JANUSZ SZYMBORSKI, PEŁNOMOCNIK RPO DS. RODZINY

WYZWANIA DLA POLITYKI ZDROWIA PUBLICZNEGO UE

PRZYKŁAD RODZIN OBARCZONYCH CHOROBAMI SIEROCYMI

- Epidemiologia
- Potrzeby osób chorych i rodzin
- Aspekty etyczne i prawne
- Poszukiwanie rozwiązań w UE

Seminarium Naukowe

Polityka rodzinna w krajach UE. Wnioski dla Polski

BRPO, Warszawa, 20 października 2008

CHOROBY RZADKIE

- W Europie choroby, które dotykają nie więcej niż 1 osobę na 2 000 mieszkańców; w USA 1 osobę na 1 250
- Wrodzone wady metabolizmu występują średnio 1: 40 000 a w poszczególnych chorobach od 1:10 000 do 1: 200 000 - są to więc choroby *„ultra rzadkie”*
- Lepsza rozpoznawalność chorób rzadkich sprawia, że wychodzą one ze sfery kazuistyki i tworzą grupę chorób rzadkich, ale na tyle częstych i poważnych, że wymagają specjalnego podejścia na płaszczyźnie medycznej oraz szczególnych rozwiązań systemowych: społecznych i ekonomicznych.

CHOROBY RZADKIE
CZĘSTOŚĆ WYSTĘPOWANIA

Obecnie w Europie jest ok. 20 mln zidentyfikowanych rodzin obciążonych rzadkimi chorobami metabolicznymi. Liczba ta prawdopodobnie wzrośnie w najbliższych latach do około 30 mln po upowszechnieniu programów badań przesiewowych.

(Za: A. Tylki – Szymańska)

CHOROBY RZADKIE

- Szacuje się obecnie, że istnieje od 5 000 do 8 000 rzadkich chorób (**5 nowych rzadkich chorób/ tydzień)**
- Cierpi 6% do 8% ogółu populacji, co oznacza, w skali 27 krajów UE, liczbę od 27 do 36 milionów ludzi
- Można oczekiwać, że w Polsce ok. 2 mln ludzi wypełnia kryteria przypisywane chorobom rzadkim
- 80% tło genetyczne

  65% przebieg bardzo ciężki

  50% upośledza rozwój

  70% ujawnia się do 2. r.ż.

  35% chorych umiera w 1. r.ż.

  12% chorych umiera pomiędzy 1.-15. r.ż.

CHOROBY RZADKIE = CHOROBY SIEROCE

Niska częstość występowania tych chorób sprawia, że są one

- Trudne do rozpoznania; charakteryzują się ogromną różnorodnością fenotypową; lekarze ich nie znają
- Nie zawsze dostępne są odpowiednie metody diagnostyczne
- Nie ma dla nich rozwiązań terapeutycznych
- Nie stanowią przedmiotu zainteresowania dla przemysłu farmaceutycznego
- Nie są przedmiotem badań podstawowych

(Atherton A., 1997)

LEKI SIEROCE

- **Orphan drugs** to leki wykorzystywane w leczeniu chorób rzadkich
- Trudność w przeprowadzeniu badań klinicznych
- Często brak rejestracji
- Wysoka cena
- Leki ratujące życie
- Zapobiegają upośledzeniu fizycznemu i psychicznemu
- mukowiscydoza, porfiria,cystynoza,ch. Gauchera, ch. Fabryego, tyrozynemia, homocystynuria, hemofilia, hemochromatoza, dystrofia mięśniowa Duchennego i Beckera, dystrofia miotoniczna, achondroplazja, rdzeniowy zanik mięsni, z. Retta,z. kociego krzyku, z. Downa, z. Turnera, ch. Huntingtona, CML

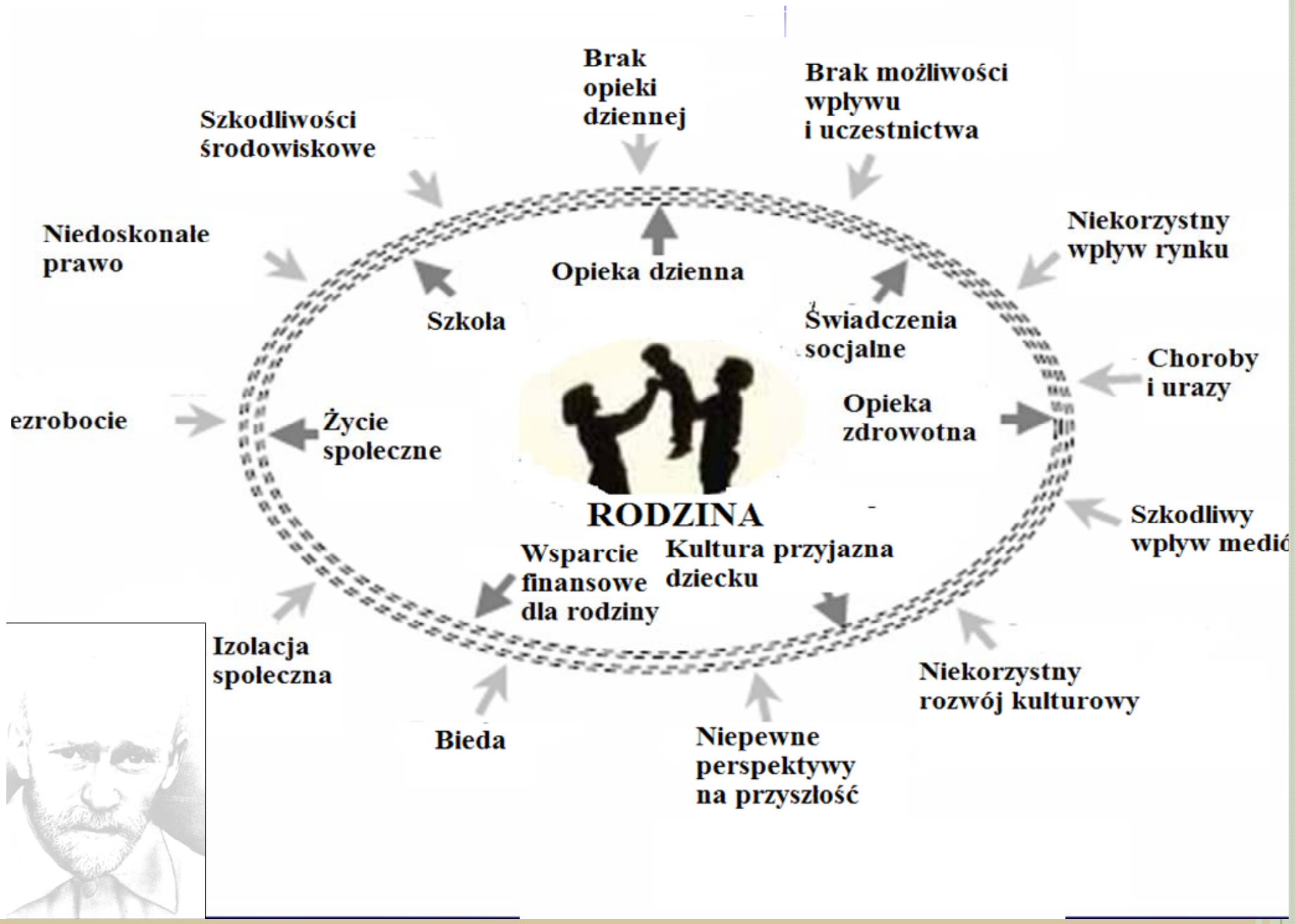
PROBLEMY ZDROWOTNE DZIECI I MŁODZIEŻY

(Źródło: *Zdrowie dzieci i młodzieży w Polsce,* Biuletyn RPO nr 62, 2008)

Problemy zdrowotne	Wiek w latach		
	0 – 14	15 – 19	0 – 19
	w tysiącach		
Ogółem	6022,4	2788,1	8810,5
Niepełnosprawność	208,9	118,3	327,2
Długotrwałe problemy zdrowotne	1037,2	440,5	1477,7
Choroby przewlekłe	1433,0	616,2	2049,2

JWARUNKOWANIA ZDROWIA I ROZWOJU DZIECI

Wg.Child Health Indicators of Life and Development (CHILD),



KOMUNIKAT KOMISJI

W KIERUNKU STRATEGII UE NA RZECZ PRAW DZIECKA

Bruksela, dnia 4.07.2006 r.

Prawa i potrzeby dziecka

należy postrzegać wspólnie:

poszanowanie i propagowanie praw wszystkich dzieci powinno iść w parze z niezbędnym działaniem uwzględniającym ich podstawowe potrzeby

POTRZEBY OSÓB CIERPIĄCYCH NA RZADKIE CHOROBY

- **Bezpośrednie potrzeby medyczne** (szpital,poradnia, diagnostyka, konsultacje, leczenie: chirurgiczne, produkty lecznicze, środki pielęgnacyjne, dieta, opieka psychologiczna, fizjoterapia, logopedia, opieka paliatywna)
- **Pośrednie potrzeby medyczne** (transport, sprzęt, aparatura, opieka nad dzieckiem)
- **Potrzeby edukacyjne, socjalne,**
- **Potrzeby życia codziennego** rodzin wynikające z czasochłonności opieki, pracy papierkowej dla uzyskania świadczeń, refundacji, telefonów w celu umówienia wizyt i badań (Problemy narastają, gdy dzieci i rodzice spotykają się ze słabą orientacją lekarza co do choroby, brakiem zrozumienia, wsparcia)

Spełnienie tych potrzeb ma na celu poprawę diagnostyki, leczenia, rokowania, jakości życia dziecka i rodziny

OCENA JAKOŚCI ŻYCIA I OPIEKI NAD OSOBAMI Z CHOROBAMI RZADKIMI

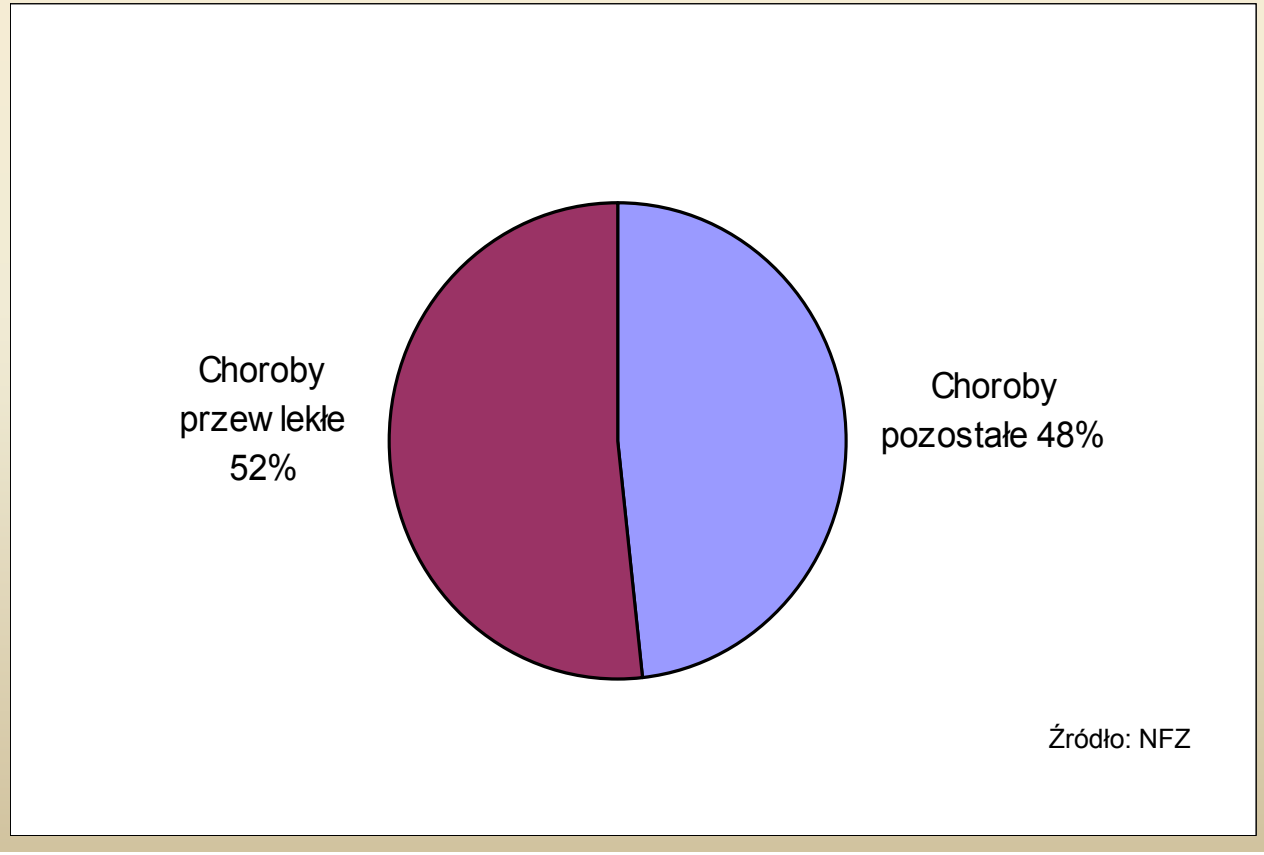
(Cyt. za: The Lancet 2008; 371:2039-2041)

- **Osoby z ch. rzadkimi doświadczają najgorszego upośledzenia szans rozwojowych, społecznych, ekonomicznych, w opiece medycznej** *(2500 pacjentów przewlekle chorych, w tym 8,2% z chorobami rzadkimi)*
- **W wielu przypadkach diagnoza jest opóźniona.** W 25% minęło 5 – 30 lat od pojawienia się pierwszych objawów do właściwej diagnozy. Przed postawieniem rozpoznania 40% pacjentów miało niewłaściwe rozpoznanie a pozostali nie mieli w ogóle rozpoznania

(Badanie ankietowe w organizacjach zajmujących się ch.rz. w 17 krajach europejskich, dotyczące 8 rzadkich chorób: ch. Crohna, mukowiscydoza, dystrofia mięśniowa Duchenne, z. Ehlers-Danlos, z. Marfana, z. Pradera-Williego, stwardnienie guzowate, z. łamliwego chromosomu X)

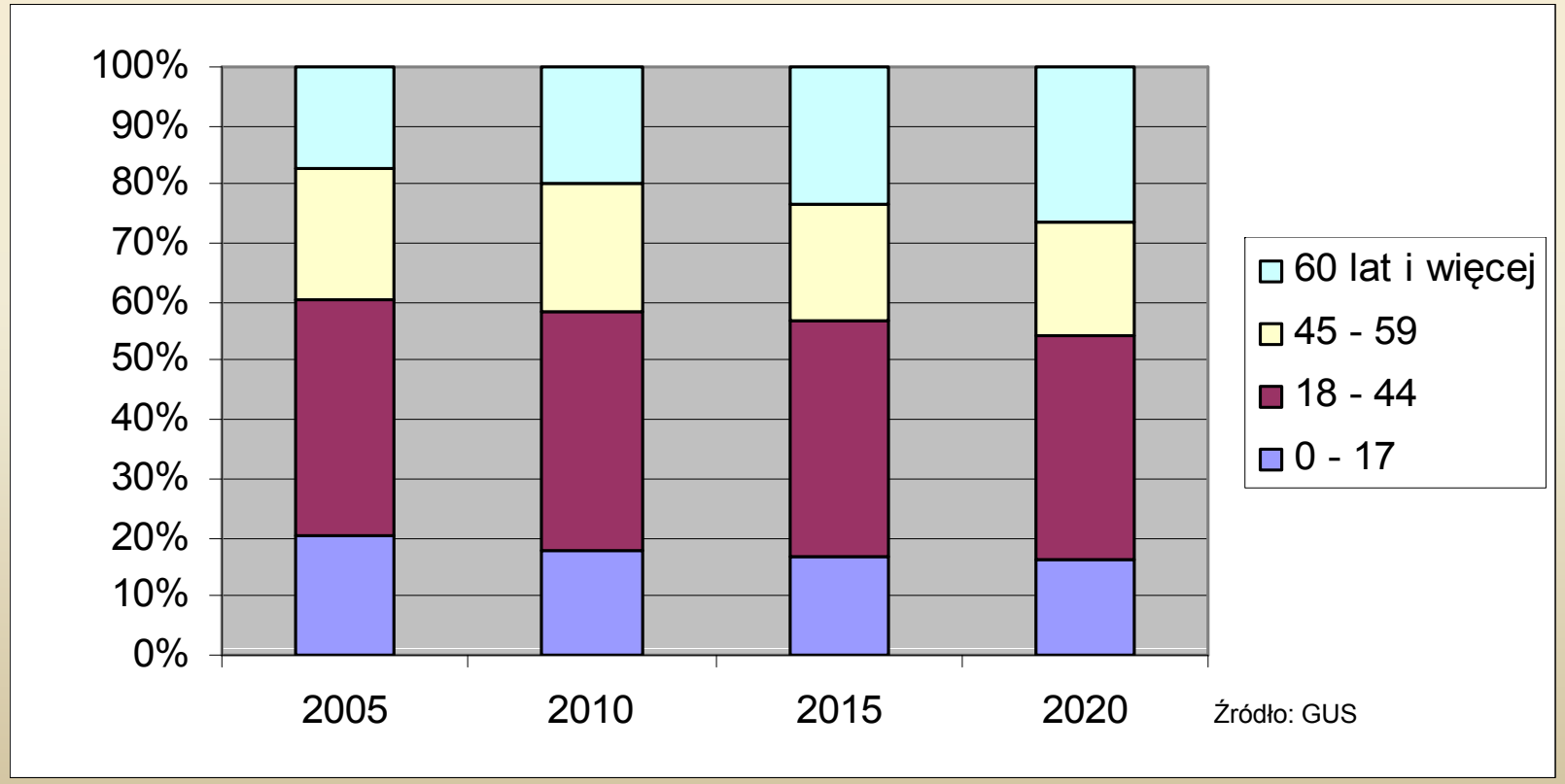
KOSZTY LECZENIA OSÓB PRZEWLEKLE CHORYCH

- Choroby przewlekłe - w Polsce to 27 schorzeń wymienionych w rozporządzeniu MZ
- W 2005 roku NFZ na refundacje leków na schorzenia przewlekłe wydał 3,18 mld PLN (ogólna kwota refundacji w 2005 - 6,18 mld PLN)

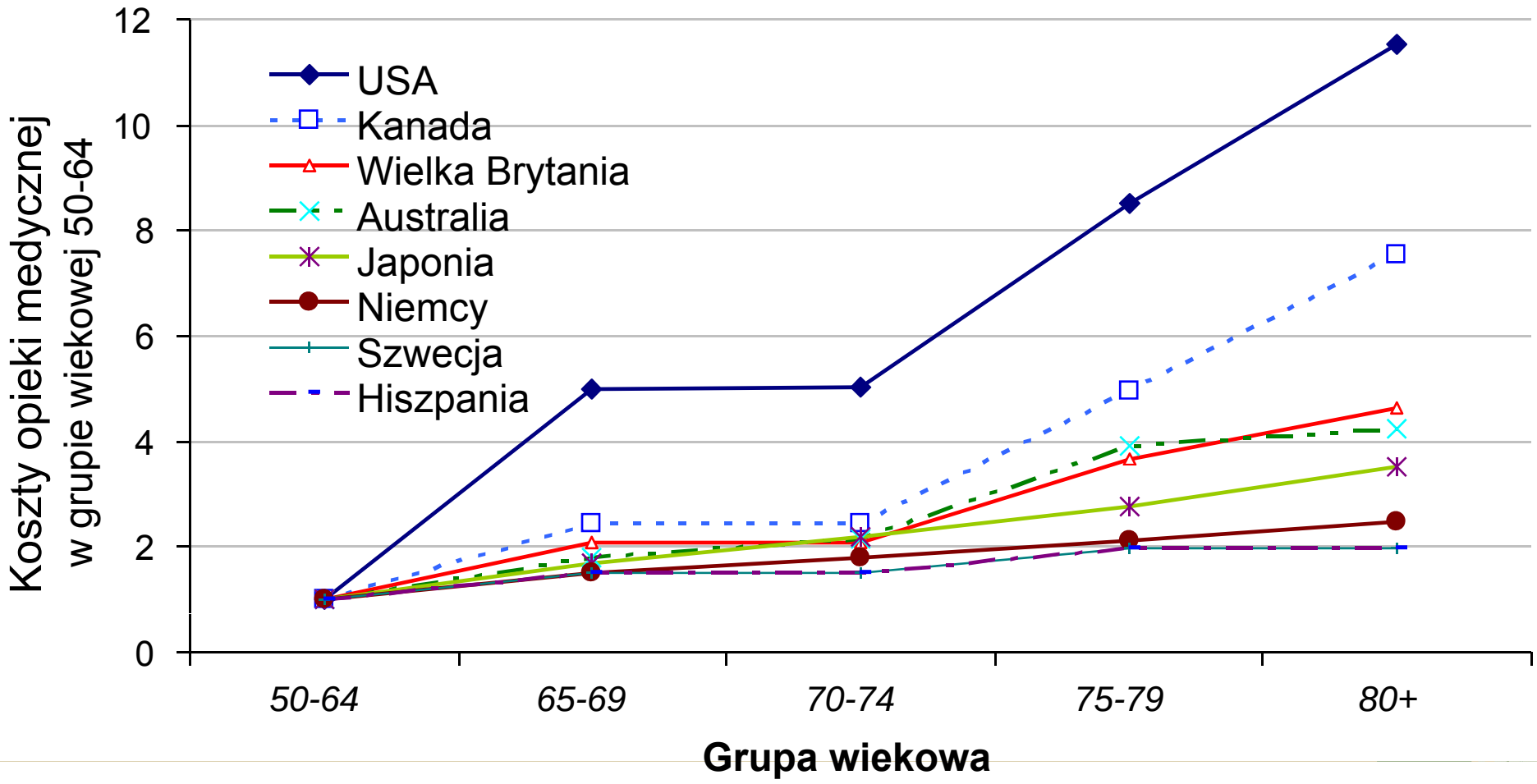


ZMIANY DEMOGRAFICZNE DO 2020 - W POLSCE ZNACZĄCO WZROŚNIE POPYT NA OCHRONĘ ZDROWIA

- Dziś w Polsce żyje około 6,6 mln ludzi w wieku ponad 60 lat
- W roku 2020 będzie ich ponad 9,8 mln (wzrost o prawie 50%)
- Co 4 Polak w roku 2020 będzie miał 60 lat i więcej (26% populacji og.)



STARZENIE SIĘ SPOŁECZEŃSTWO A WZRASTAJĄCE KOSZTY OPIEKI MEDYCZNEJ



źródło: Laurence Kotlikoff and Christian Hagist, "Who's Going Broke?" National Bureau of Economic Research, Working Paper No. 11833, December 2005, p.25; World Factbook, 2006; OECD Health Data 2006; IMS Sales Data 2005.

CHOROBY RZADKIE, LEKI SIEROCE I POLITYKA SPOŁECZNA

- W coraz większej liczbie chorób rzadkich można zastosować skuteczne terapie
- Pomimo wysokich kosztów leczenia, w budżetach państw powinny znaleźć się na to środki
- Wymaga to opracowania **rozwiązań systemowych** dla sprostania tym wyzwaniom

MEDYCYNA I KOSZTY

Powszechnie obserwujemy działania zmierzające do zmniejszenia kosztów leczenia. Jednak korzyści z postępu w medycynie nie można poświęcać na rzecz ekonomii.

„jeżeli postępowi nie towarzyszy wola polityczna, wówczas prowadzi to do nierówności, wola polityczna musi zapobiegać powstawaniu nierówności."

(prof A. Khan, wykład w Warszawie, IF, 2001, cyt. Za: A. Tylki Szymanska)

PRODUKCJA LEKÓW SIEROCYCH
ASPEKT EKONOMICZNY

Proces od odkrycia nowego leku/substancji do wprowadzenia go na rynek:

- jest długi (średnio wynosi 10 lat)
- jest bardzo kosztowny (dziesiątki milionów euro)
- jest to niepewna inwestycja, bowiem 1 z 10 testowanych substancji może być efektywna terapeutycznie
- rozwijanie terapii na choroby rzadkie nie zawsze pozwala na odzyskanie zainwestowanego w badania kapitału
- wprowadzenie leku sierocego na rynek jest ograniczone zezwoleniem czasowym
- wymagane jest prowadzenia rejestrów wyników leczenia i przekazywanie nowych informacji dla przedłużenia licencji.

RZADKIE CHOROBY

JAKO PRIORYTET PROGRAMU ZDROWIA PUBLICZNEGO I PROGRAMU W DZIEDZINIE BADAŃ NAUKOWYCH UE

- W grudniu 1999 r. UE przyjęła rozporządzenie, które ułatwiło wynajdywanie i produkcję tzw. leków sierocych
- Unia wspiera działalność organizacji osób chorych i ich rodzin: Eurordis oraz Orphanet
- W Białej Księdze "Razem dla zdrowia. Podejście strategiczne UE na lata 2008-2013", i w przyjętej w dniu 23 października 2007 strategii zdrowia UE (Decyzja nr 1350/2007/EC PE i Rady ustanawiająca drugi program działań Wspólnoty w obszarze zdrowia w latach 2008-2013) można znaleźć zapisy odnoszące się do zapobiegania i leczenia specyficznych schorzeń, w tym zaburzeń genetycznych, a także promujące działania na rzecz zapobiegania rzadkim chorobom

CHOROBY RZADKIE
WSPÓŁPRACA MIĘDZYNARODOWA

- W Stanach Zjednoczonych w 1984, w Japonii w 1993, w Australii w 1997 a w Unii Europejskiej w 2000 roku została wydana dyrektywa 141/2000, która ma za zadanie stymulować rozwój terapii na choroby rzadkie czyli produkcję *orphan medical products, orphan drugs - leki sieroce.*

- **„Orphan medical products" obejmują metody:**

- diagnostyczne *(aparatura,odczynniki)*
- prewencyjne *(metody wczesnego wykrywania, skriningi)*
- lecznicze (*leki*)

http://www.fda.gov/orphan/oda.htm

http://pharmacos.eudra.org/F2

LEKI SIEROCE

- Producenci leków sierocych korzystają ze specjalnych przywilejów na przykład ulg podatkowych, wyłączności na określony czas. Produkcja leków sierocych korzysta z tych przywilejów bowiem nie jest ona rozwijana wyłącznie dla celów ekonomicznych, ale ze względu na potrzeby zdrowotne społeczeństwa.

- Wprowadzanie nowych skutecznych terapii, poza aspektem medycznym i społecznym stanowi ważną inwestycję intelektualną generującą postęp.

NEW GUIDELINES ON THE APPLICATION OF CERTAIN ASPECTS OF THE ORPHAN MEDICINES REGULATION PUBLISHED 30/09/2008

The European Commission has published two guidelines concerning the application of Articles 8(1), (2) and (3) of Regulation (EC) No 141/2000 on orphan medicinal products. These relate to:

- the possibility for Member States to inform the European Medicines Agency that the criteria on which market exclusivity was granted may no longer be met (potentially resulting in the market exclusivity period for the medicine concerned being shortened); and
- assessment of the similarity of medicinal products, which is a requirement for accepting marketing authorisations when

ZDEFINIOWANIE PROBLEMU CHORÓB SIEROCYCH Z PERSPEKTYWY PRAW CZŁOWIEKA

- **Definicja diagnostyczna:** choroba rzadka = zapadalność poniżej 1:2 000

  Komentarz. Bazowanie na katalogu chorób, który jest niepełny

- **Ocena wpływu na upośledzenie zdrowia i funkcjonowanie dziecka** *Komentarz.* Uwzględnienie zależności od leków, aparatury i sprzętu, opieki medycznej; bierze się pod uwagę podobieństwo specyficznych skutków różnych chorób i problemów zdrowotnych.

- **Osoby o specjalnych potrzebach w zakresie opieki zdrowotnej** przewlekle niepełnosprawne fizycznie, psychicznie (także te o podwyższonym ryzyku niepełnosprawności), których potrzeby co do rodzaju i zakresu opieki medycznej i okołomedycznej przekraczają potrzeby ogółu dzieci chorych.

  Komentarz. Tu jest inna podstawa wyjściowa. Upodmiotowiony jest pacjent i oczywista staje się konieczność sprecyzowania świadczeń medycznych i okołomedycznych.

OCENA, Z PERSPEKTYWY PRAW CZŁOWIEKA, STOPNIA WYPEŁNIENIA POTRZEB OSÓB CHORYCH NA RZ. CHOROBY

- Pozwala na zobiektywizowanie oceny efektów działań podejmowanych przez instytucje i organy
- Wymusza uzyskanie wiarygodnych danych co do stopnia wypełniania tych podstawowych praw w odniesieniu do konkretnego pacjenta i rodziny, a także całej populacji chorych

PYTANIA, NA KTÓRE NALEŻY ODPOWIEDZIEĆ PRZY OCENIE EFEKTÓW DZIAŁAŃ OD STRONY PRAW CZŁOWIEKA

(prawo do zdrowia, prawo do edukacji, prawo do godziwych warunków socjalnych, prawo do żywienia…)

- Czy w procesie tworzenia i wdrażania programu uwzględniono monitorowanie i ewaluację? (***M &E***)
- Czy określona została odpowiedzialność za wykonanie zadań i wykorzystanie środków? (***accountability)***
- Czy zachowany jest równy dla wszystkich chorych dostęp do odpowiedniego standardu postępowania leczniczego i opieki? (***non-discrimination***)

- Czy kierowanie programem, finansami, podejmowanie decyzji, zdefiniowanie kryteriów objęcia programem bądź wyłączenia jest w pełni przejrzyste (*transparency)*

- Czy korzystanie z programu nie wiąże się z naruszeniem ludzkiej godności? (*human dignity*)

- Czy osoby chore, dzieci i ich rodzice są znajdują wsparcie w procesie leczenia? (*empowerment*)

- Czy wdrożenie programu nastąpiło zgodnie z przepisami prawa *(rule of law)* i istnieją procedury odwoławcze (*recourse mechanisms),* dające osobom chorym, rodzicom i dzieciom możliwość uwzględnienia ich roszczeń?

ZESPÓŁ DS. CHORÓB RZADKICH

- 21 lipca 2008 roku Minister Zdrowia powołała Zespół ds. Chorób Rzadkich z szerokimi uprawnieniami, m.in. formułowanie zaleceń w zakresie opieki i terapii chorych; opracowywanie informacji lub stanowisk dotyczących stosowania leków;

ale

- ***Przekazywane informacje i stanowiska nie mają charakteru wiążącego i mogą być przez Zespół ds. Gospodarki Lekami nie uwzględnione***

DZIĘKUJĘ ZA UWAGĘ