

## Choroby rzadkie: czy możliwa będzie jedna cena leku w całej Europie?

Terapie stosowane w chorobach rzadkich powinny być finansowane z oddzielnego budżetu. Obecnie rywalizują z chorobami "powszechnymi", chociaż mamy świadomość, że mimo wysokich kosztów nie uzyskuje się widocznego efektu zdrowotnego - ocenia dr Dariusz Rokicki z Kliniki Chorób Metabolicznych, Endokrynologii i Diabetologii Centrum Zdrowia Dziecka.



Temat finansowania drogich terapii często pojawiał się w trakcie XI Europejskiej Konferencji Chorób Rzadkich w Spale (28-30 czerwca br.). Nie dość, że choroby są nieuleczalne, rzadkie, brakuje leków i odpowiedniej opieki, to obecny model finansowania nie uwzględnia ich specyfiki.

W marcu br. członkowie Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkich działającego w Centrum Zdrowia Dziecka, z uwagi na brak dowodów skuteczności zastosowanego leczenia, zdecydowali o zaprzestaniu terapii pacjenta z zespołem Huntera (mukopolisacharydoza typu II).

### Kto daje i odbiera...

- Zespół decyduje na podstawie danych, które przysyła lekarz prowadzący danego pacjenta. Każdy lekarz dokonuje oceny chorego i w ciągu kilku lat wyłania się obraz - czy choroba postępuje, czy nie - mówił dr Rokicki. Przypomina, że warunkiem włączenia do terapii jest ocena jej działania po określonym czasie. Jeśli okaże się, że lek nie przynosi oczekiwanego efektu, terapia nie jest kontynuowana.

- Terapii nie zaniechano z powodu jej wysokich kosztów. Przesłanką jej stosowania jest skuteczność - prezentuje medyczny punkt widzenia dr Rokicki, chociaż zdaje sobie sprawę, że inaczej na ten problem patrzą chorzy i ich rodziny. - Będą walczyć o dostęp do leku. Pacjenci mówią, że odbieramy im nadzieję. Tylko, że my - jako przedstawiciele Zespołu - nie leczymy nadziei.

Inne kraje, takie jak Australia czy Wielka Brytania, rozwiązały to w inny sposób - w przypadku postaci choroby z objawami neurologicznymi pacjent w ogóle nie jest kwalifikowany do programu.

Podobnego zdania jest prof. Segolene Ayme z Narodowego Instytutu Zdrowia i Badań Medycznych w Paryżu (INSERM). Argumentuje, że lepiej w ogóle nie rozpoczynać takiej terapii. - Natomiast nie do zaakceptowania jest sytuacja, gdy najpierw dajemy, a potem odbieramy lek choremu. To dramat - stwierdza Segolene Ayme.

Zdaniem dr Rokickiego, przy okazji zdarzenia w CZD ujawnił się inny problem: - Błędem funkcjonowania tego systemu jest brak komunikacji, wymuszony samą formą funkcjonowania zespołu koordynacyjnego. Nie ma komunikacji między członkami zespołu a chorymi - uważa specjalista.

Dodaje: - W założeniu taki "dialog" miał odbywać się za pośrednictwem lekarzy prowadzących. Jednak tak się nie dzieje. Lekarze czasem boją się, nie chcą rozmawiać z chorymi i ich rodzinami. Bycie lekarzem oznacza też trudne rozmowy. Na pewno nie jest łatwo, kiedy stawia się rozpoznanie i wiadomo, że happy endu nie będzie.

## **Oddzielny budżet**

W przypadku chorób rzadkich mówimy bowiem o terapiach, które nie dają efektów w postaci radykalnej zmiany rokowania lub wydłużenia życia. Mogą jednak do pewnego stopnia poprawić jego komfort.

Zdaniem dr Rokickiego problem finansowania leczenia tych chorób byłby częściowo rozwiązany, gdyby powstał dla nich oddzielny budżet. Jego zdaniem to nie AOTM powinna podejmować decyzje o ich finansowaniu, tak jak robi to w przypadku "powszechnych" terapii, gdzie możliwa jest ocena ich skuteczności.

- To nie powinna być decyzja urzędnicza, ale polityczna. Wydzielmy z budżetu kwotę adekwatną do możliwości finansowych naszego państwa i gospodarujmy tymi pieniędzmi z pełną świadomością, że nie będą wydawane na terapie przynoszące widoczne efekty zdrowotne - proponuje ekspert.

- Obecnie zaś konkurujemy o te same pieniądze co inne choroby - dodaje. - W takiej sytuacji zawsze będzie dylemat, czy mamy wydać pieniądze na terapię ze znikomą skutecznością dla kilkorga dzieci wiedząc, że za tę samą kwotę można skutecznie wyleczyć kilkaset osób chorych onkologicznie. Nie powinien tej decyzji podejmować urzędnik - podkreśla specjalista.

## **Inwestowanie w przyszłość**

Problem z finansowaniem terapii stosowanych w chorobach rzadkich i ultrarzadkich jest powszechny. Nawet we Francji, gdzie dostęp do terapii jest dużo lepszy niż w Polsce, płatnik uważniej przygląda się medycznej wartości każdego leku i jest gotowy płacić tylko za wyraźną skuteczność leku.

- Nie ma na wszystko pieniędzy. Jako społeczeństwo musimy zdecydować czy finansujemy leczenie wszystkim po równo, czy koncentrujemy się na pomocy tym, którzy tego rzeczywiście potrzebują, na zasadzie solidaryzmu. Jestem zwolenniczką finansowania leczenia chorób rzadkich, a nie pigułek przeciwko bólowi głowy - mówi prof. Segolene Ayme.

Zwraca też uwagę, że w obszarze chorób rzadkich jesteśmy dopiero na początku drogi. Jeszcze 50 lat temu każdy nowy lek w onkologii przynosił niewielki postęp. Dopiero z czasem zaczęły pojawiać się coraz lepsze rozwiązania i dzisiaj jesteśmy w stanie leczyć połowę nowotworów u dorosłych i 95 proc. u dzieci.

- To jest rezultat 50 lat inwestowania w postęp. Dlatego nie oczekujemy dzisiaj od firm farmaceutycznych spektakularnych sukcesów w obszarze chorób rzadkich - zaznacza prof. Segolene Ayme.

- Jesteśmy na etapie, na którym trzeba ponosić nakłady na inwestycje, które za kilkadziesiąt lat przyniosą efekty - przyznaje. - Nauka jest pełna pomysłów, planów i hipotez, boryka się jednak z brakiem pieniędzy na kosztowne, ryzykowne przedsięwzięcia. Dlatego potrzebna jest współpraca przemysłu z UE w zakresie prowadzenia wspólnych projektów i badań naukowych, bo to jest inwestycja w przyszłość.

## **Za drogo**

Profesor Ayme zwraca jednak uwagę, że z jednej strony nie możemy wysłać do branży farmaceutycznej komunikatu, że oferowane leki nie będą refundowane: - Gdyby nie było finansowania terapii, które powstały dzięki wysiłkom naukowców, oznaczałoby to katastrofę. Nie można podjąć decyzji o rezygnacji z refundowania tego, co już zostało stworzone. Pacjenci z chorobami rzadkimi mają prawo do tej samej opieki jak pacjenci z innymi chorobami.

Z drugiej strony zauważa nieuzasadnione wysokie ceny niektórych leków: - Cena leku stosowanego w chorobie ultraradkiej, gdy światowa populacja liczy około 1000 pacjentów, musi być odpowiednio wyższa. Jednak jeżeli na dane schorzenie choruje 10-50 tys. osób w Europie, cena powinna być obniżona.

Nie możemy ignorować faktu, że każde państwo ma ograniczenia budżetowe. Tymczasem ceny niektórych leków są po prostu zbyt wysokie. Zdaniem prof. Ayme błąd został popełniony na początku. Kiedy w 2000 r. na rynek wchodziły dwa leki przeciwko chorobie Fabry'ego, ówcześni płatnicy - wychodząc z idealistycznego punktu widzenia - bez negocjacji zaakceptowali astronomiczną cenę produktów.

Kolejne firmy poszły tym tropem i starały się uzyskać za leki jak najwyższą cenę. Obecnie nie ma już na to przyzwolenia. Leków jest coraz więcej, można je porównywać. Skłonność do płacenia jest ograniczona i wyższa cena nie jest do zaakceptowania, nawet w bogatszych od Polski krajach

### **Jedna Europa, jedna cena**

- Oceniamy, że w najbliższych 10 latach koszty leczenia chorób rzadkich, szczególnie terapii stosowanych w nowotworach rzadkich, osiągną poziom 6 proc. z budżetu przeznaczonego na leczenie. Nie jest możliwe przekroczenie tego progu. Jeśli nie ograniczymy wydatków, nie będzie nas stać na sfinansowanie kolejnych leków, które już są w drodze - ostrzega prof. Segonele Ayme i wskazuje na obszar, który może wpłynąć na wyjście z tej sytuacji:

- Przemysł zaczyna zdawać sobie z sprawę z ograniczeń finansowych. Firmy są gotowe do rozmów o kosztach i w najbliższych latach będziemy obserwować spadające ceny leków - prognozuje. - W przypadku drogich terapii stosowanych w chorobach rzadkich chcemy negocjować z przemysłem jednakową cenę danego leku na poziomie europejskim.

Źródło: <http://www.rynekzdrowia.pl/Polityka-zdrowotna/Choroby-rzadkie-czy-mozliwa-bedzie-jedna-cena-leku-w-calej-Europie,131963,14,0.html>