

**„Market Access Orphan drugs
v Slovenskej republike“
Dostupnosť, legislatíva a úhradové
mechanizmy**

Foltánová T., Petrová L., Mazag J.

COMP, EMA

FaF UK

ŠÚKL



Orphan lieky (OMP)

lieky na zriedkavé ochorenia

- lieky určené na **diagnostiku, prevenciu alebo terapiu život ohrozujúcich alebo chronicky invalidizujúcich ochorení**, ktoré postihujú menej ako 5 z 10 000 obyvateľov v EÚ alebo lieky, ktoré by sa z ekonomických dôvodov bez výhod nevyvíjali
141/2000
- **6.000 až 8.000 zriedkavých ochorení**, ktoré počas života postihujú 6 až 8 % populácie, čo v EÚ predstavuje 27 - 36 miliónov ľudí
- **v SR** bolo v roku 2005 zaznamenaných **2.700 chorých na zriedkavé ochorenia** z 5,4 milióna obyvateľov



Legislatíva

- 2000
- Nariadenie (ES) č. 141/2000
č. 847/2000

Cieľ:

- podpora výskumu ako aj vývoja nových liekov v oblasti zriedkavých ochorení na úrovni EÚ - Framework VII
- národné programy
- podpora malých a stredných farmaceutických výrobcov (Small and medium enterprises – SME)



Kto je zodpovedný za lieky na zriedkavé ochorenia?

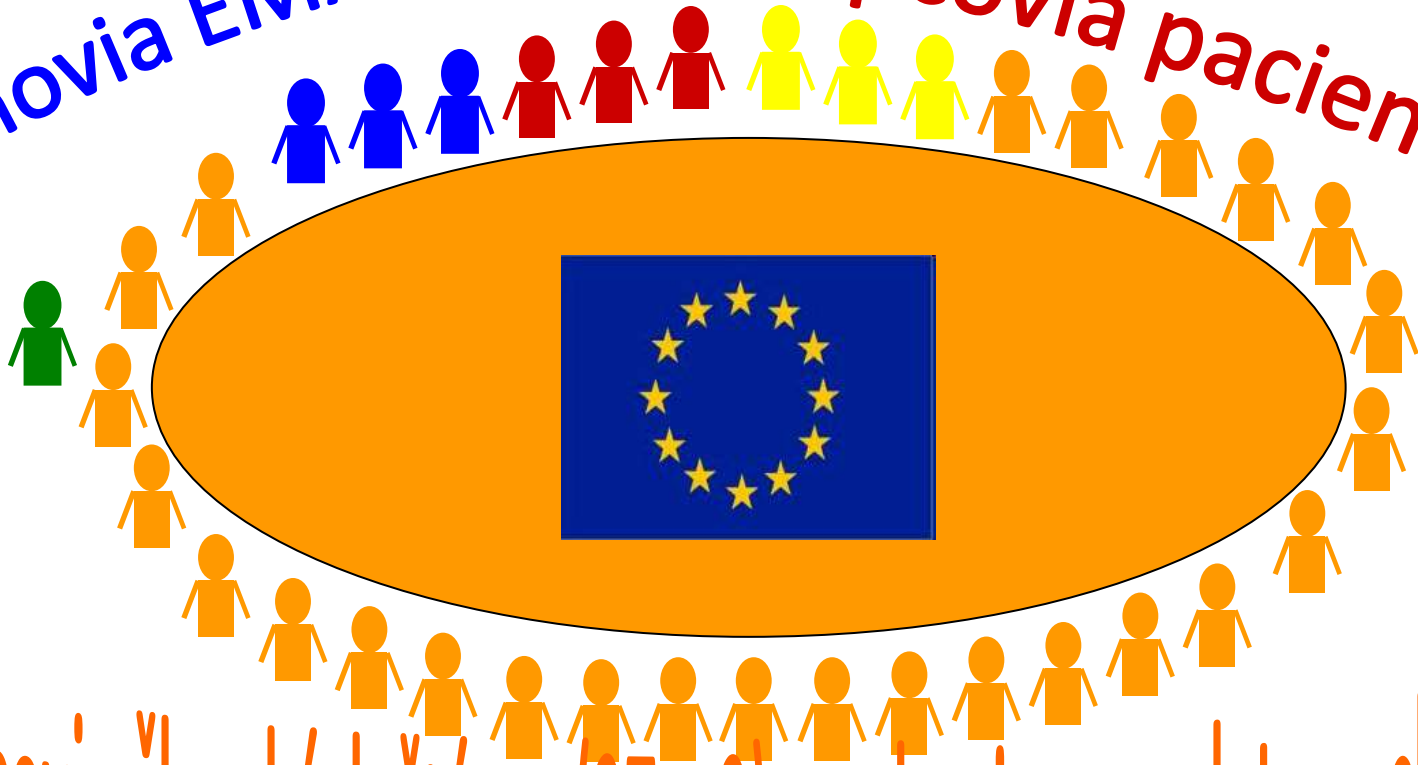
- COMP
Committee for Orphan
Medicinal Products
Komisia pre lieky na zriedkavé
ochorenia
- jedna zo 6 vedeckých komisií
EMA



Zloženie COMP

členovia EMA (3)

Zástupcovia pacientov (3)



Zástupcovia členských štátov (27 + 3) academics, regulators, clinicians



Úlohy COMP

- designácia
- prehodnotenie orphan štatútu pri registrácii
- odborná pomoc pri vývoji (Protokol assistance)



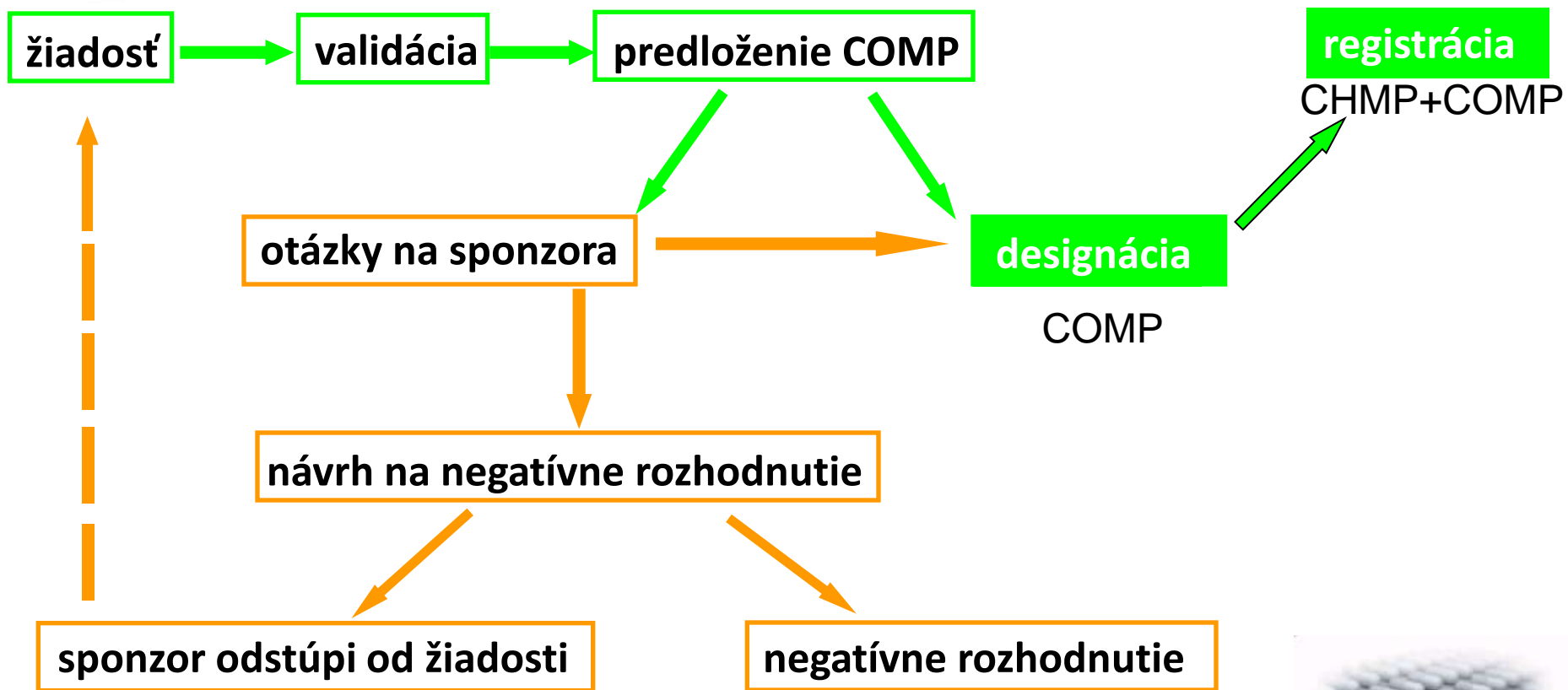
Designácia

- **1. Administrative data**
 - **2. Application sections A-E**
 - A. Description of the condition
 - A1. Details of the condition
 - **A2. Proposed orphan indication**
 - **A3. Medical plausibility**
 - **A4. Justification of the life-threatening or debilitating nature of the condition**
 - **B. Prevalence of the condition**
 - B1. Prevalence of the orphan disease or condition in the European Union
 - B2. Prevalence and incidence of the condition in the European Union
 - B3. Information on participation in other European Union projects
 - C. Potential for return on investment
 - **D. Existence of other methods of diagnosis, prevention or treatment**
 - **D1. Details of any existing diagnosis, prevention or treatment methods**
 - D2. Justification as to why methods are not satisfactory
 - **D3. Justification of significant benefit**
 - E. Description of the stage of development
 - E1. Summary of the development of the product
 - E2. Details of current regulatory status and marketing history
 - F. Bibliography
- **3. COMP discussion and request for a list of issues**
 - **4. COMP discussion and conclusion at day x**
 - **5. Grounds for the opinion on orphan medicinal product designation**



COMP

pri vývoji lieku na zriedkavé ochorenie



Úspešnosť designácie

Year	Applications submitted	Applications discussed in reporting year	Positive COMP opinions	Applications withdrawn	Final negative COMP opinions	Designations granted by Commission
2010	125	130	90 (69%)	37 (28%)	3 (2%)	69
2009	164	137	113 (82%)	23 (17%)	1 (1%)	106
2008	119	118	86 (73%)	31 (26%)	1 (1%)	73
2007	125	117	97 (83%)	19 (16%)	1 (1%)	98
2006	104	103	81 (79%)	20 (19%)	2 (2%)	80
2005	118	118	88 (75%)	30 (25%)	0 (0%)	88
2004	108	101	75 (74%)	22 (22%)	4 (4%)	72
2003	87	96	54 (56%)	41 (43%)	1 (1%)	55
2002	80	76	43 (57%)	30 (39%)	3 (4%)	49
2001	83	92	64 (70%)	27 (29%)	1 (1%)	64
2000	72	32	26 (81%)	6 (19%)	0 (0%)	14
Total	1185	1120	817 (73%)	286 (26%)	17 (2%)	768



Výhody orphan štatútu

10 r. market exkluzivita

bezplatná pomoc pri vývoji
protocol assistance

centralizovaná registrácia

finančná podpora výskumu
EÚ granty

zníženie
administratívnych poplatkov



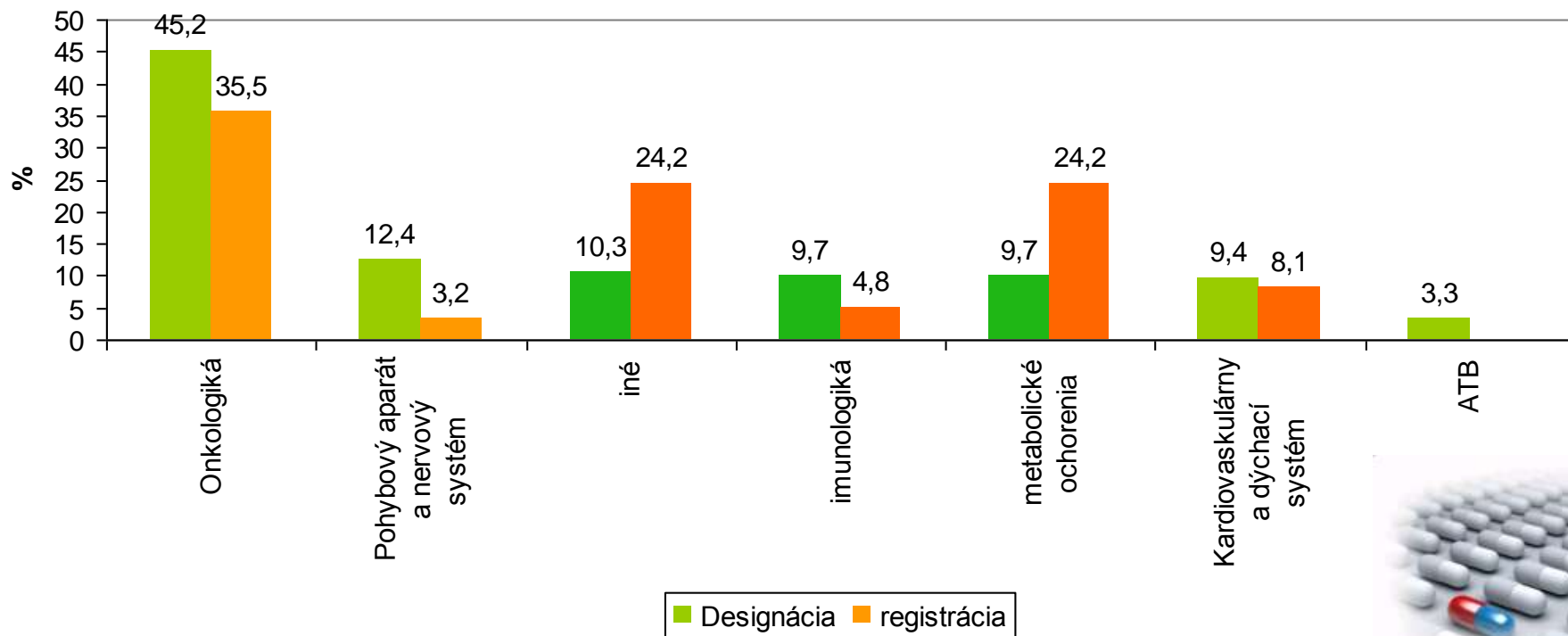
Designácia ≠ registrácia

designácia

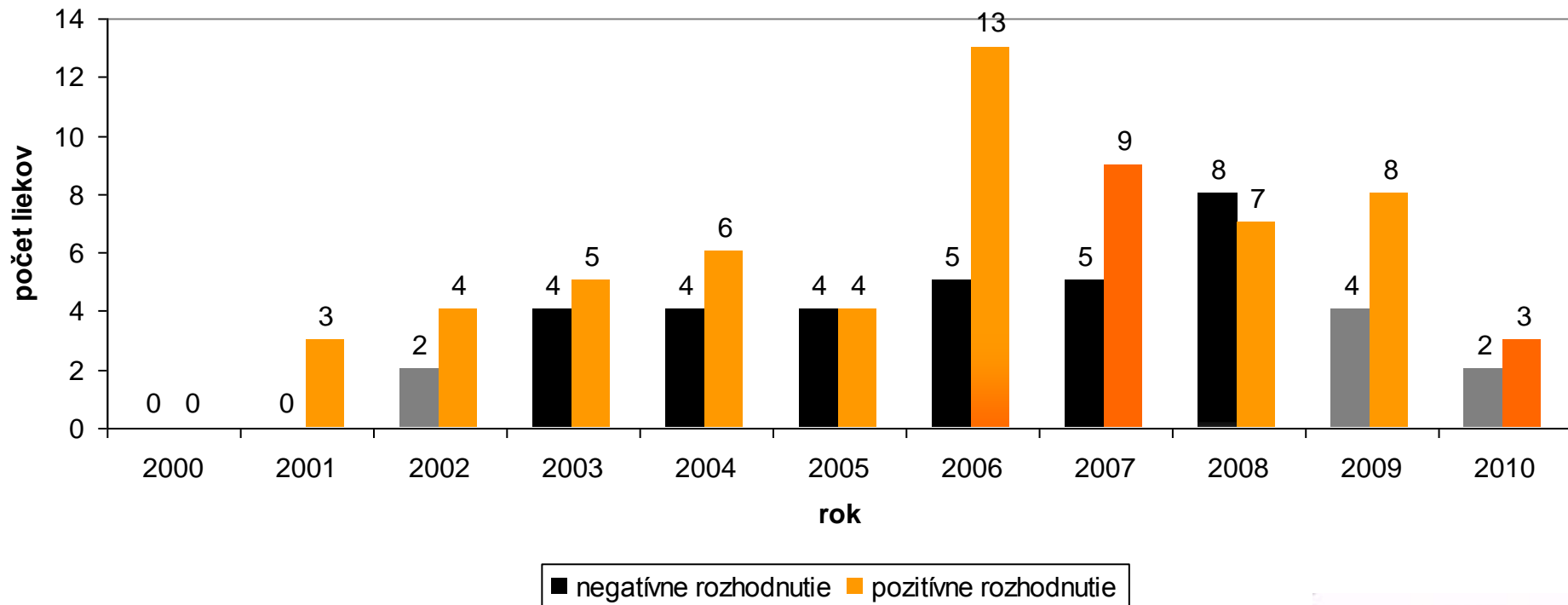
*zaradenie produktu/lieku do registra OMP
COMP*

registrácia

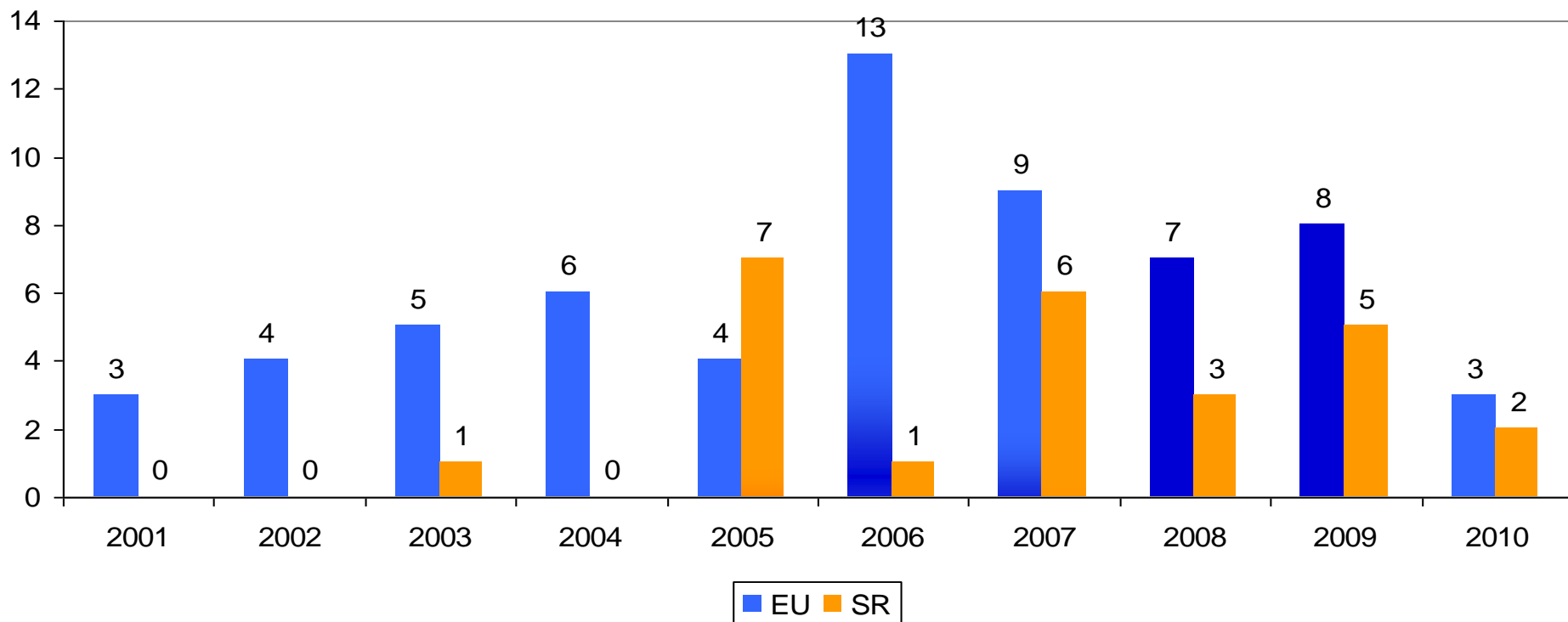
*dôkaz kvality, účinnosti a bezpečnosti
CHMP + COMP*



Úspešnosť registrácie (CHMP)

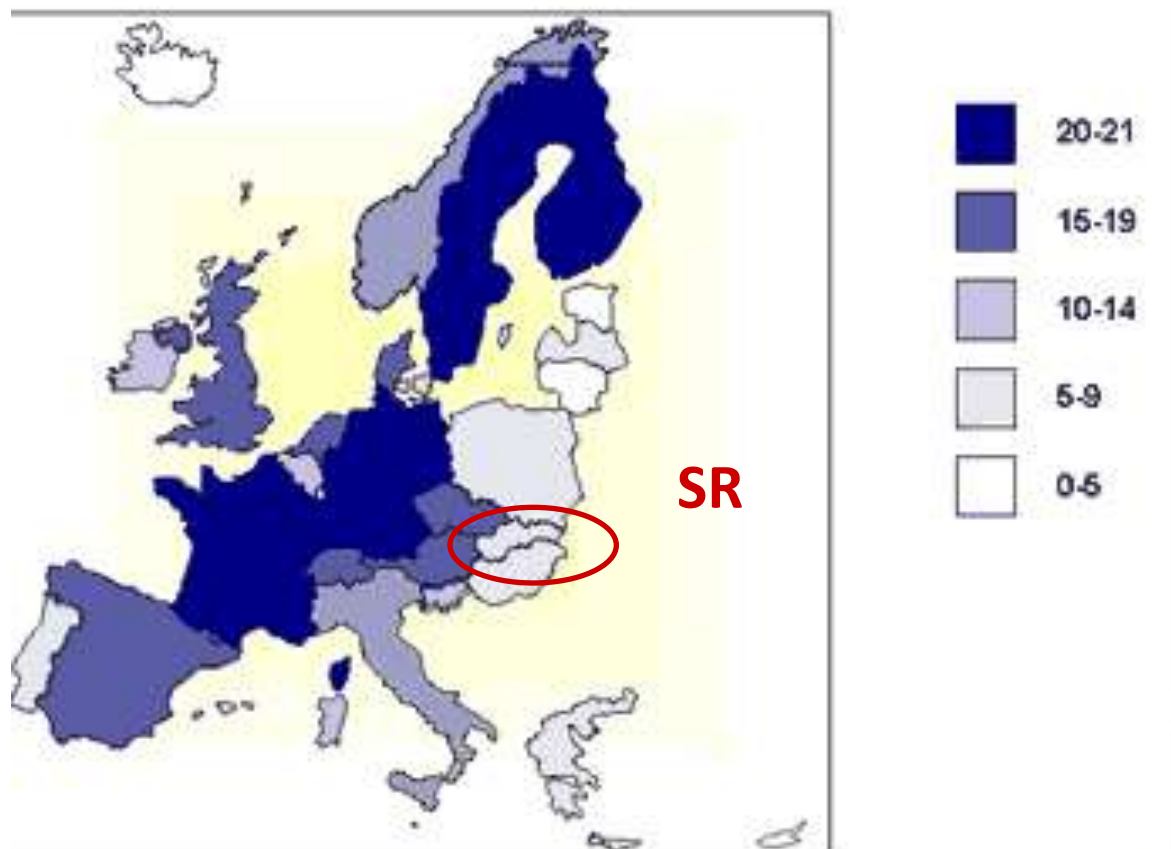


Registrované lieky na zriedkavé ochorenia v EÚ/SR



Dostupnosť liekov na zriedkavé ochorenia v EÚ/SR

Number of available OMPs



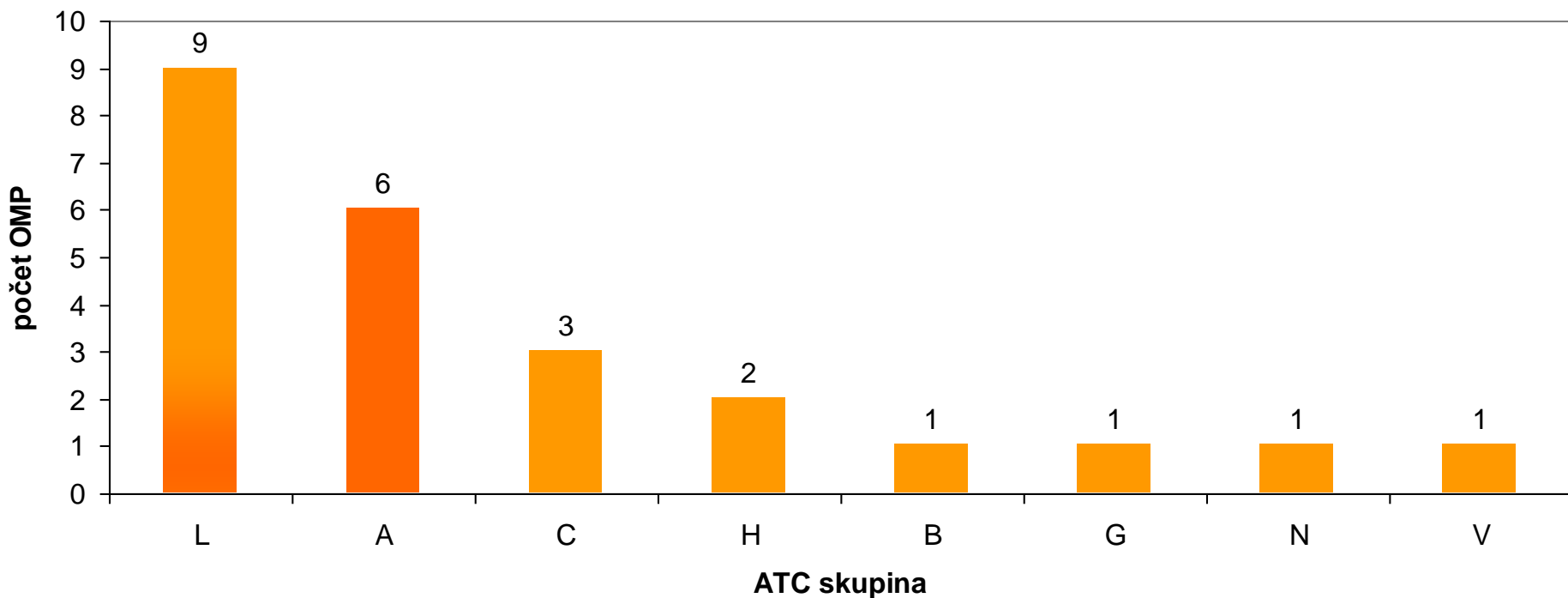
Dostupnosť liekov na zriedkavé ochorenia v SR

- **liečba v rámci klinického výskumu**
(registre pacientov, orphanet) ???
- **nepriama** – individuálny dovoz ???
- **priama** – liek je kategorizovaný – 40,1 %
v nemocničnom formulári - ??
- **Cena**
100 % úhrada z verejných zdrojov,
minimálny doplatok Rufinamid/Innovelon



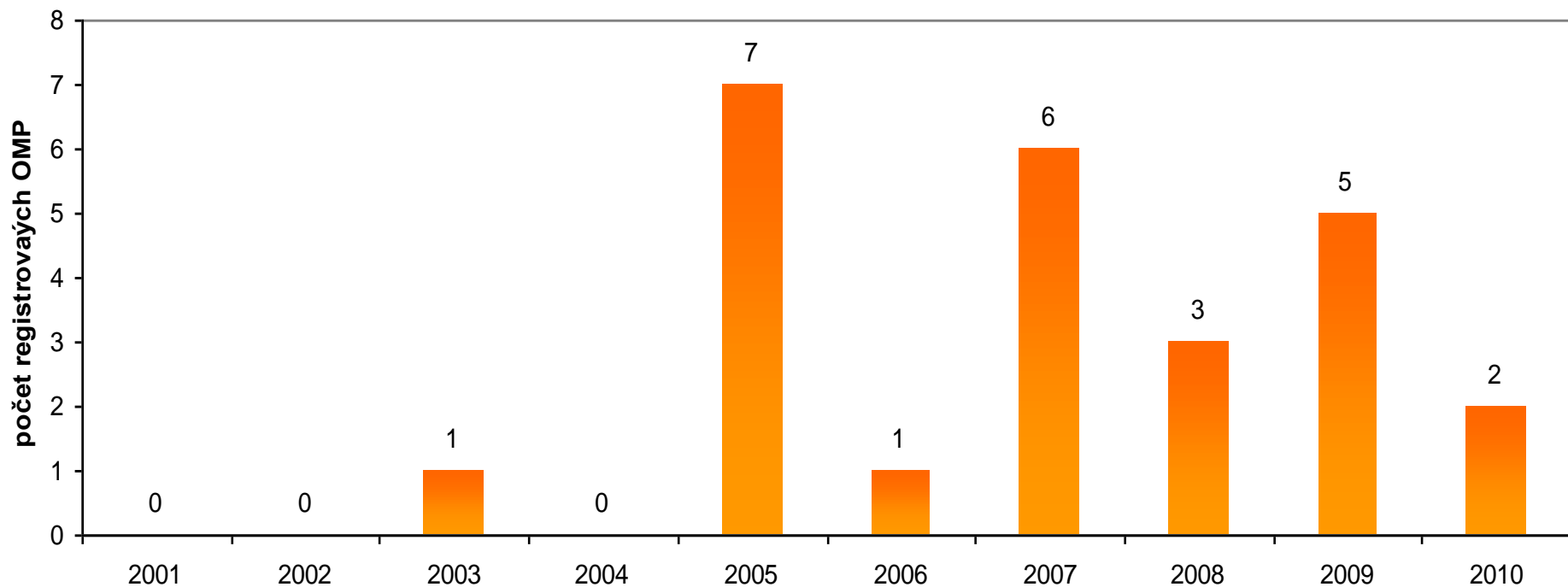
Prehľad liekov na zriedkavé ochorenia v SR

N=24 (40,1% registrovaných OMP)



Zakategorizovanie liekov na zriedkavé ochorenia v SR

N=25

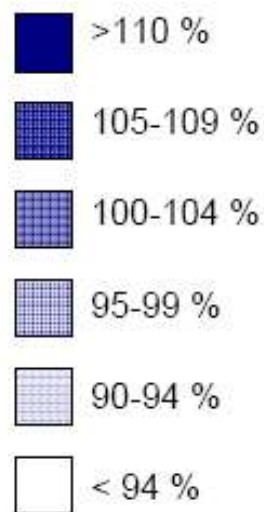
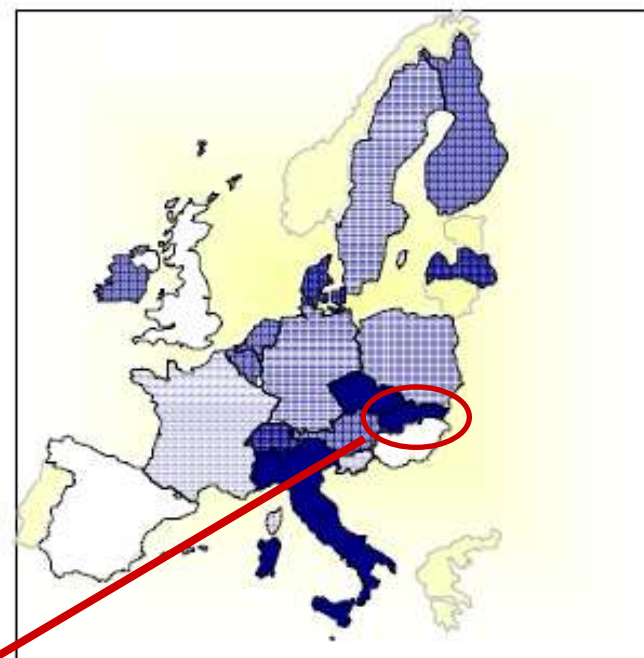


Averaged OMP price compared to European mean price

Ex factory price



Users price

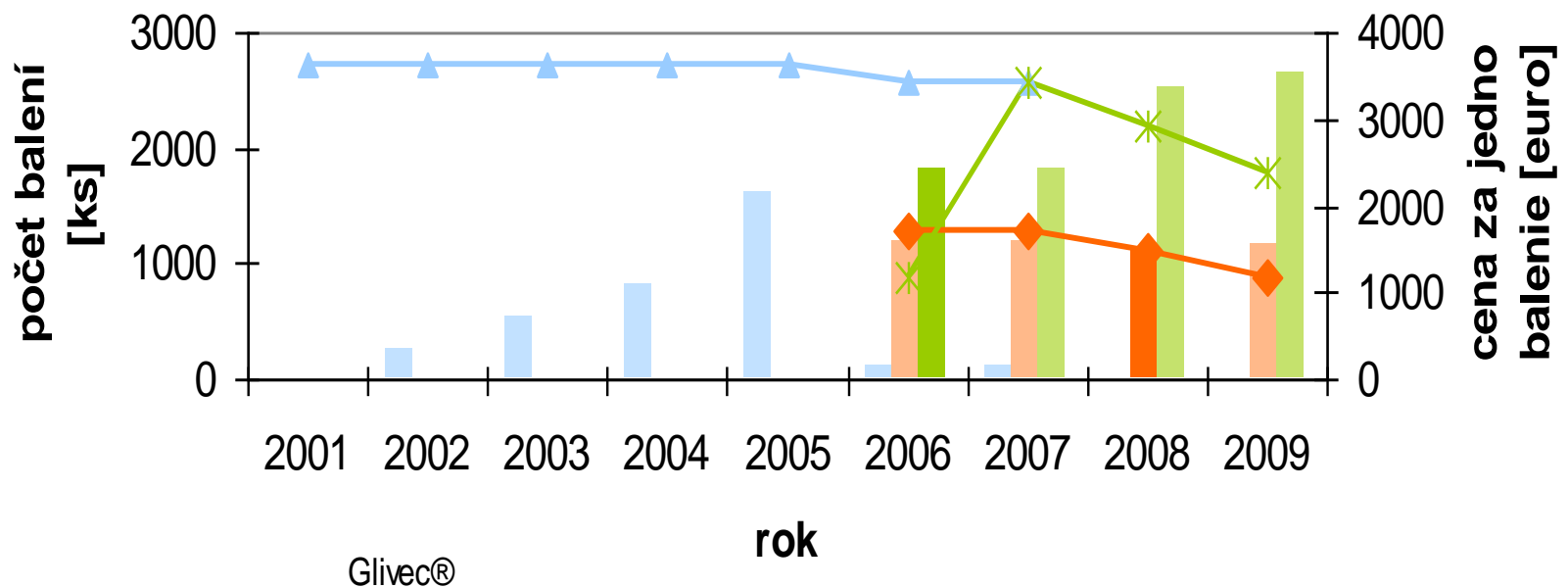


L01XE01 – Glivec – imatinib

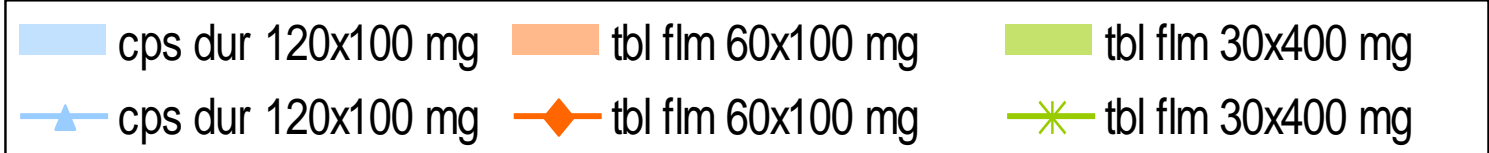
Indikácie	designácia	registrácia
Chronická myeloidná leukémia (CML)	2000	2001
Malígne gastrointestinálne stromálne nádory (GIST)	2001	2002
Akútna lymfoblastická leukémia (ALL)	2005	2006
Dermatofibrosarkóm protuberans (DFSP)	2005	2006
Chronická eozinofilná leukémia (CEL) Hypereozinofilný syndróm (HES)	2005	2006
Myelodysplastické/myeloproliferatívne ochorenia (MDS/MPD)	2005	2006



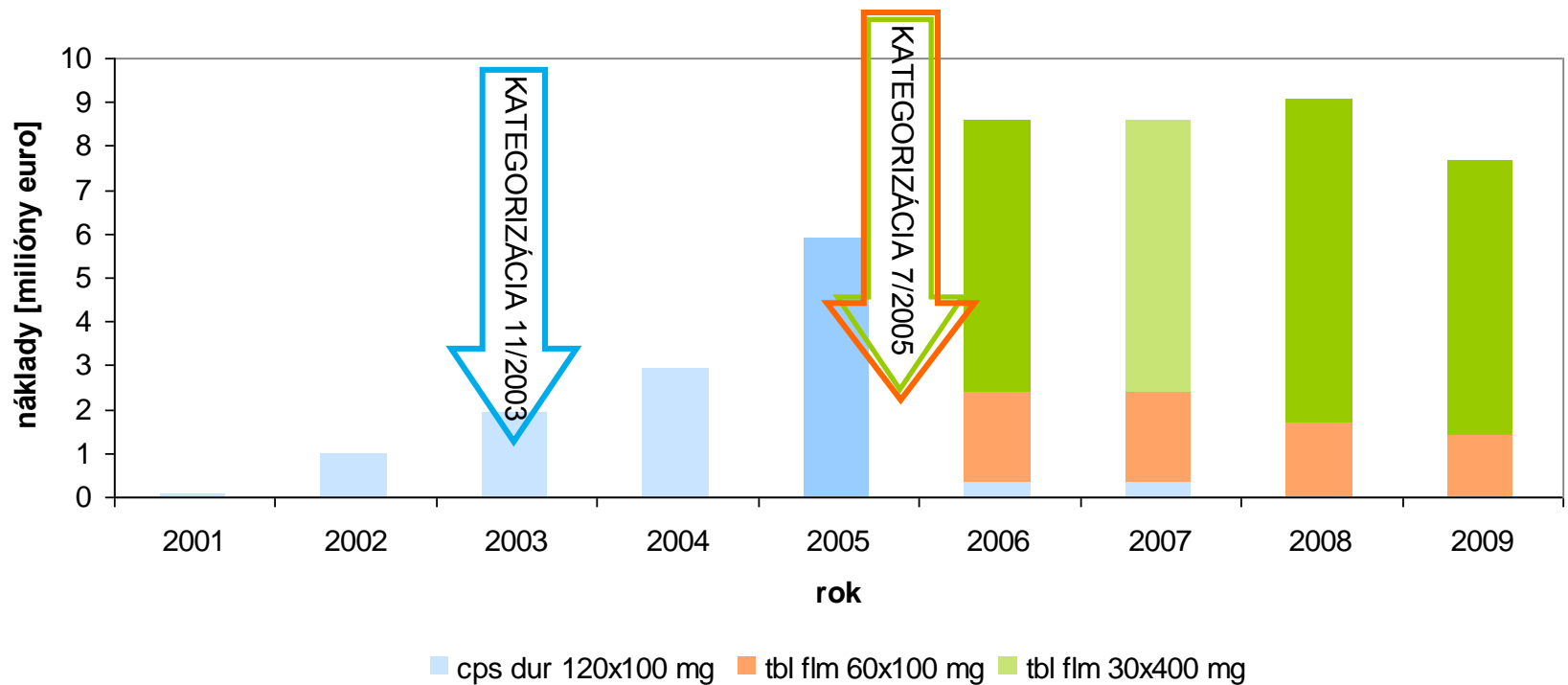
Spotreba imatinibu v SR



počet balení
cena

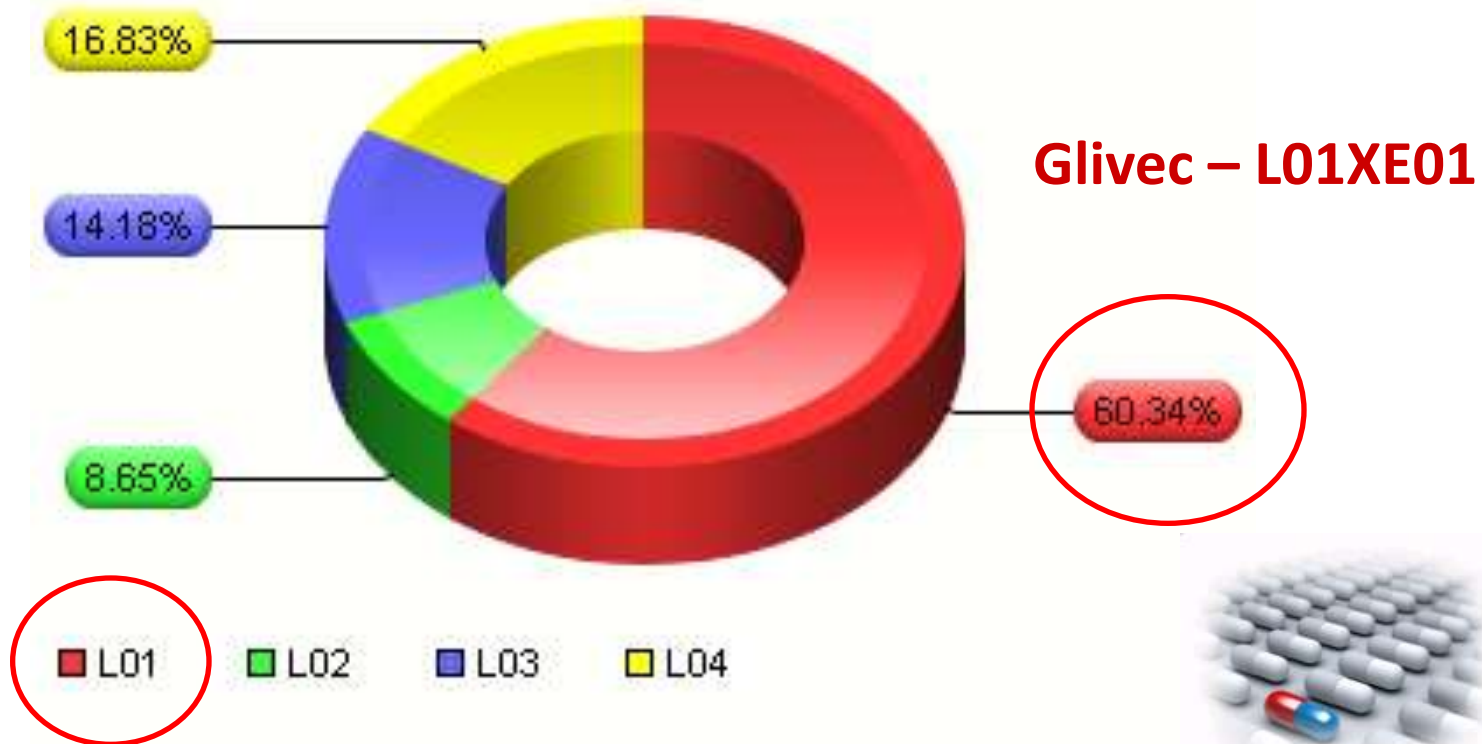


Náklady na terapiu



Náklady na lieky v skupine v L za II štvrtrok 2010 - podiel v %

ATC skupina: L

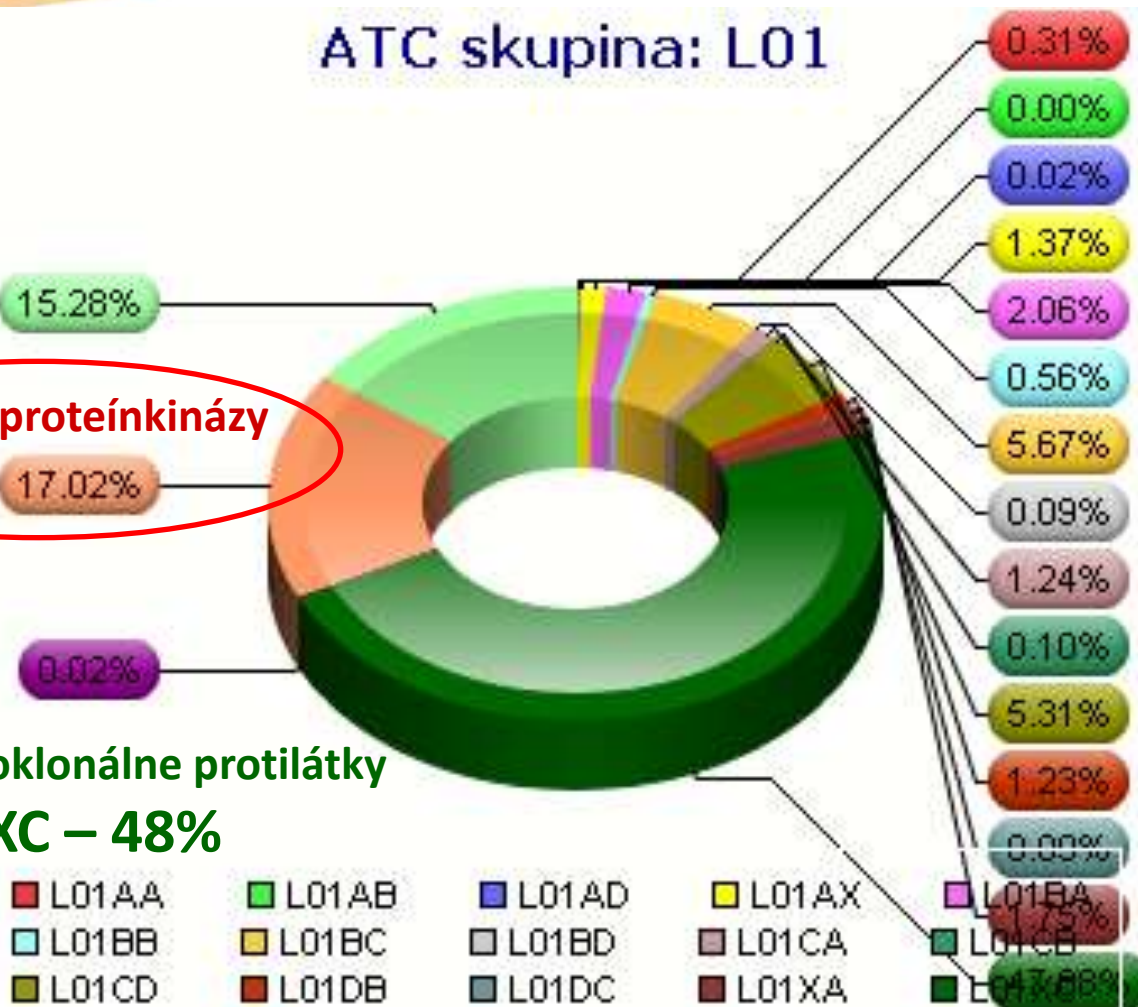


Náklady v skupine v L01 za II štvrtrok 2010 - podiel v %

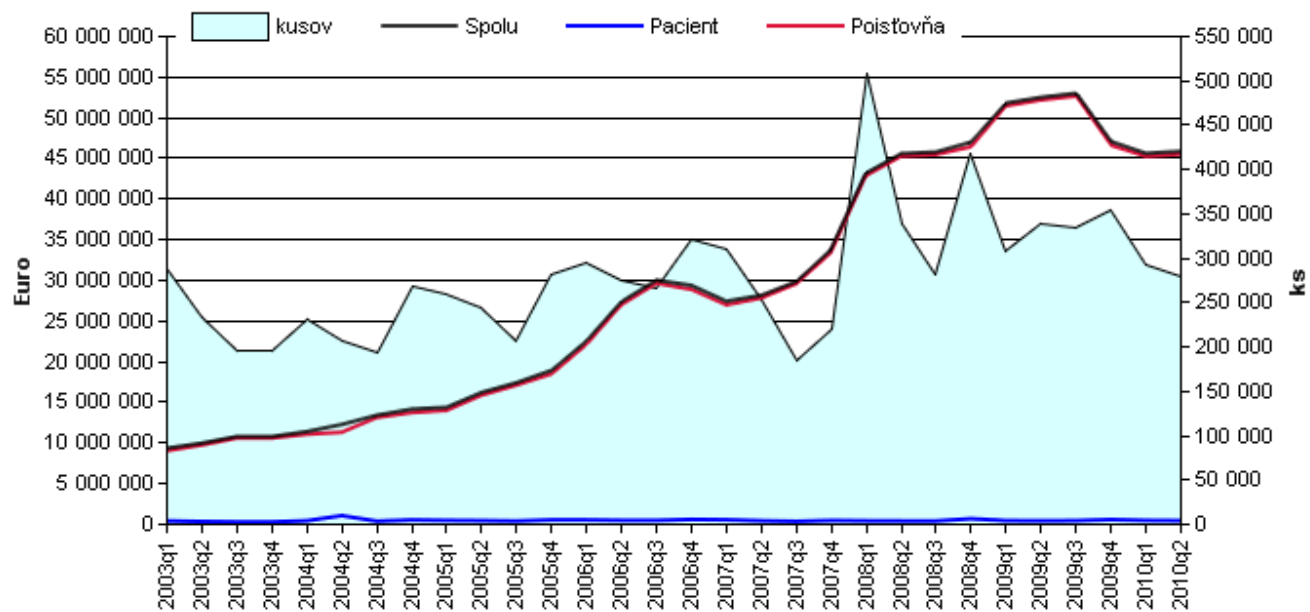
ATC skupina: L01

**inhibítory proteínkinázy
L01XE**

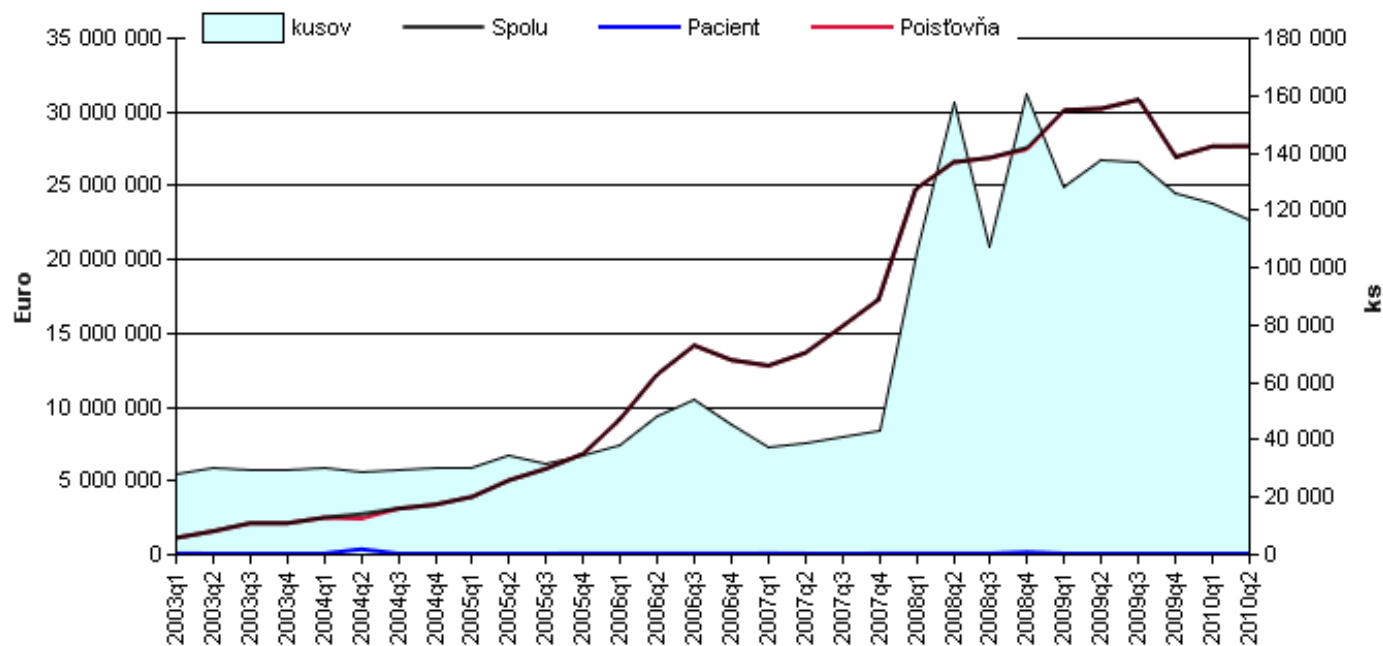
**Monoklonálne protilátky
L01XC – 48%**



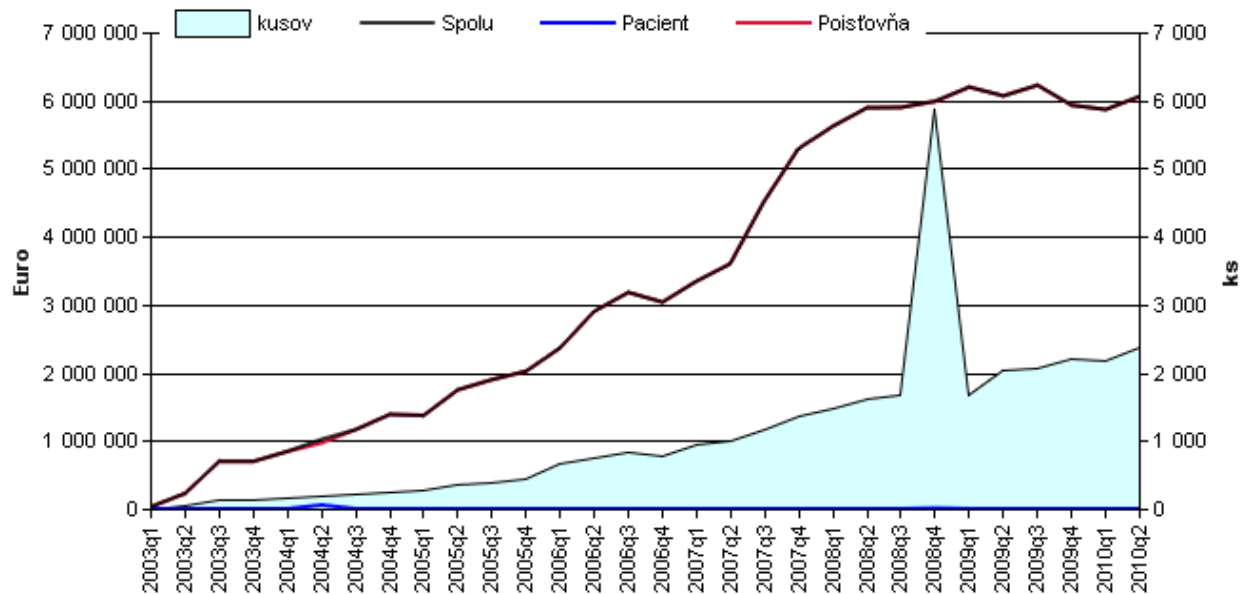
Vývoj spotreby liekov pre ATC L



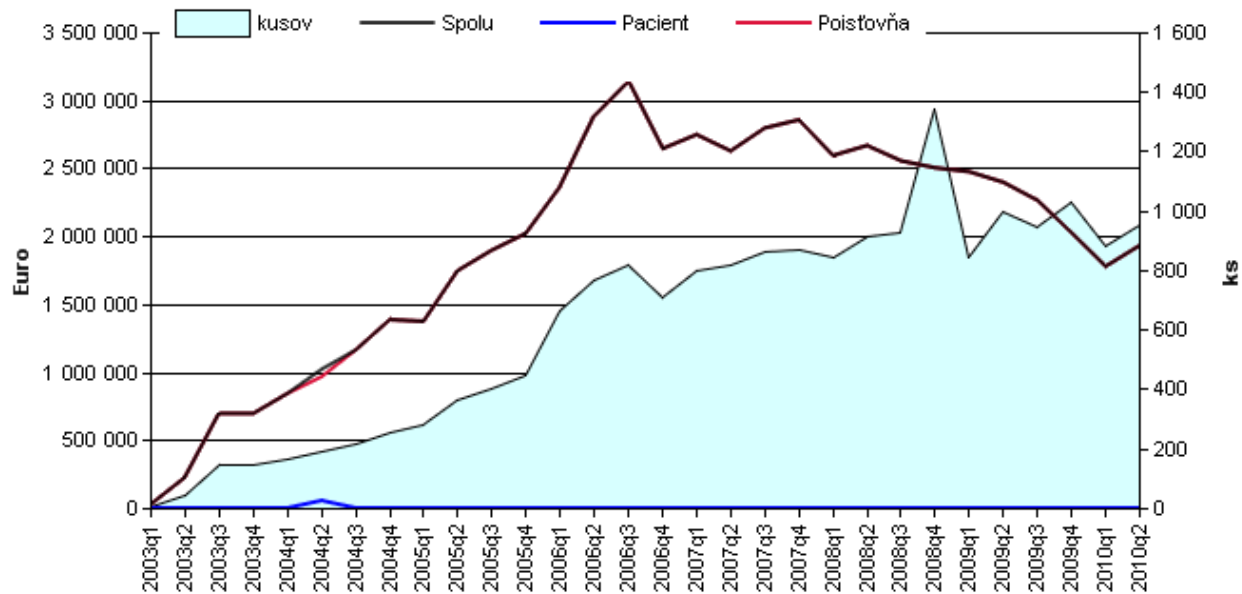
Vývoj spotreby liekov pre ATC L01



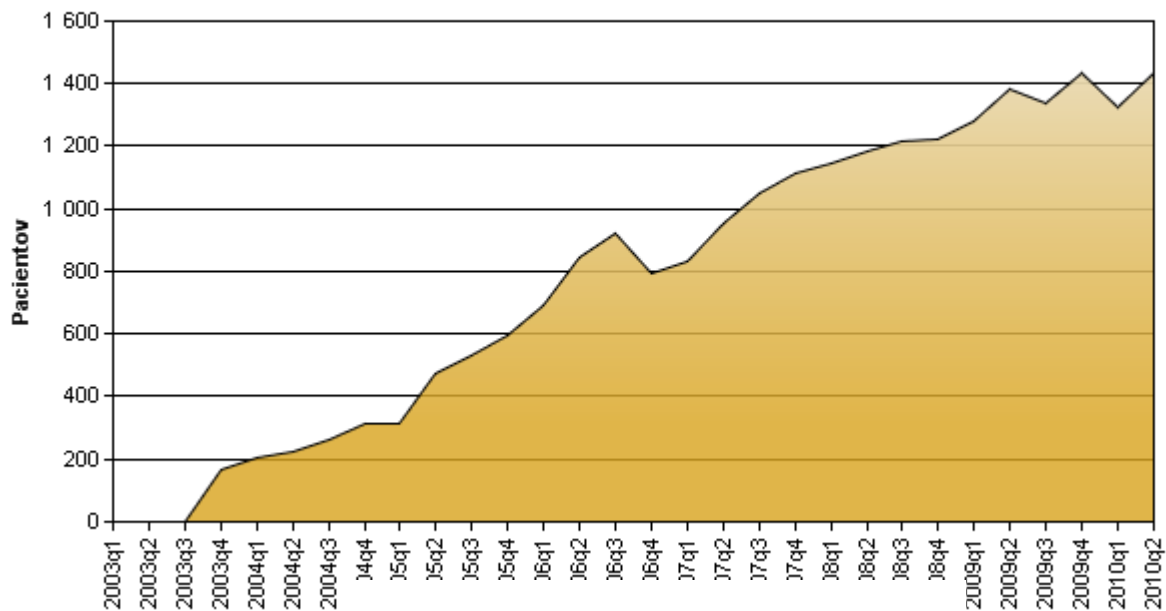
Vývoj spotřeby v ATC skupině L01XE inhibitory proteínkináz



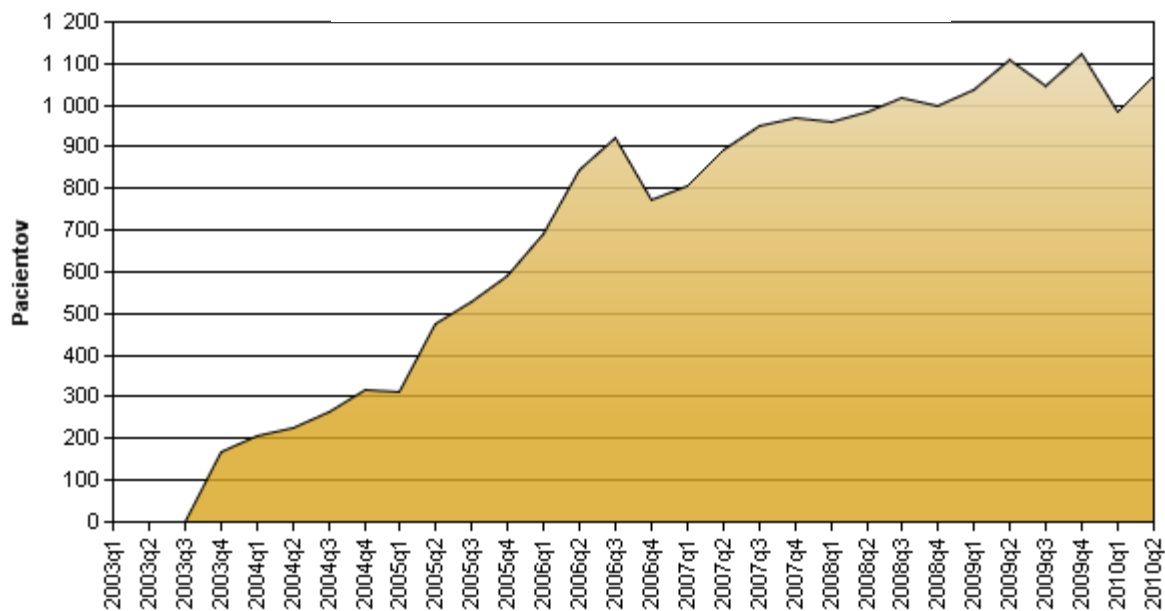
Vývoj spotřeby imatinibu



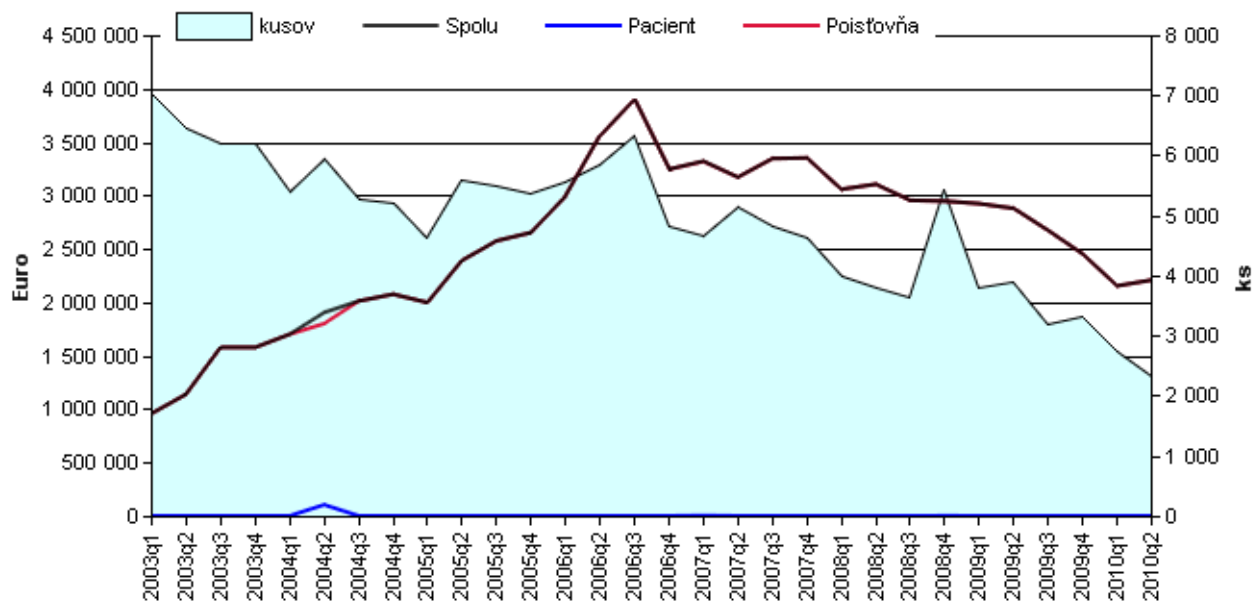
Vývoj počtu pacientov liečených inhibítormi proteínkináz



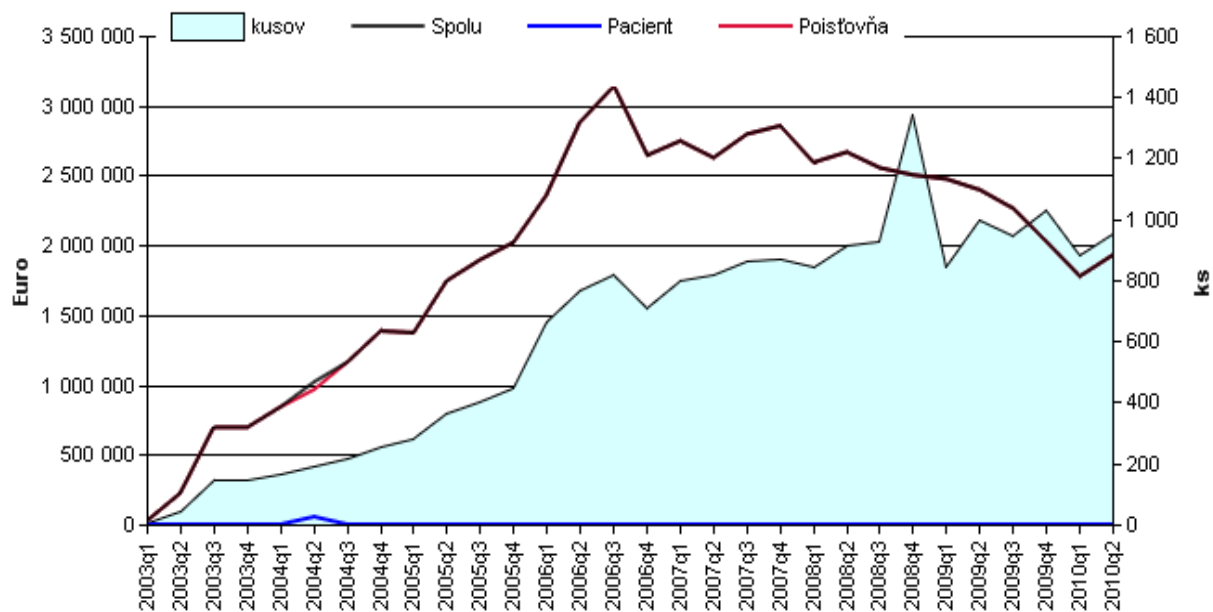
Vývoj počtu pacientov liečených imatinibom



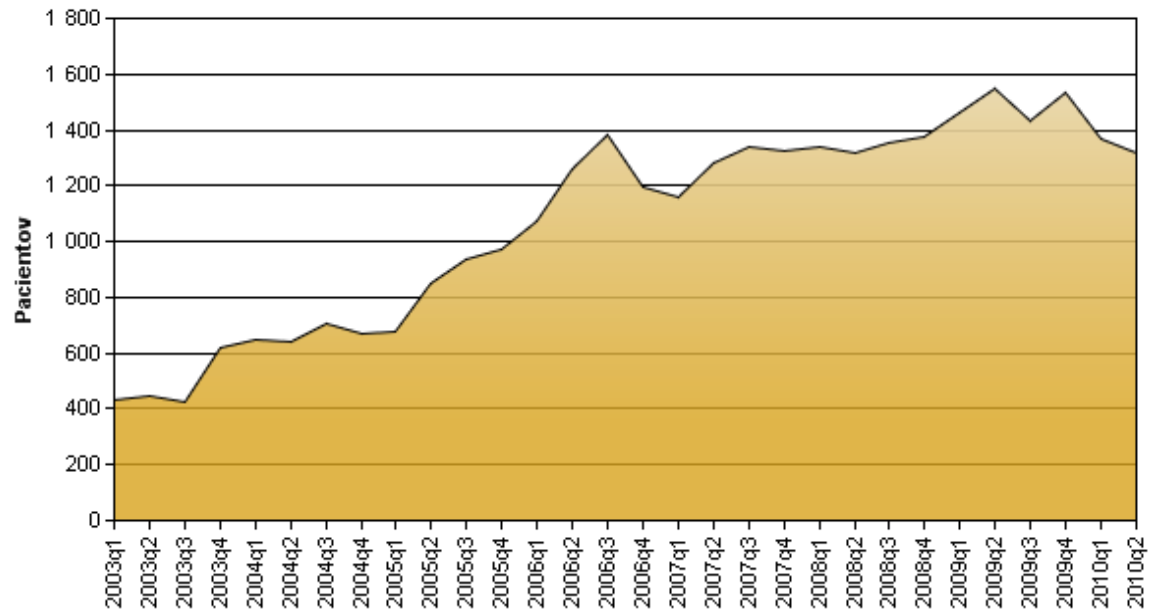
Vývoj spotřeby liekov používaných na liečbu CML



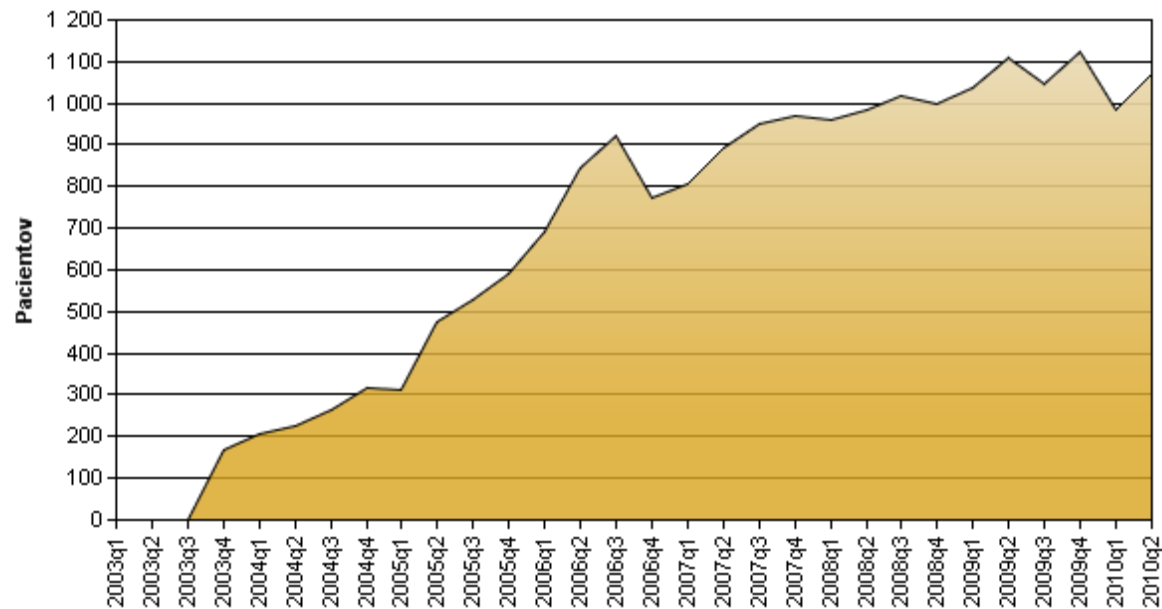
Vývoj spotřeby imatinibu



Vývoj počtu pacientů liečených na CML



Vývoj počtu pacientů liečených imatinibom



A16AX07 - Saptopterin - Kuvan

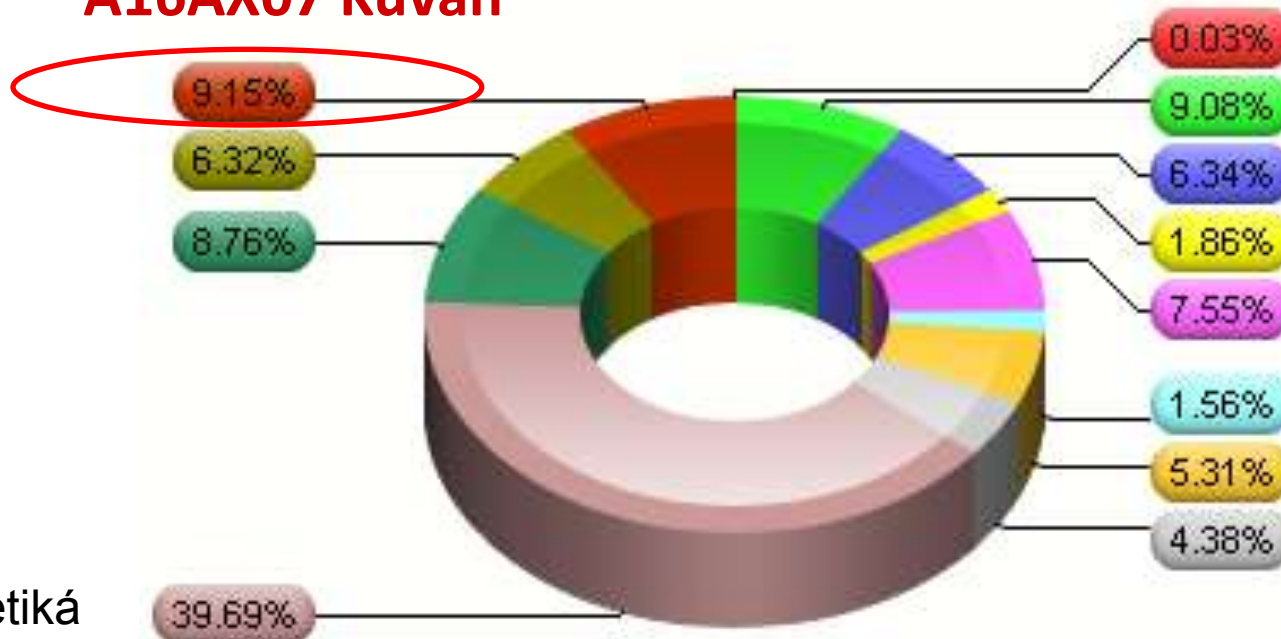
Indikácie	designácia	registrácia	kategorizácia v SR
Hyperfenylalaninémia 17/100 000	062004	102008	122008



Náklady v skupine v A za II štvrťrok 2010 v hodnote - podiel v %

ATC skupina: A

A16AX07 Kuvan

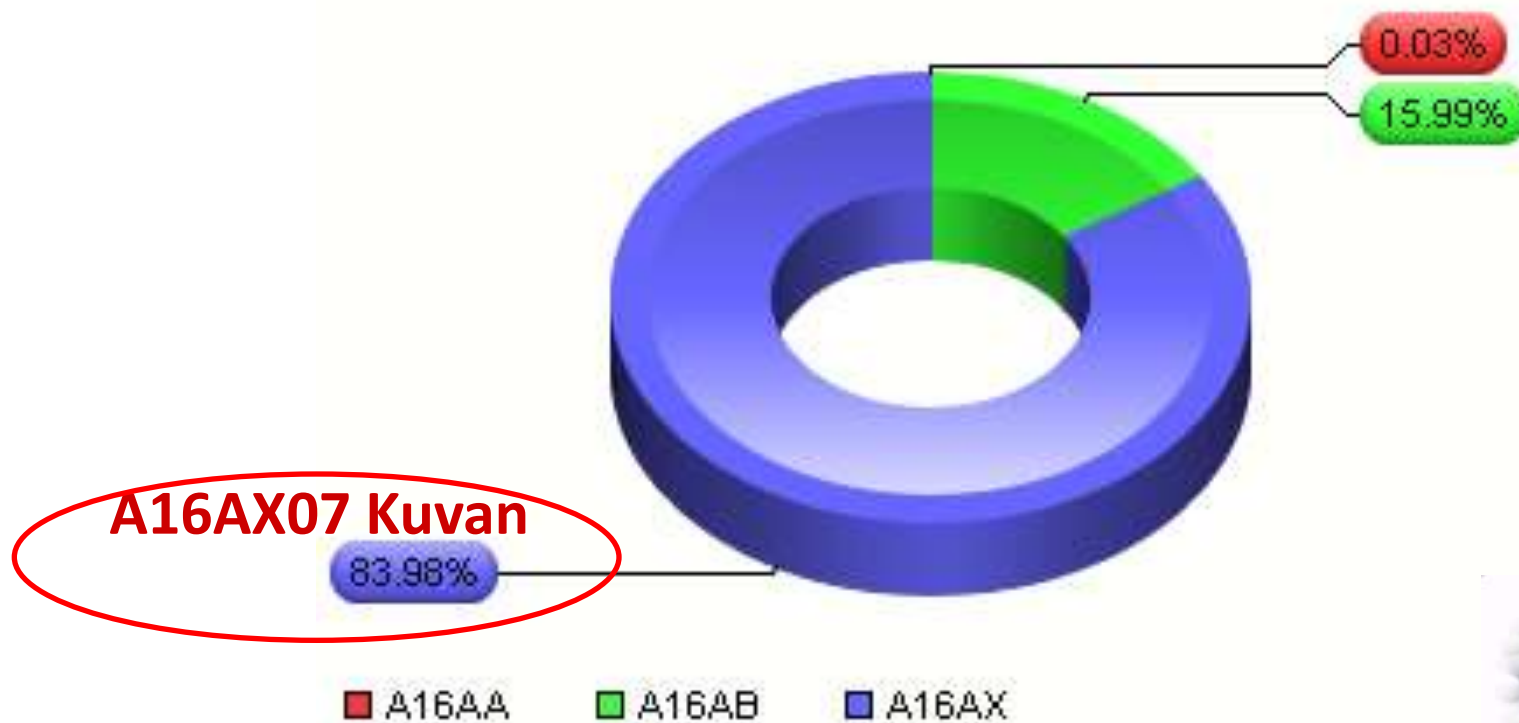


Antidiabetiká

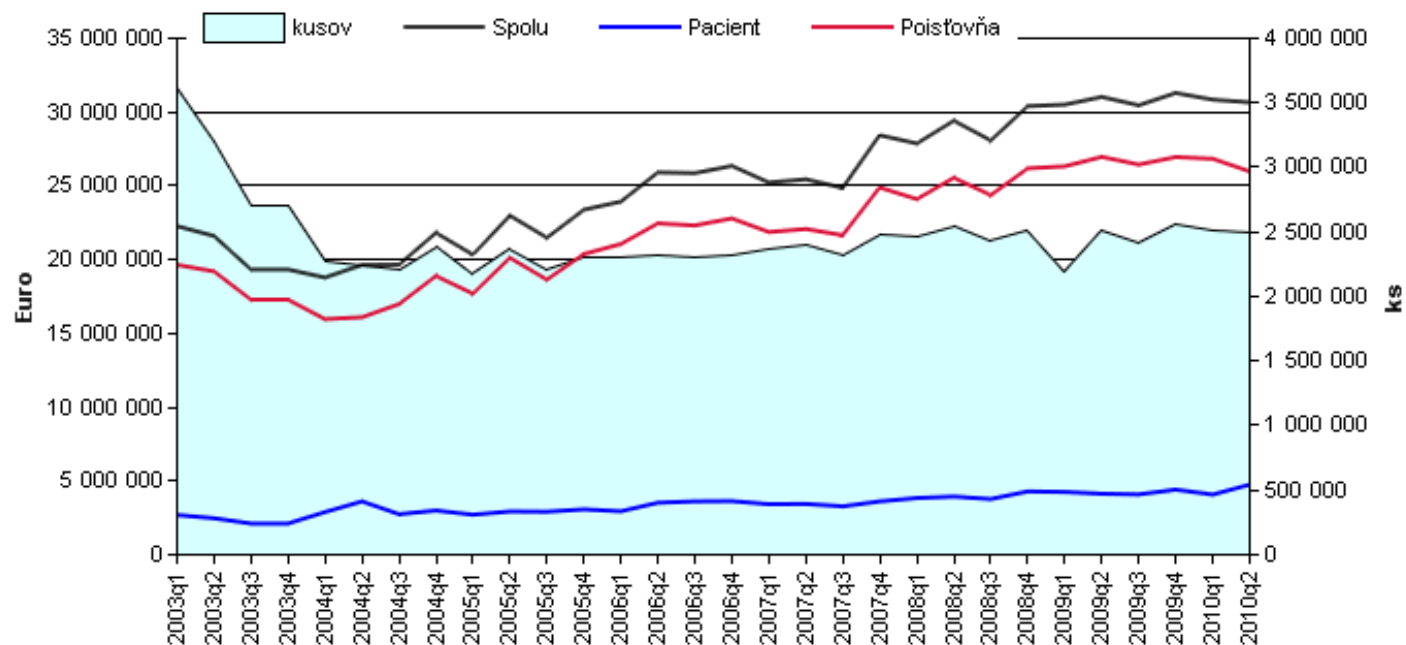


Náklady v skupine v A 16 za II štvrtrok 2010 - podiel v %

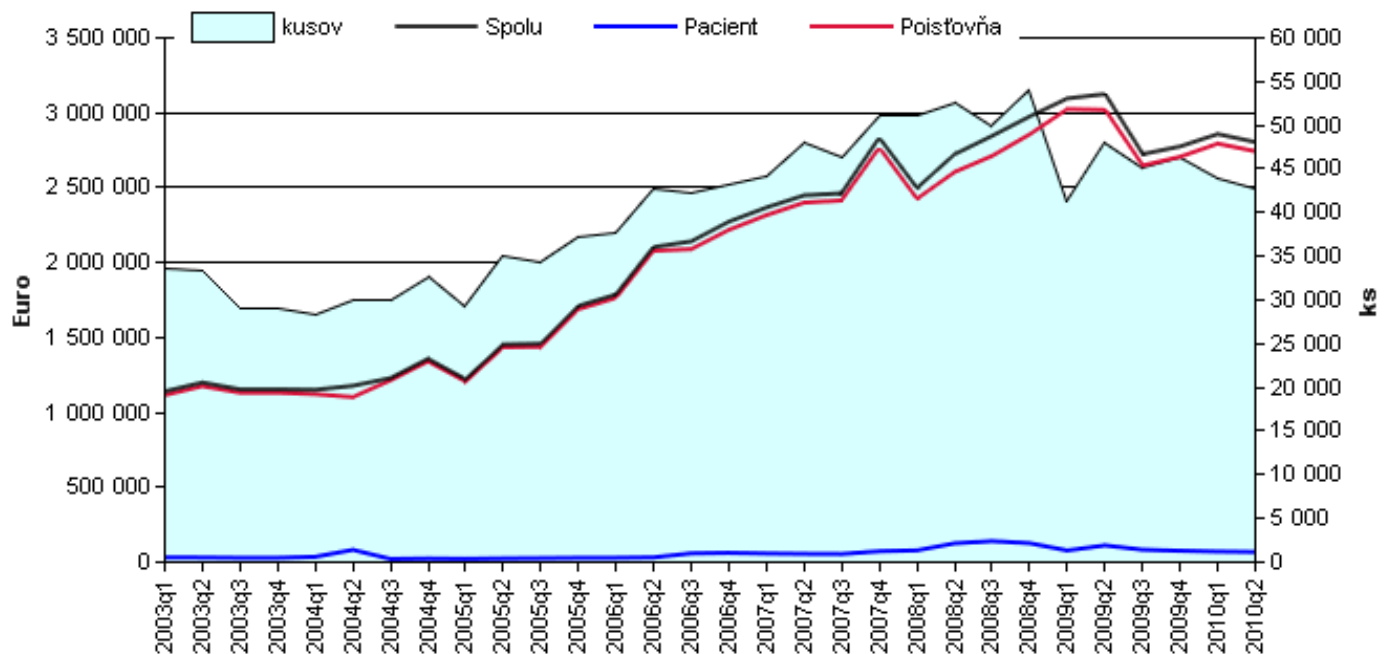
ATC skupina: A16



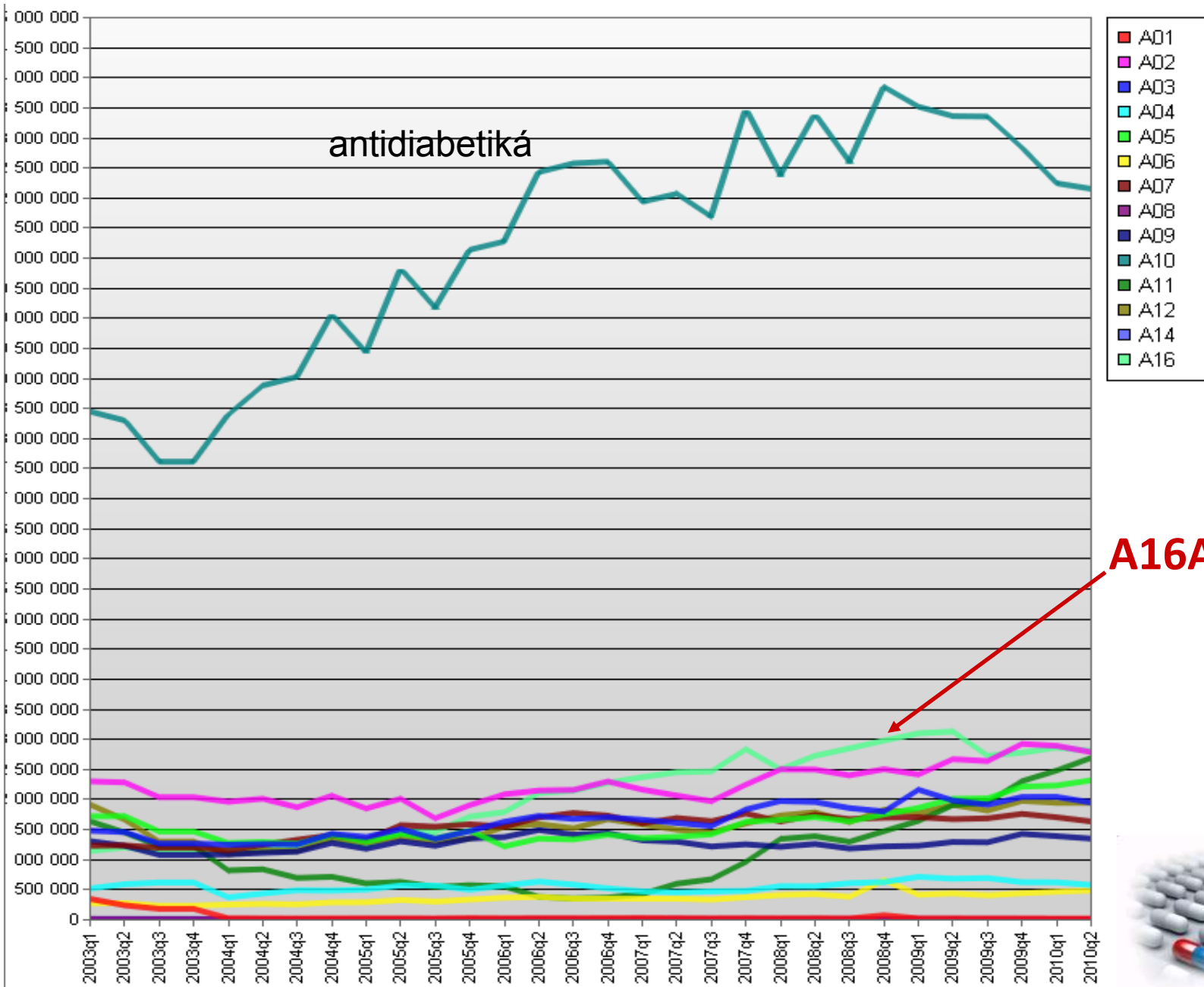
Vývoj spotreby liekov pre ATC A



Vývoj spotreby liekov pre ATC A16



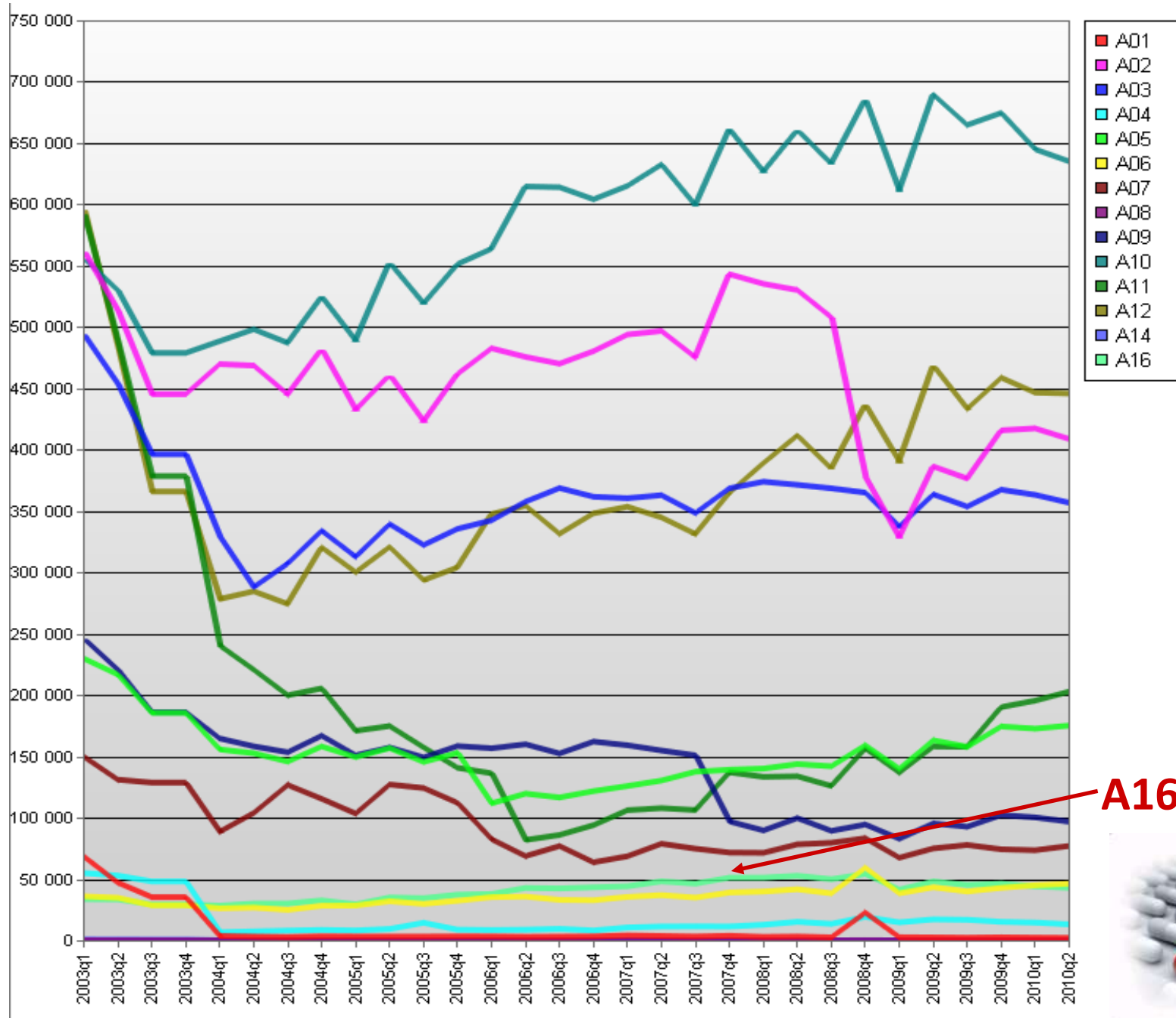
Náklady v skupine A



A16AX06



Spotřeba v skupině A (počet balení)



A16AX06



Závery

- Európska legislatíva intenzívne podporuje výskum a vývoj liekov pre zriedkavé ochorenia (finančne, odborne)
- v SR je **zakategorizovaných 40 % OMP**



ceny OMP v SR **prevyšujú** ceny v ostatných členských štátoch a to aj napriek tomu:

- že **cena výrobcu je porovnateľná** s ostatnými členskými štátmi
- **OMP v SR sú 100 % hradené** zo štátneho rozpočtu



OMP = **najnákladnejšie lieky**

- napriek tomu v SR **chýbajú kompletne informácie** o nákladoch spotrebe a počte liečených pacientov
- **neexistujú osobitné regulačné mechanizmy cenotvorby!!!**



Ďakujem za pozornosť



Vývoj spotřeby saptopterínu (Kuvan)

