



Πρόσβαση στα Ορφανά φάρμακα

Ελλη Γαβριήλ

Θεσσαλονίκη, Οκτώβριος 2013



Το 1980 η μητέρα του Adam Seligman ενός 7 χρονου αγοριού που υπέφερε από το σύνδρομο Tourette με φρίκη διαπίστωσε ότι το φάρμακο που βελτιώνει την ποιότητα ζωής του γιού της και το έφερνε από τον Καναδά, κρατήθηκε στο τελωνείο διότι δεν είχε άδεια κυκλοφορίας στις ΗΠΑ... Χρειάστηκαν :

- οι άοκνες προσπάθειες αυτής της μητέρας και άλλων γονέων ασθενών με σπάνια νοσήματα
- ένας γερουσιαστής που ευαισθητοποιήθηκε
- ένας δημοσιογράφος από τους LA Times που με τα άρθρα του προσπάθησε να αναδείξει το θέμα
- ο ηθοποιός Jack Klugman που εκείνη την εποχή πρωταγωνιστούσε στη δημοφιλή ιατρική σειρά Quincy και γύρισε ειδικό επεισόδιο αφιερωμένο στις σπάνιες παθήσεις με τη βοήθεια ασθενών και των συγγενών τους
- και 3 ολόκληρα χρόνια
- προκειμένου να ψηφιστεί το 1983 το νομοθετικό πλαίσιο η Orphan Drug Act που παρείχε οικονομικά κίνητρα στις φαρμακευτικές εταιρείες προκειμένου να αναπτύξουν φάρμακα για τις σπάνιες παθήσεις.



Adam Seligman





Η ODA
αναγνωρίζεται ως
ένας από τους πιο
επιτυχημένους
νόμους στην
σύγχρονη ιστορία
των ΗΠΑ

1983: Orphan Drug Act

- Οικονομικά κίνητρα στις φαρμακευτικές εταιρείες προκειμένου να αναπτύξουν φάρμακα για σπάνιες παθήσεις
- Αποκλειστικότητα για 7 χρόνια
- Φορολογικές ελαφρύνσεις έως 50% του κόστους ανάπτυξης
- Επιδοτήσεις και συμβόλαια για κλινικές μελέτες
- Fast track ανάπτυξη και έγκριση



Πόσο «σπάνιες» είναι οι σπάνιες παθήσεις



Σπάνιες παθήσεις

Δεν υπάρχει ενιαίος ορισμός

Η WHO ορίζει ως σπάνιο
0.65-1/1000 άτομα

ΕΕ < 5/10.000 άτομα

ΗΠΑ < 200.000 άτομα

Ιαπωνία < 50.000 άτομα

Αυστραλία < 2.000 άτομα

- Μέχρι σήμερα έχουν καταγραφεί > 7000 σπάνιες παθήσεις
- 5 νέες σπάνιες παθήσεις περιγράφονται στην ιατρική βιβλιογραφία κάθε βδομάδα
- 80-90% είναι σοβαρές ή απειλητικές για τη ζωή
- Στην ΕΕ και ΗΠΑ > από 55 εκατ. άνθρωποι υποφέρουν από κάποια σπάνια πάθηση



Γιατί ονομάζονται Ορφανά;

Ορφανά θεωρούνται και τα φάρμακα για παθήσεις του 3^{ου} κόσμου (π.χ τροπικές παθήσεις)

- Αντίθετα με τις σπάνιες παθήσεις, τα φάρμακα που χρησιμοποιούνται για την αντιμετώπιση τους είναι όντως «σπάνια»
- < 70 φάρμακα έχουν χαρακτηριστεί ως ορφανά από τον EMA και ~ **200** από τον FDA
 - < 5 % των σπανίων ασθενειών έχουν εξειδικευμένη και εγκεκριμένη φαρμακευτική αγωγή



Ένα πραγματικό «success story»



Η Orphan Drug Act έκανε τη διαφορά...

- Πριν το 1983 μόνο 10 ορφανά φάρμακα κυκλοφορούσαν στις ΗΠΑ
- 1984-1994 εγκρίθηκαν 108
- 1995-2005 εγκρίθηκαν 160

1983	16 φάρμακα έκαναν αίτηση	Εγκρίθηκαν 2
2009	250 φάρμακα έκαναν αίτηση	Εγκρίθηκαν 17
2010	323 φάρμακα έκαναν αίτηση	Εγκρίθηκαν 14



Ανάπτυξη Ορφανών Φαρμάκων

- Στη δεκαετία 2001-2010 ο ετήσιος ρυθμός αύξησης των ορφανών φαρμάκων ήταν 25,8% ενώ των μη ορφανών 20,1%

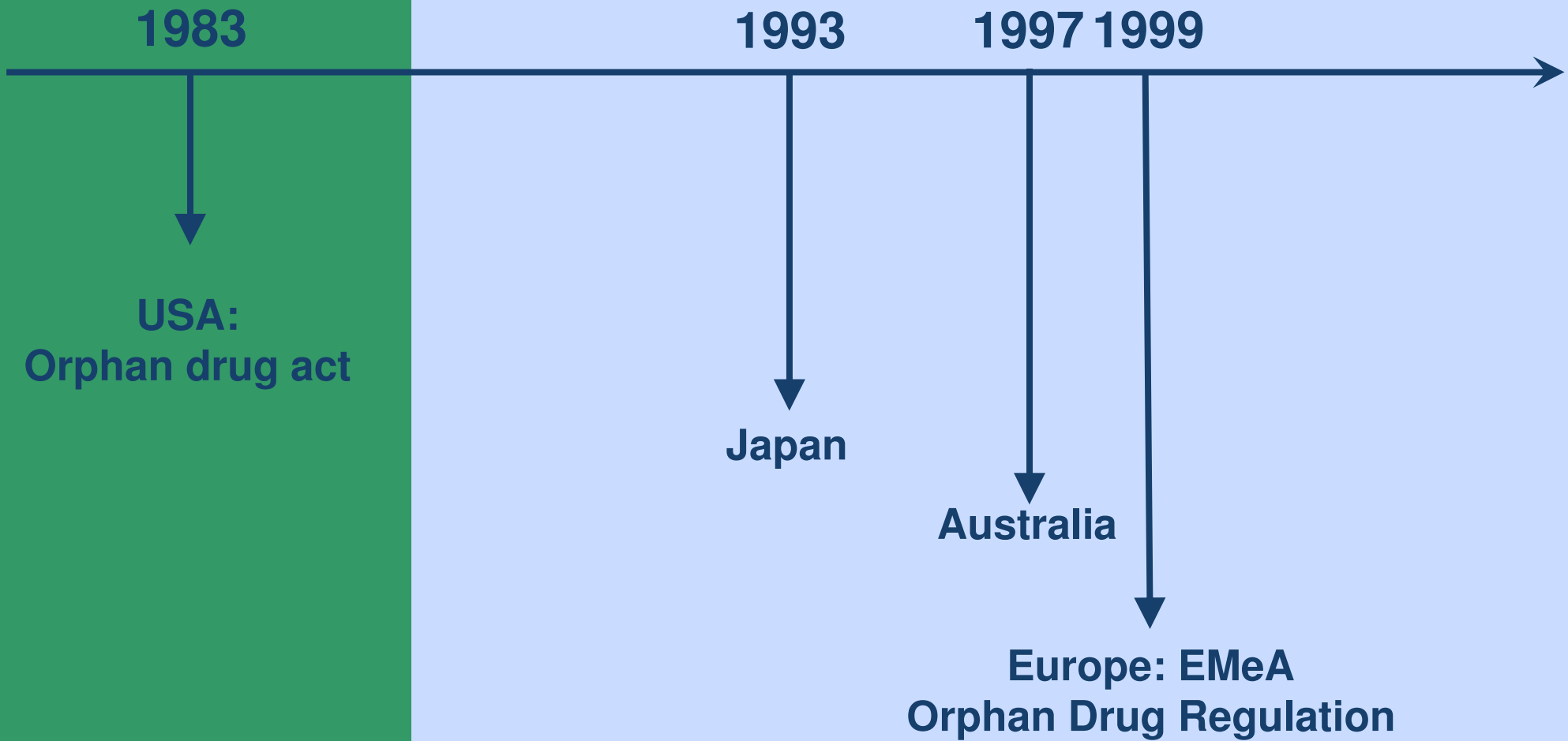
Η μικρή αγορά αντισταθμίζεται από την υψηλή τιμή λόγω μικρού ανταγωνισμού και απόλυτης ανάγκης

Οι σπάνιες παθήσεις αφορούν το 6-8% του πληθυσμού, όμως λιγότερες από 5% έχουν εγκεκριμένη φαρμακευτική αγωγή

2003	28 δις \$
2006	58,7 δις \$
2014 (εκτίμηση)	112,1 δις \$



Σημαντικές ημερομηνίες





1999: Orphan medicinal regulation

- 2000-2009 έγιναν 873 φάρμακα έκαναν αίτηση για να χαρακτηριστούν «ορφανά», 598 έλαβαν θετική γνωμοδότηση, 60 πήραν άδεια κυκλοφορίας

• Στην Ευρώπη υπολογίζεται ότι 30 εκατ. άνθρωποι υποφέρουν από κάποια σπάνια πάθηση

Το ετήσιο κόστος αυτών των θεραπειών κυμαίνεται 6.000 - 500.000 ευρώ, όμως

- Το κόστος των ορφανών φαρμάκων είναι <1% των συνολικών φαρμ. δαπανών



1999: Orphan medicinal regulation

- Η Orphan medicinal regulation είχε ως αποτέλεσμα περισσότερες θέσεις εργασίας στην ΕΕ, αύξηση της R&D
- Τα κίνητρα αυτής της ρύθμισης έδωσαν τη δυνατότητα σε μικρότερες εταιρείες να αναπτύξουν ορφανά προϊόντα
- Οι εθνικές κυβερνήσεις στα κράτη μέλη αποφασίζουν για το αν θα αποζημιώνονται και ποιά φάρμακα. Δεν έχουν όλοι οι Ευρωπαίοι πολίτες ίδια πρόσβαση στη φαρμακοθεραπεία



Πρόσβαση στα ορφανά φάρμακα

- 65 φαρμακευτικά προϊόντα έχουν χαρακτηριστεί ως «ορφανά» (EMeA)
- Στην Ελλάδα : 38 έχουν πάρει τιμή και **15** εισάγονται μέσω ΙΦΕΤ (Οκτ. 2013)
- Το πρόσφατο δελτίο τιμών περιλάμβανε 7 Ορφανά φάρμακα, από τα οποία 5 είχαν ήδη εισαχθεί μέσω ΙΦΕΤ
- Η πλειοψηφία των ορφανών φαρμάκων που κυκλοφορούν στη χώρα μας πρωτοεισήχθησαν μέσω ΙΦΕΤ





Το ΙΦΕΤ και τα ορφανά φάρμακα

- Εκτός από τα παραπάνω φάρμακα που αποτελούν το 23% του κόστους των αγορών του ΙΦΕΤ (2012), το ΙΦΕΤ εισάγει ακόμα **34** φαρμακευτικά προϊόντα που χαρακτηρίζονται ως ορφανά από τον FDA.
- Συνολικά άνω του 56% του κόστους των αγορών του ΙΦΕΤ (2012) αφορά σε φάρμακα για σπάνιες παθήσεις





Το ΙΦΕΤ και τα ορφανά φάρμακα

Κόστος εισαγωγής ορφανών φαρμάκων (ευρώ)

2010	2011	2012
5.800.000	8.200.000	12.800.000
% στο σύνολο εισαγωγών του ΙΦΕΤ		
33%	35%	>56%





Το ΙΦΕΤ παρέχει πρόσβαση στα ορφανά φάρμακα

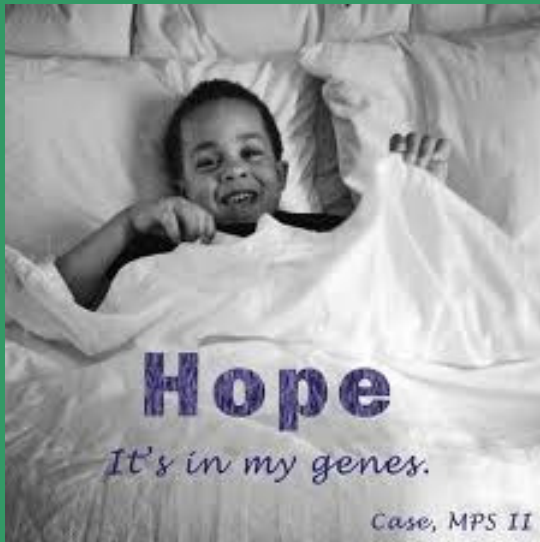
- Πολλοί ασθενείς επωφελήθηκαν από τη χρήση των φαρμάκων πριν αυτά κυκλοφορήσουν στη χώρα μας
- Αρκετοί γιατροί τα συνταγογράφησαν
- Βοηθήθηκαν και οι φαρμακευτικές εταιρείες στην προσπάθειά τους ενάντια στην υποδιαγνωσιμότητα των σπάνιων ασθενειών.





Τα φάρμακα που διακινεί το ΙΦΕΤ

- Τα υπόλοιπα είναι φαρμακευτικά προϊόντα -απαραίτητα για τη δημόσια υγεία- που δεν κυκλοφορούν στη χώρα μας διότι δεν παρουσιάζουν εμπορικό ενδιαφέρον για τις φαρμακευτικές εταιρείες, είτε για λόγους τιμής, είτε γιατί έχουν μικρή κίνηση.





Ειδικότερα το 2012

- Το ΙΦΕΤ εισήγαγε περίπου 600 διαφορετικά φαρμακευτικά προϊόντα (από 1 κουτί έως μερικές χιλιάδες) τα οποία διατέθηκαν στα νοσοκομεία (~60% σε αξίες) και σε φαρμακαποθήκες-φαρμακεία (~40% σε αξίες)
- Η προμήθεια αυτών των προϊόντων έγινε –μετά από ενδεδειγμένη έρευνα αγοράς- από τους παραγωγούς/αντιπροσώπους παραγωγών (66% σε αξίες), είτε από φαρμακαποθήκες του εξωτερικού.
- Το κόστος των φαρμακευτικών προϊόντων που εισάγει το ΙΦΕΤ αντιπροσωπεύει μόλις το 0,4% της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης στην Ελλάδα





Υπηρεσία άμεσης δράσης στο χώρο του φαρμάκου

Επίσης το ΙΦΕΤ καλείται να καλύψει την ελληνική αγορά σε έκτακτες περιπτώσεις ελλείψεων, είτε σε επείγοντα μεμονωμένα περιστατικά. Λειτουργεί ως **υπηρεσία άμεσης δράσης στο χώρο του φαρμάκου** με στόχο:

1. την έγκαιρη κάλυψη,
2. την καλύτερη δυνατή τιμή.





Υπηρεσία άμεσης δράσης στο χώρο του φαρμάκου

Μερικά παραδείγματα φαρμάκων που είναι σε έλλειψη και εισάγονται μέσω ΙΦΕΤ (2012)

- Dacarbazine [κακοήθη νεοπλασμάτα, λεμφώματα]
- Glyceril trinitrate [στηθάγχη]
- Augmentin inj [αντιβιοτικό].
- Erbitux [καρκίνος παχέος εντέρου]
- Etoposide [αντινεοπλασματικό]





- Το ΙΦΕΤ **ΔΕΝ** επιδοτείται από τον κρατικό προϋπολογισμό. Τα έσοδά του προκύπτουν από τις πωλήσεις των προϊόντων.
- Το ΙΦΕΤ λειτουργεί ως ανώνυμη εταιρεία, που όμως στην πράξη, παρέχει ανοικτή πίστωση στα δημόσια νοσοκομεία οι οφειλές των οποίων υπερβαίνουν τα 20 εκατ. ευρώ και η καθυστέρηση στην εξόφλησή τους υπερβαίνει το 18μηνο.





Είμαστε ακόμα στην αρχή ...



- Τα ορφανά φάρμακα είναι μόνο 30 ετών ...
- Για το 95% των παθήσεων δεν υπάρχει εξειδικευμένη φαρμακευτική αγωγή
- Λόγω της προσπάθειας των ασθενών, των οικογενειών και των συλλόγων τους, των ανθρώπων που νοιάζονται, υπάρχει σήμερα νομοθετικό πλαίσιο και δίνονται κίνητρα ανάπτυξης





- Είναι σωστό να δαπανώνται τόσα πολλά για τόσους λίγους;
- Οι ασθενείς των σπανίων παθήσεων δεν δικαιούνται το ίδιο επίπεδο υπηρεσιών υγείας όπως και οι υπόλοιποι ασθενείς;
- Τα συστήματα υγείας θα αποφασίζουν μόνα τους; Δεν πρέπει να θεσμοθετηθεί

η συμμετοχή των ασθενών;





- Ο κάτοχος άδειας κυκλοφορίας δεν πρέπει να μοιραστεί μέρος του κόστους αν το προϊόν δεν αποδειχθεί τόσο αποτελεσματικό όσο αρχικά προβλεπόταν;
- Είναι η υψηλή τιμή των φαρμάκων δεδομένη και για πόσο καιρό; Οι εταιρείες παραγωγής θα πρέπει να κρατούν τα σημερινά πλεονεκτήματα για πάντα;



Σας ευχαριστώ για την προσοχή σας

