

2004

5

Здравен мениджмънт

2004, том 4, № 5

2004, vol 4, № 5



**АДМИНИСТРАТОРЪТ И МЕНИДЖЪРЪТ –
КОЙ КАК Е ВГЛЕДАН В БЪДЕЩЕТО**



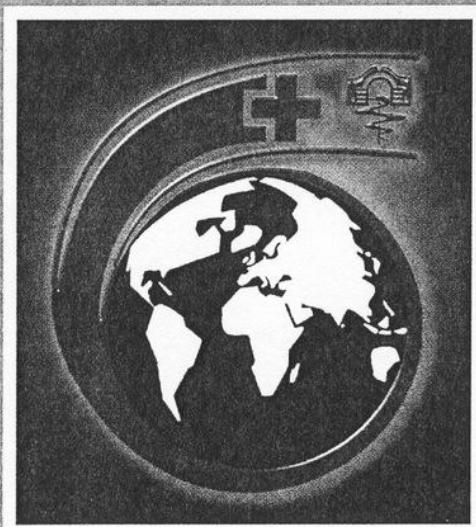
**ЗАЩИТЕН ЛИ Е
ИМУННИЯТ СТАТУС НА ЧОВЕКА**



**АКО ПСИХОЛОГЪТ ПОМАГА НА МЕНИДЖЪРА,
КАКВА Е ОБЩАТА ИМ ПЕРСПЕКТИВА**



**КОИ СА ВАЖНИТЕ ВЪПРОСИ, СВЪРЗАНИ
СЪС ЗДРАВНОТО ЕКОЛОГИЧНО ВЪЗПИТАНИЕ**



СЪЗДАВАНЕ НА НАЦИОНАЛНА ПОЛИТИКА ЗА РЕДКИТЕ ЗАБОЛЯВАНИЯ И ЛЕКАРСТВА-СИРАЦИ В БЪЛГАРИЯ

Р. Стефанов*

ESTABLISHMENT OF A NATIONAL POLICY ON RARE DISEASES AND ORPHAN DRUGS IN BULGARIA

R. STEFANOV

Резюме: Всяко отделно рядко заболяване засяга сравнително малка част от населението, но като цяло редките заболявания представляват сериозен проблем за общественото здравеопазване понеже става въпрос за здравно осигурени пациенти, които са лишени от шанса да получат съвременно лечение. Фармацевтичната индустрия няма интерес да инвестира в разработката на лекарства за тези пациенти (т.нар. лекарства-сираци) поради високите разходи и ниската възвращаемост. Извършва се преглед на световната практика по отношение на редките заболявания. Отправят се конкретни предложения и насоки към съответните инстанции за създаване на национална политика за редките заболявания и лекарства-сираци в България.

Summary: Each rare disease affects comparatively small part of the population, but as a whole, rare diseases emerge as a serious public health problem because health insured patients are not offered the chance to receive a contemporary medical treatment. The pharmaceutical industry is not interested in investments in R&D of orphan drugs because of the high expenses and low returns. A review of the world practice on rare diseases is done. Specific suggestions and terms of reference to the respective authorities are tendered towards the establishment of a national policy on rare diseases and orphan drugs in Bulgaria.

ВЪВЕДЕНИЕ

Редките заболявания (РЗ) наброяват повече от 5000 и представляват около 10% от всички човешки болести и недъзи [1]. Всяко отделно заболяване засяга сравнително малка част от населението, но като цяло редките заболявания представляват сериозен проблем за общественото здравеопазване, понеже става въпрос за здравно осигурени пациенти, които са лишени от шанса да получат съвременно лечение. Тези пациенти, заедно, със своите семейства, се чувстват изоставени и отхвърлени от здравната система.

Съвременната медицина и биотехнологии са на ниво, позволяващо да бъде открито и осигурено лечение на голяма част от редките заболявания. Въпреки това, необходимите лекарства липсват главно поради факта, че тяхната разработка и внедряване няма положителен икономически ефект и не носи печалба за фармацевтичната индустрия. Разходите по изследователска работа и внедряване (R&D) на нови лекарства непрекъснато растат, поради използването на все по-скъпи методики на генетично и молекуларно ниво и увеличаващите се разходи за клинични проучвания. Според прогнозите на някои аналитици, разходите за R&D на едно лекарство може да достигнат 300 милиона евро в близките години [2]. Поради това, фармацевтичната индустрия фокусира своята продукция към заболявания, засягащи голяма част от населението (ИБС, диабет, язвена болест и др.) [3]. Възниква необходимостта от предприемане на

* Катедра „Социална медицина и здравен менеджмент“, Медицински Университет, Пловдив; Клинично-изследователски център по редки заболявания, Институт за фармакологични проучвания „Марио Негри“, Италия
e-mail: rumen.stefanov@email.it

обществено-здравни и икономически инициативи на национално и международно ниво, които да насърчат фармацевтичните и биотехнологични фирми да разработват лекарства за редки заболявания (т. нар. лекарства-сираци).

ЗАКОНОВА УРЕДБА ПО СВЕТА

За първи път, определение за „рядко заболяване“ е дадено от Конгреса на САЩ в Закона за лекарствата-сираци (Orphan Drug Act) през 1983 г. [4]. Според този закон, за рядко се приема заболяване, което засяга по-малко от 200 000 американци (болестност 0.75 на 1000 человека). През 1993 г., Япония приема специална наредба за лекарствата-сираци (Orphan Drug Regulation), определяща като редки състояния с болестност до 0.4 на 1000 человека [5]. Най-консервативна е здравната политика на Австралия, регламентирана със закон през 1997 г. (Orphan Drug Policy), според която редките заболявания трябва да имат болестност до 0.1 на 1000 человека [6]. Едва през 1999 г., Европейският парламент гласува наредба за редките заболявания и лекарства-сираци и приема дефиниция, определяща като „рядко“ всяко състояние, засягащо не повече от 5 на 10 000 человека от Европейската общност (болестност 0.5 на 1000) [7].

Всички тези закони предвиждат редица права и облекчения за фармацевтичните фирми, регистрирали лекарство-сирак. В САЩ, получилите регистрация продукти-сираци имат право на федерален данъчен кредит в размер на 50% от разходите за клинично проучване, безплатна процедура по регистрация и 7 годишно изключително право за производство и продажба, през което време не се издава разрешение на друга фирма да регистрира продукт със същите индикации. Подобен режим и облекчения с известни вариации в размера на данъчните облекчения и периода на изключително право за производство и продажба са въведени още в Япония, Сингапур и Австралия. В резултат на тези мерки, до средата на 2003 г. в света са регистрирани повече от 1000 медицински продукти с индикации за приложение при редки заболявания.

ЗАКОНОВА УРЕДБА НА ЕВРОПЕЙСКИЯ СЪЮЗ (ЕС)

Предвид перспективите пред България за пълноправно присъединяване към Европейския съюз през 2007 г., интерес представляват инициативите и опита на другите Европейски държави. Основен законодателен документ за ЕС е Наредба №141/2000 г. на Европейския парламент относно медицинските продукти-сираци (приета на 16 Декември 1999, публикувана на 22 Януари 2000 г.) [8]. Според тази наредба, медицински продукт-сирак може да бъде регистриран, ако бъде доказано, че е:

- Предназначен за диагностика, профилактика или лечение на животозастрашаващо или хронично болестно състояние, засягащо не повече от 5 на 10 000 души от Общината към дадения момент – или –
- Предназначен за диагностика, профилактика или лечение на животозастрашаващо или сериозно хронично болестно състояние, но маркетингът на медицинския продукт няма да може да генерира достатъчна възвращаемост, която да оправдае разходите по неговото разработване, производство и регистрация.

Необходимо и задължително условие е да не съществува задоволителен метод за диагностика, профилактика или лечение на даденото състояние, или ако такъв метод съществува, предложението продукт да бъде от значителна полза за пациентите.

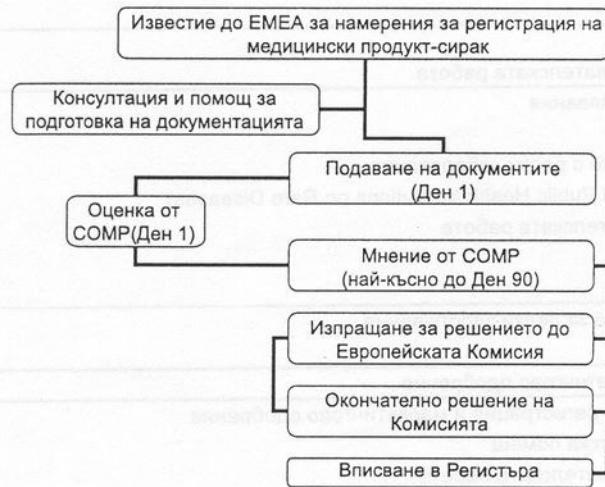
Поощренията към фармацевтичните фирми, желаещи да регистрират медицински продукт-сирак в ЕС, се състоят най-общо в:

- Гарантиране на 10-годишно изключително право за производство и продажба на регистрирания продукт-сирак;
- Научна консултация и помощ на кандидата в процеса на регистрация;
- Директен достъп до централизираната процедура на Европейската агенция по лекарствата (European Agency for the Evaluation of Medicinal Products – EMEA) за искане на маркетингово одобрение;
- Финансови облекчения по отношение на таксите за регистрация, научна помощ и маркетингово одобрение (намаление на отделните такси между 50 и 100%);

• Възможност за финансиране на научно-изследователската работа от фондове на Европейския съюз и от национални програми на отделните страни-членове.

Към Европейската агенция по лекарства ЕMEA се създава Комисия по лекарствени продукти-сираци (*Committee for Orphan Medicinal Products – COMP*), която разглежда всяка молба за регистрация на медицински продукт-сирак и оказва помощ по време на регистрацията. Цялата процедура е значително ускорена, като максималния срок до получаване на одобрение или отхвърляне е 120 дена (*Диаграма 1*).

Диаграма 1
Процедура по регистрация на медицински продукт-сирак в Европейския съюз



Само за първия 3-годишен мандат на COMP (Април 2000 – Април 2003), в ЕMEA са получени 235 молби за регистрация на медицински продукти-сираци. От тях, 127 са преминали през всички етапи на одобрение и регистрация от COMP, а 11 са получили впоследствие и маркетингово одобрение (*Таблица 1*) [9].

Почти всички страни от ЕС, в една или друга степен, ѝмат приета национална политика по отношение на редките заболявания и лекарства-сираци. По-важните инициативи и приоритети за някои от страните на ЕС са представени на *Таблица 2* [10].

Таблица 1
Регистрация на медицински продукти-сираци от COMP/EMEA за периода 2000–2003 г.

| Подадени молби | Изтеглени молби | Позитивно мнение от COMP | Вписани в Регистъра на ЕО |
|----------------|-----------------|--------------------------|---------------------------|
| 2000 | 72 | 3 | 26 |
| 2001 | 83 | 25 | 62 |
| 2002 | 80 | 24 | 49 |
| Всичко | 235 | 52 | 137 |
| | | | 127 |

ЗДРАВНА ПОЛИТИКА НА БЪЛГАРИЯ

В България липсва официална политика по отношение на редките заболявания и лекарства-сираци. Нито една от наредби на ЕС за редки заболявания и лекарства-сираци не е одобрена или приета от Министерството на Здравеопазването (МЗ). Има създадени асоциации на пациенти с отделни редки заболявания, които се опитват да защитят правата на своите членове, но не срещат разбиране и подкрепа от страна на държавата.

В резултат на това, се предлага повдигане на дебат в здравно-управленческите, научни и обществени среди в България по въпроса за редките заболявания и лекарства-сираци, като същевременно се отправят следните предложения и препоръки към МЗ и Националната Здравно Осигурителна Каса (НЗОК):

1. Включване на редките заболявания в Националната здравна стратегия „Подобро здраве за по-добро бъдеще на България“.
2. Създаване на Национален център по редки заболявания, който да бъде отговорен за:
 - 2.1. Създаване и изпълнение на Национална програма за редките заболявания.
 - 2.2. Създаване на безплатен Информационен център за редки заболявания в услуга на болни, лекари, асоциации на пациенти и други заинтересовани.
 - 2.3. Създаване на Национален регистър на пациенти с редки заболявания
 - 2.4. Създаване на мрежа от регионални центрове по редки заболявания

Инициативи и приоритети в националните политики на страните от ЕС по отношение на редките заболявания и лекарства-сиради

| Държава | Национални инициативи и приоритети |
|----------------|--|
| Австрия | <ul style="list-style-type: none"> • Премахване на таксите, свързани с регистрация и маркетингово одобрение • 50% намаление на таксите за маркетингово одобрение |
| Белгия | <ul style="list-style-type: none"> • 75% намаление на таксите за поддръжка на лицензите • Реимбурсация |
| Великобритания | <ul style="list-style-type: none"> • Безплатна специализирана научно-консултантска помощ • Ускорено маркетингово одобрение • Намаляване на документацията по регистрация и маркетинговото одобрение • Намаление на таксите за маркетингово одобрение • Намаление на таксите за поддръжка на лицензите • Данъчни кредити • Семинари и работни срещи |
| Германия | <ul style="list-style-type: none"> • Намаляване на документацията по регистрация и маркетинговото одобрение • Стимулиране на клинично-изследователската работа |
| Дания | <ul style="list-style-type: none"> • Намаление на таксите за маркетингово одобрение • Безплатна специализирана научно-консултантска помощ • Национални работни групи • Център за редки заболявания |
| Испания | <ul style="list-style-type: none"> • Ускорено маркетингово одобрение • Стимулиране на клинично-изследователската работа |
| Италия | <ul style="list-style-type: none"> • Национален център по редки заболявания • Мрежа от регионални центрове • Национален регистър на пациентите с редки заболявания • Създаване на NEPHIRD (Network of Public Health Institutions on Rare Diseases) • Стимулиране на научно-изследователската работа • Семинари и работни срещи • Реимбурсация |
| Луксембург | <ul style="list-style-type: none"> • Подкрепяне на Фондация Englehorn за редки заболявания • Семинари и работни срещи |
| Португалия | <ul style="list-style-type: none"> • 50% намаление на таксите за маркетингово одобрение • Премахване на таксите, свързани с регистрация и маркетингово одобрение |
| Финландия | <ul style="list-style-type: none"> • Специализирана научно-консултантска помощ • Стимулиране на клинично-изследователската работа • Семинари и работни срещи |
| Франция | <ul style="list-style-type: none"> • Проекти за изследване на генома • Програма за стимулиране на клинично-изследователската работа в болниците • Освобождаване от: <ul style="list-style-type: none"> о Данъка върху разходите за промоция о Данъка, който плащат лабораториите на Френската агенция по безопасност на медицинските продукти • Подпомагане на организации, занимаващи се с редки заболявания (Orphanet, Allo-genes, Eurordis и др.) • Допълнително финансиране на болници за поощряване внедряването на нови лекарства и технологии • Семинари и работни срещи |
| Холандия | <ul style="list-style-type: none"> • Национален център по редки заболявания • Създаване на списък с приоритетни заболявания и стимулиране на изследователската работа за тях • Намаление на данъци и отстъпки • Реимбурсация |
| Швеция | <ul style="list-style-type: none"> • Намаление на таксите за маркетингово одобрение • База данни на редки състояния |

- към 5-те Университетски болници в София, Пловдив, Стара Загора, Варна и Плевен.
- 2.5. Изготвяне и актуализация на списък на редки заболявания, чиито диагностика, профилактика и лечение да бъдат реимбурсирани от НЗОК.
 - 2.6. Здравнопросветна дейност (семинари, работни срещи, експертни групи и др.) и експертна помощ
 3. Подготвяне и приемане на Наредба за регистрация на медицински продукти-сираци, като се вземе най-доброто от опита и законодателството на другите Европейски държави
 4. Пълна реимбурсация на разходите по диагностика, профилактика и лечение на пациенти с редки заболявания.

БЛАГОДАРНОСТ

Авторът благодари на д-р Ерика Дайна от Клинично-изследователския център по редки заболявания към Института за фармакологични проучвания „Марио Негри“ (Италия) за огромната помощ и подкрепа в това начинание.

ЛИТЕРАТУРА

- 1 Tambuyzer ET. The European orphan medicinal products regulation. *Journal of Biolaw and Business* 2000; 4 (1):57–59
- 2 Lamy S. Orphan Drugs, Final Report. European Parliament, Directorate General for Research, Committee on the environment, Public Health and Consumer Protection, 1999
- 3 Taruscio D, Ido MS, Daina E, Schieppati A. Tackling the problem of rare diseases in public health: The Italian approach. *Community Genetics* 2003; 6(2):123–124
- 4 The Orphan Drug Act. *Public Law 97–414*. Washington, DC: January 4, 1983.

- 5 Ministry of Health, Labor and Welfare (MHLW) Japan. Annual Reports on Health and Welfare 1998–1999 Social Security and National Life. Available at <http://www.kiko.go.jp/English/Product.html>
- 6 Commonwealth Department of Health and Family Services. Therapeutic Goods Administration. ORPHAN Drug Program. Canberra Australia Jan. '98. <http://www.health.gov.au/hfs/tga/docs/html/orphan.htm>
- 7 European Commission. Decision No. 1295/1999/EC of the European Parliament and of the Council of 29 April 1999. A program of community action on rare disease within the framework for action in the field of public health (1999–2003). Official Journal L. 155, 22/06/1999 p. 0001.
- 8 European Commission. Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December on orphan medicinal products. Official Journal L. 018, 22/01/2000 p. 0001–0005.
- 9 The European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. Report on the first 3-year mandate of the Committee for Orphan Medicinal Products (COMP). EMEA, London, 2003.
- 10 The EC Pharmaceutical Committee. Inventory of Community and national incentive measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products, revision 2002. Office for Official Publications of the European Communities, 2002

АДРЕС ЗА КОРЕСПОНДЕНЦИЯ

РУМЕН СТЕФАНОВ

КАТЕДРА „СОЦИАЛНА МЕДИЦИНА И ЗДРАВЕН МЕНИДЖМЪНТ“, МЕДИЦИНСКИ УНИВЕРСИТЕТ, ПЛОВДИВ;
 * КЛИНИЧНО-ИЗСЛЕДОВАТЕЛСКИ ЦЕНТЪР ПО РЕДКИ
 ЗАБОЛЯВАНИЯ, ИНСТИТУТ ЗА ФАРМАКОЛОГИЧНИ
 ПРОУЧВАНИЯ „МАРИО НЕГРИ“, ИТАЛИЯ
 E-MAIL: RUMEN.STEFANOV@EMAIL.IT