγορίες (υποομάδες) ασθενών μέσα σε ομάδες πληθυσμών με κοινές ασθένειες καθώς και εκείνων με σπάνιες ασθένειες συχνά με τη βοήθεια γενετικών τεστ και biomarkers (βιοδεικτών).

Προσδιορισμός Κλινικών Δοκιμών

Έρευνες στις οποίες συμμετέχουν ασθενείς σε ιατρικά και πανεπιστημιακά ιατρικά εργαστήρια με στόχο την αξιολόγηση ενός νέου φαρμάκου, ενός νέου διαγνωστικού εργαλείου, θεραπείας ή συσκευής και προωθεί την βελτίωση της υγείας, την θεραπεία μίας ασθένειας καθώς και την βελτίωση της ποιότητας ζωής.



Κλινικές δοκιμές σε μικρούς πληθυσμούς

Μία από τις μεγαλύτερες προκλήσεις για την ανάπτυξη φαρμάκων σχετικά με τις σπάνιες ασθένειες είναι **η δυσκολία διεξαγωγής κλινικών προγραμμάτων σε μικρούς πληθυσμούς.**

Οι σπάνιες ασθένειες είχαν για καιρό πρωταγωνιστικό ρόλο στην καινοτομία και στην εξέλιξη της ιατρικής επιστήμης, κυρίως γιατί αποκαλύπτουν μηχανισμούς οι οποίοι δεν είναι εμφανείς όταν τα συστήματα λειτουργούν κανονικά (πχ. έλλειψη ή ανεπάρκεια ενός ενδογενούς ενζύμου).

Οι σπάνιες παθήσεις επηρεάζουν όλες τις θεραπευτικές κατηγορίες και τους ασθενείς όλων των δημογραφικών υπο-ομάδων.

Οι πιο σπάνιες παθήσεις είναι οι γενετικές ανωμαλίες που οδηγούν σε αλλαγές των βιοχημικών ή φυσιολογικών οδών, αλλά πολλές αποκτούν ή περιλαμβάνουν άτυπες/ατυπικές εκδηλώσεις των πιο συχνών ασθενειών.

Παραδείγματα περιλαμβάνουν μεταδοτικούς παράγοντες (πχ ανθεκτική στα φάρμακα φυματίωση), κακοήθειες (πχ., μετάλλαξη των προσδιορισμένων υπο-ομάδων καρκίνου, όπως το ALK-θετικό, προχωρημένο μη μικροκυτταρικό καρκίνο των πνευμόνων, [4](#)), νευρολογικές καταστάσεις με αυτοάνοση βάση (πχ, οπτική νευρομυελίτιδα ή νόσος/σύνδρομο Devic)

Ωφέλη από τις δοκιμές...

1) Η συμμετοχή, πολλές φορές μπορεί να οδηγήσει σε θεραπεία της ασθένειας που πριν δεν υπήρχε και ο ασθενής συμμετέχοντας μπορεί να την λάβει πριν γίνει διαθέσιμη σε άλλους.

2) Όσοι ασθενείς αισθάνονται αδύναμοι, μέσα από τις δοκιμές και την θεραπεία μπορούν να βελτιώσουν την ποιότητα ζωής τους.

3) Φάρμακα και πρωτόκολλα θεραπειών που παρέχονται κατά την διάρκεια των κλινικών δοκιμών, παρέχονται **χωρίς κόστος**.

4) Αρκετοί ασθενείς δεν έχουν άλλες εναλλακτικές θεραπείας της ασθένειάς τους και στρέφονται στις κλινικές δοκιμές μέσα στις οποίες οι ερευνητές επικεντρώνονται άμεσα στο ιατρικό πρόβλημα που μελετάται. Κατά συνέπεια υπάρχει μεγάλη πιθανότητα η κλινική δοκιμή να επιφέρει την θεραπεία που επιζητείται.

Οι σπάνιες παθήσεις δίνουν την δυνατότητα κατανόησης της ανθρώπινης φυσιολογίας και παθολογίας

Συμβάλλουν στην κατανόηση και των κοινών παθήσεων μέσω της γνώσης της ανθρώπινης βιολογίας

Η ιατρική και η φαρμακευτική επιστήμη τα τελευταία χρόνια έχουν επικεντρωθεί σε προοδευτικά μικρότερες υποομάδες εντός πληθυσμών ασθενειών στη βάση γενετικών δοκιμών ή βιοδεικτών

Έχουμε συνεπώς ταξινόμηση ορισμένων κοινών ασθενειών ως σπάνιες(υποσύνολα καρκίνων που ορίζονται ως μετάλλαξη) και στην ταξινόμηση των σπανίων σε μικρότερους υπο-πληθυσμούς(υποσύνολα κυστικής ίνωσης-μετάλλαξη)

Δικαιώματα ασθενών

- Η οδηγία της ΕΕ για τα δικαιώματα των ασθενών στο πλαίσιο της διασυνοριακής υγειονομικής περίθαλψης (2011) ενθαρρύνει μέτρα για την ευαισθητοποίηση των επαγγελματιών της υγείας σχετικά με τα διαγνωστικά εργαλεία για τις σπάνιες νόσους και τη δυνατότητα παραπομπής των ασθενών σε άλλες χώρες της ΕΕ
- Το κανονιστικό σύστημα της ΕΕ για τα φάρμακα, προκειμένου να επιταχύνει την έγκριση νέων ορφανών φαρμάκων, προσφέρει κίνητρα για προϊόντα που προορίζονται για τη θεραπεία, την πρόληψη ή τη διάγνωση των σπάνιων νόσων

Διευκόλυνση της πρόσβασης σε ορφανά φάρμακα

- Η Ε.Ε. δίνει κίνητρα για την παραγωγή και προσβασιμότητα των ορφανών φαρμάκων
- Δυστυχώς όμως η πρόσβαση των ασθενών δεν είναι όμοια σε όλα τα κράτη-μέλη
- Δρομολογήθηκε ένα σχέδιο για τον συντονισμό των επενδύσεων, την αξιολόγηση και στην ανταλλαγή πληροφοριών και γνώσεων
- Κάθε χώρα μέλος έχει διαφορετικούς κανόνες τιμολόγησης και η επιστροφή των δαπανών είναι διαφορετική για κάθε μέλος
- Αντιμετώπιση των προκλήσεων για την παροχή οικονομικά προσιτής και βιώσιμης πρόσβασης σε φάρμακα πολύτιμα για ασθενείς με προφανείς ιατρικές ανάγκες
- Το πρόβλημα είναι μεγαλύτερο για τα φάρμακα των σπανίων νόσων που απευθύνονται σε μικρότερες ομάδες ασθενών

Κίνητρα που προσφέρει η ΕΕ για την ανάπτυξη ορφανών φαρμάκων

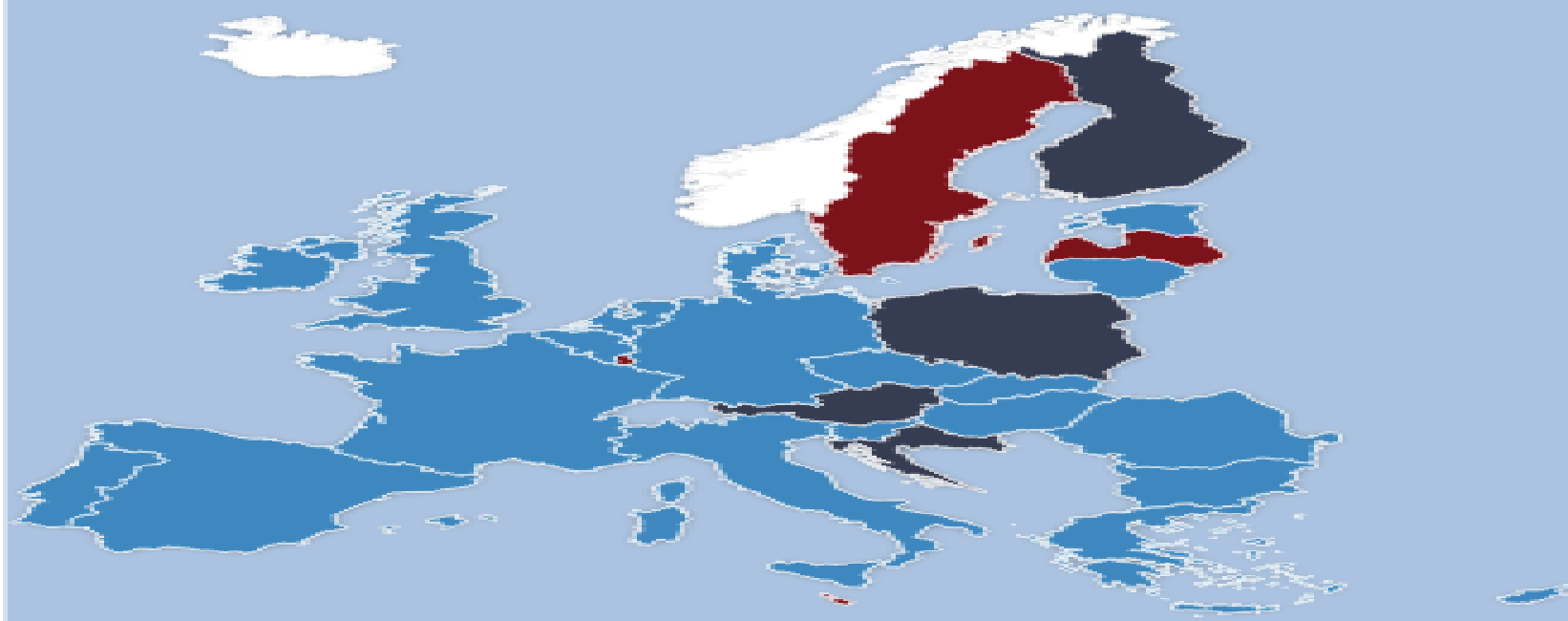
- Βοήθεια στην ανάπτυξη των ορφανών φαρμάκων
- Μειωμένα έξοδα για την απόκτηση της άδειας κυκλοφορίας
- Προστασία από τον ανταγωνισμό μόλις το προϊόν βγει στην αγορά (10 χρόνια το Market Exclusivity)
- Άμεση αποζημίωση αυτών των φαρμάκων μόλις βγουν στην αγορά
- Κάποιες χώρες, όπως η συνεργασία Benelux, Διακήρυξη της Βαλέτας, στοχεύει στο να δημιουργήσει μία κοινή πλατφόρμα για την διαπραγμάτευση των τιμών των φαρμάκων υψηλού κόστους
- Η Ευρωπαϊκή Ένωση, ΗΠΑ και Ιαπωνία προσφέρουν κίνητρα στις εταιρείες όπως tax rebates και market exclusivity




- Η δημιουργία ομάδας εργασίας <Μηχανισμός συντονισμένης πρόσβασης σε ορφανά φάρμακα > στο πλαίσιο της διαδικασίας σχετικά με την εταιρική ευθύνη στον φαρμακευτικό κλάδο
- **Σκοπός ήταν η αναζήτηση τρόπου παροχής πραγματικής πρόσβασης σε ορφανά φάρμακα για ασθενείς πάσχοντες από σπάνιες νόσους**
- Το βασικό ήταν η σύσταση που αφορά την ανάπτυξη, σε εθελοντική βάση, ενός συντονισμένου μηχανισμού μεταξύ κρατών μελών για την αξιολόγηση της αξίας ενός ορφανού φαρμάκου και για την τιμολόγηση
- Αποτέλεσμα θα είναι πιο ορθολογική τιμολόγηση και πιο ισότιμη πρόσβαση για τους ασθενείς

Τι έχει ήδη γίνει από την ΕΕ;

- EURORDIS-δημιουργήθηκε το 1997
- “The Health Programme” – έχει χρηματοδοτήσει πιλοτικά registries για τις σπάνιες παθήσεις
- Στην ΕΕ βρίσκεται και η μεγαλύτερη βάση δεδομένων επάνω στις σπάνιες παθήσεις
- Επενδύει πάνω από 4 εκατομμύρια ευρώ στην Κοινή αυτή Δράση επέκτασης και υποστήριξης της δουλειάς για την κωδικοποίηση των σπανίων παθήσεων
- Στήριξη και μέσα από χρηματοδοτήσεις, των κρατών-μελών στη σχεδίαση και την υλοποίηση των εθνικών τους δράσεων επάνω στις σπάνιες παθήσεις-όπως το Europlan project
- Πριν το 2009 μόνο η Βουλγαρία, Γαλλία, Πορτογαλία και Ισπανία διέθεταν εθνικό σχέδιο δράσης ενώ τώρα 23 κράτη-μέλη διαθέτουν τέτοιο σχέδιο

Στάδια εκπόνησης εθνικών σχεδίων ή εθνικών στρατηγικών για τις σπάνιες νόσους στις χώρες της ΕΕ από το πρώτο τρίμηνο του 2014.



-  Κράτη μέλη τα οποία έχουν θεσπίσει εθνικό σχέδιο ή στρατηγική για τις σπάνιες νόσους
-  Κράτη μέλη τα οποία βρίσκονται σε προχωρημένο στάδιο εκπόνησης εθνικού σχεδίου ή εθνικής στρατηγικής για τις σπάνιες νόσους
-  Υπόλοιπα κράτη μέλη της ΕΕ

Πηγή: Έκθεση της Επιτροπής σχετικά με την εφαρμογή της ανακοίνωσης της Επιτροπής με τίτλο «Σπάνιες νόσοι: οι ευρωπαϊκές προκλήσεις» (Σεπτέμβριος 2014 (η Ιταλία και η Ιρλανδία ενέκριναν τα σχέδια μετά τη δημοσίευση της έκθεσης)).

Βελτίωση της διάγνωσης και της περίθαλψης

Όνομα έργου: Ευρωπαϊκό μπιτρώ και δίκτυο μεταβολικών νοσημάτων τύπου ταξίκωσης (**E-IMD**)

Αριθμός εταίρων: 13 από 10 χώρες: DK, DE, ES, FR, HR, IT, NL, PL, PT, UK. **Χρηματοδότηση ΕΕ:** 779 746 €. **Διάρκεια:** 2011-2014.

Στόχος του E-IMD ήταν να παρέχει εμπειριστατωμένα και συναινετικά αποδεκτά διαγνωστικά πρωτόκολλα και πρωτόκολλα διαχείρισης για άτομα που προσβάλλονται από σπάνιες οργανικές αξιουρίες (OAD)

ή ανωμαλίες στον κύκλο της ουρίας (UCD). Γενικός στόχος ήταν η βελτίωση της πρόσβασης στην ταχεία διάγνωση και περίθαλψη για τους ασθενείς.

Το έργο αξιολόγησε τις τρέχουσες στρατηγικές και τα αποτελέσματα διαχείρισης σε 15 ευρωπαϊκές χώρες προκειμένου να υπάρξει καλύτερη κατανόηση της φυσικής εξέλιξης αυτών των σπάνιων νόσων. Στο πλαίσιο του έργου δημιουργήθηκε ευρωπαϊκό μπιτρώ ασθενών που περιγράφει την πορεία των νόσων, επιδημιολογικές, διαγνωστικές και θεραπευτικές στρατηγικές και παρέχει ενημέρωση στις εθνικές υγειονομικές αρχές και τις υγειονομικές αρχές της ΕΕ.

Επισκεφτείτε το www.e-imd.org/en/index.phtml



Ενωμένοι εναντίον των σπάνιων μορφών καρκίνου

Όνομα έργου: Δίκτυο ενημέρωσης για σπάνιες μορφές καρκίνου (**RARECARENet**)

Αριθμός εταίρων: 10 από 8 χώρες: BG, IE, FR, IT, NL, SI, FI, UK. **Χρηματοδότηση ΕΕ:** 1 000 631 €. **Διάρκεια:** 2012-2015. Το RARECARENet στηρίζεται στις εργασίες ενός δικτύου ενημέρωσης για σπάνιες μορφές καρκίνου που αποτελείται από

ογκολόγους, γενικούς ιατρούς, ερευνητές, υγειονομικές αρχές και ασθενείς. Επιδιώκει να επιτύχει πιο έγκαιρη και ακριβέστερη διάγνωση, να διευκολύνει την πρόσβαση σε υψηλής ποιότητας θεραπεία για τους ασθενείς, να προσδιορίσει κέντρα εμπειρογνομούσης για σπάνιες μορφές καρκίνου στην Ευρώπη και να τυποποιήσει τις πρακτικές στις χώρες της ΕΕ.

Το δίκτυο προωθεί επίσης τη διεθνή συνεργασία για πολύ σπάνιες μορφές καρκίνου και επιδιώκει την ενδυνάμωση των ασθενών.

Επισκεφτείτε το www.rarecarenet.eu

Δημιουργία εθνικού αρχείου σπανίων νόσων

Η καταγραφή των σπανίων παθήσεων αποτελεί προτεραιότητα σε Ευρωπαϊκό επίπεδο.

Η ανάπτυξη ενός εθνικού αρχείου σπανίων παθήσεων είναι βασική προτεραιότητα και για τη χώρα μας.

Λόγω της δυσκολίας του εγχειρήματος η επιλογή των νοσημάτων και ο τρόπος καταγραφής τους αποτέλεσε αντικείμενο μελέτης της Θεματικής Συμβουλευτικής Ομάδας για τις Σπάνιες Παθήσεις.

Στην παρούσα φάση και προκειμένου να αποκτηθεί η κατάλληλη εμπειρία αποφασίσθηκε η πιλοτική καταγραφή τεσσάρων σπανίων νοσημάτων: της [Ινοκυστικής Νόσου](#) (αρχικά για παιδιά), της [Νωτιαίας Μυικής Ατροφίας](#), της [Νόσου Gaucher](#) και της [Νόσου Pompe](#).

Διαχείριση φαρμακευτικής τεχνολογίας και καινοτομίας στην Ελλάδα

- Η πρόσβαση σε καινοτόμα φάρμακα έχει βελτιώσει το προσδόκιμο ζωής στην Ελλάδα κατά σχεδόν 1 έτος και έχει οδηγήσει σε μείωση των συνολικών ημερών νοσηλείας (Μελέτη Ε.Σ.Δ.Υ.)
- Εκείνο που πρέπει να εστιάσει η χώρα μας είναι η διαχείριση και αξιολόγηση της καινοτομίας δημιουργώντας ένα πρότυπο αξιολόγησης της τεχνολογίας στην Ελλάδα στα πλαίσια μιας Εθνικής στρατηγικής για το φάρμακο με:

-Ιεράρχηση των προτεραιοτήτων των αναγκών του υγειονομικού τομέα και την αναζήτηση ενός σταθερού πλαισίου λειτουργίας του υγειονομικού τομέα με εξορθολογισμό του συστήματος τιμών και

-Βελτίωση του συστήματος λήψης αποφάσεων ως προς την αποζημίωση της τεχνολογίας και της καινοτομίας στην υγεία μέσω της ανάπτυξης μηχανισμών

Οικονομική Κρίση και Φαρμακευτική Δαπάνη

- Η οικονομική κρίση που εμφανίστηκε στην γηραιά ήπειρο κυρίως από το 2010 και μετά, οδήγησε πολλές χώρες στην προσπάθεια μείωσης των φαρμακευτικών δαπανών
- Επιβλήθηκαν αυστηρά μέτρα περιορισμού του κόστους περίθαλψης
- Αναζητήθηκαν νέα μοντέλα αποζημίωσης που μετακύλισαν μεγάλο ποσοστό του κόστους στους ασθενείς
- Αυξήθηκε η αναγκαιότητα γνώσης βασικών στοιχείων του ιατρικού φακέλου του ασθενούς
- Παράλληλα, η φαρμακευτική δαπάνη περιορίσθηκε σημαντικά και αυξήθηκε ο βαθμός δυσκολίας πρόσβασης και όχι μόνο στα καινοτόμα φάρμακα
- Περιορίσθηκαν οι πόροι χρηματοδότησης
- Ελεγχόμενη εισαγωγή στις αγορές των καινοτόμων φαρμάκων
- Αναθεώρηση τιμολογιακής πολιτικής

Στη χώρα μας...

10 Στη προσπάθεια συγκράτησης της φαρμακευτικής δαπάνης καθυστέρησε η τιμολόγηση των νέων καινοτόμων φαρμάκων, πολλά από τα οποία ανήκουν στην κατηγορία των ορφανών φαρμάκων

Κύριο μέσο συγκράτησης του φαρμακευτικού κόστους, υπήρξε, η μείωση των φαρμακευτικών τιμών, ώστε να καταστεί δυνατή η οικονομική πρόσβαση των ασθενών σε αυτά και να ελαττωθεί το κόστος για τα ασφαλιστικά ταμεία.

Βεβαίως, από την άλλη μεριά, και κυρίως στην αρχή του 2010, είδαμε στην χώρα μας ότι αρκετές εταιρείες αντιτέθηκαν σε αυτήν την πολιτική απειλώντας ακόμη και με έξοδο τους από την ελληνική αγορά.

ΜΝΗΜΟΝΙΟ ΚΑΙ ΠΡΟΑΠΑΙΤΟΥΜΕΝΑ.....



26.Μειώσεις σε τιμές φαρμάκων

27.Πλαφόν στις δαπάνες προμηθειών των κρατικών νοσοκομείων και αυτόματος μηχανισμός επιστροφών από επιχειρήσεις Υγείας προς το δημόσιο (claw back)

Ελλάδα: Φαρμακευτική Πολιτική και ασθενής

- Συμμετοχή καθορισμένη ανά ταμείο
- Διαφορές συμμετοχής ανά ασφαλιστικό ταμείο (πχ.ΟΓΑ 0%)
- Επιλογή από τον ιατρό
- Φάρμακα Υ.Κ.από Νοσοκομεία
- Συνταγογράφηση χωρίς όριο

Με Μνημόνιο

- Αύξηση συμμετοχής (ασφαλιστική, γενόσημο κλπ.)
- Δικαίωμα επιλογής στο ιδιοσκεύασμα(?)
- Όριο συνταγογράφησης -Επιβάρυνση ΜΗΣΥΦΑ
- **Δυσκολία πρόσβασης σε φάρμακα υψηλού κόστους**
- **Καινοτόμα φάρμακα (καθυστέρηση)**
- Γενόσημα (Προέλευση)
- Μεταβολή στο χορηγούμενο ιδιοσκεύασμα ανά νοσοκομείο/φαρμακείο
- Ανησυχία



Αίτια δυσκολίας προσβασιμότητας

Η τιμολογιακή πολιτική

Η καθυστέρηση ένταξης νέων καινοτόμων φαρμάκων

Η μείωση της αγοραστικής δύναμης των ασθενών λόγω μείωσης μισθών και συντάξεων αύξησε την δυσκολία της προσβασιμότητας

Η αύξηση του ποσοστού συμμετοχής των ασφαλισμένων ανά φάρμακο και συνταγή

Η αυξημένη χρήση γενοσήμων και η αλλαγή ανά νοσοκομείο ή φαρμακείο του ιδιοσκευάσματος

Η συνεχής αλλαγή των σημείων παροχής φαρμάκων του Ν.3816 (ΕΟΠΥΥ-Νοσοκομεία)

Η μη έγκαιρη ενημέρωση των ασθενών
Οι μειωμένοι προϋπολογισμοί των Νοσοκομείων για τα φάρμακα υψηλού κόστους

Η εφαρμογή του claw back

Η αύξηση του αριθμού των φαρμάκων που περιλαμβάνονται στην κατηγορία των ΜΗΣΥΦΑ

Ελλείψεις φαρμάκων:

Δελτίο Τιμών

Καθυστέρηση τιμολόγησης νέων καινοτόμων φαρμάκων

Παράλληλες εξαγωγές

Μειωμένες εισαγωγές ή παραγωγή

ΙΦΕΤ: έλλειψη στατιστικών επιδημιολογικών στοιχείων,

γραφειοκρατική διαδικασία

Αποσύρσεις προϊόντων

- Επιπρόσθετα, το γεγονός ότι μία μερίδα του πληθυσμού μειώνει εξ ανάγκης τις ιδιωτικές δαπάνες υγείας, κατά την περίοδο κρίσης που αντιμετωπίζει η χώρα μας, ενδέχεται να έχει αρνητικές επιπτώσεις στην ποιότητα αλλά και στο προσδόκιμο ζωής, θέτοντας πιθανόν σε κίνδυνο την προστασία της δημόσιας υγείας
- Υποστηρίζεται από ειδικούς μελετητές ότι μία υπέρμετρα μεγάλη μείωση της φαρμακευτικής δαπάνης πιθανόν να προκαλέσει σημαντικές στρεβλώσεις στο σύνολο των παροχών υγείας μέσω αφενός της μετακύλισης μεγάλου βάρους στα νοικοκυριά –μία ιδιαίτερα δυσμενής εξέλιξη για τις πλέον ευπαθείς ομάδες του πληθυσμού στην παρούσα κρίση – και αφετέρου με την υποκατάσταση της φαρμακευτικής περίθαλψης από παρεμβατική νοσοκομειακή περίθαλψη, με πιθανό αποτέλεσμα την αύξηση των δαπανών υγείας συνολικά
- Είναι γενικώς αποδεκτό ότι η σχέση μεταξύ της φαρμακευτικής δαπάνης και της νοσοκομειακής περίθαλψης είναι σύνθετη, με την έννοια ότι η πρωτοβάθμια φαρμακευτική περίθαλψη για την αντιμετώπιση διάφορων παθήσεων περιορίζει την ανάγκη για την πιθανότατα δαπανηρότερη νοσοκομειακή φροντίδα.

Πηγή: Μελέτη του ΚΕΠΕ

Δυσκολίες που ανακύπτουν:

- Ο ασθενής μπορεί να ζει σε μία χώρα όπου το ορφανό φάρμακο να μην είναι διαθέσιμο
- Ο ασθενής να ζει σε μία χώρα όπου το φάρμακο παίρνει πολύ καιρό να εγκριθεί ή δεν θα εγκριθεί άμεσα και οι οποίοι είναι σε προχωρημένο στάδιο της νόσου και κινδυνεύει η ζωή τους

Πρωτοβουλίες βελτίωσης της προσβασιμότητας:

- Οι εταιρείες δημιουργούν προγράμματα που στοχεύουν στη μεγαλύτερη προσβασιμότητα στο σύστημα και στα φάρμακα αυτά
- Μεγαλύτερη συνεργασία εμπλεκόμενων φορέων με συλλόγους ασθενών
- Η συγκρότηση της Εθνικής Επιτροπής για τις Σπάνιες Παθήσεις.
- Η επιτροπή αναλαμβάνει την τήρηση των διαδικασιών και την επιλογή των Κέντρων Αναφοράς και Εμπειρογνωμοσύνης των συγκεκριμένων παθήσεων στην Ελλάδα

Αναγκαιότητα δημιουργίας εθνικού δικτύου καταγραφής της κατανάλωσης φαρμάκων για τις σπάνιες παθήσεις στα ελληνικά νοσοκομεία

Η αναγκαιότητα για λήψη αξιόπιστων δεδομένων κατανάλωσης για νοσοκομειακή χρήση μπορεί να καταστεί δυνατή μόνο με την παροχή στοιχείων απευθείας από τα μηχανογραφικά συστήματα των φαρμακευτικών τμημάτων των νοσοκομείων όλης της χώρας και να γίνεται συστηματική παρακολούθηση της κατανάλωσης των φαρμάκων που χρησιμοποιούνται ανά τακτά χρονικά διαστήματα.

Δίκτυο καταγραφής της κατανάλωσης φαρμάκων υψηλού κόστους στα νοσοκομεία

Μέθοδοι επιτήρησης της φαρμακευτικής δαπάνης στο νοσοκομείο



Πάροχοι Υπηρεσιών Υγείας

Καταγραφή ελλείψεων φαρμάκων

Φαρμακευτικό Τμήμα

Προγράμματα Επιτήρησης Φαρμάκων για Σπάνια νοσήματα

Δείκτες Διασφάλισης/Βελτίωσης Ποιότητας

Επιτροπή Ελέγχου

Ασθενείς

Εμπλεκόμενοι φορείς:

Όλοι οι φορείς πρέπει να συμμετάσχουν με το να δίνουν ουσιαστικές πληροφορίες

Διασφάλιση της πρόσβασης των ασθενών σε φάρμακα τα οποία είναι υψηλής θεραπευτικής αξίας αλλά και σε τιμές όπου το κράτος μπορεί να καλύψει

Η Ευρωπαϊκή Ένωση, ΗΠΑ και Ιαπωνία προσφέρουν κίνητρα στις εταιρείες όπως tax rebates και market exclusivity

Δύσκολες Ερωτήσεις που πρέπει να απαντηθούν:

<Η επιλογή για μία μητέρα ανάμεσα στο να ξοδέψει και το τελευταίο της ευρώ με σκοπό να αποκτήσει τα φάρμακα που χρειάζεται για τον μήνα και να αγοράσει φαγητό για τα πεινασμένα της παιδιά δεν πρέπει να αποτελεί καθόλου επιλογή>

<Ο συνταξιούχος που πρέπει να μειώσει τα φάρμακα για να καλύψει άλλες βασικές ανάγκες επιβίωσης>

Κάποιες από τις ανθρώπινες επιπτώσεις της κρίσης ίσως να μην φαίνονται...

- Η ανεργία ιδίως για τους ασθενείς ΑΜΕΑ μπορεί να σημαίνει έλλειψη οικονομικής ανεξαρτησίας-με όποιες επιπτώσεις αυτό συνεπάγεται
- Η υγεία και η παιδεία είναι εκείνοι οι τομείς που πλήττονται περισσότερο και επηρεάζουν την οικογένεια και την κοινωνία

Δύσκολες Ερωτήσεις που πρέπει να απαντηθούν:

Η Πολιτεία μπορεί να στηρίξει τους ασθενείς με σπάνια νοσήματα και να παρέχει τα καινοτόμα φάρμακα μέσα από διαφανείς και άμεσες διαδικασίες έγκρισης και προσβασιμότητας?

Η Πολιτεία θέλει να προσφέρει την αξιοπρέπεια στον ασθενή?

Η κρίση να μας φέρει πιο κοντά σε όσους είναι αδύναμοι όχι από επιλογή αλλά γιατί γεννήθηκαν σπάνιοι
Σπάνιοι αλλά όχι μόνοι!!!



Πανελλήνια Ένωση Σπανίων Παθήσεων
Greek Alliance for Rare Diseases



Member of
EUORDIS
Rare Diseases Europe

Σπάνιος ναι . . . Μόνος όχι!

Σπάνιος ναι . . . Μόνος όχι!

Σας ευχαριστώ πολύ!!!