

Zápis ze setkání Pracovní skupiny Pacientské rady pro inovativní léčbu

konané dne 5. 5. 2022

Program:

- 1.) Cesta léku na vzácná onemocnění procesem schvalování na EMA: positive opinion, designation, registration with EC, MUDr. Kateřina Kopečková, FN Motol
- 2.) Rozdíl mezi termínem "lék na vzácná onemocnění" a "orphan" - co to znamená v rámci naší novely?
- 3.) Přejícné období: paragraf 16 a stanoviska, než je schválena úhrada třetí cestou? Nová metodika některých poskytovatelů při žádání na paragraf 16
- 4.) Horizon scanning, terapeutická zpráva Eurordisu a jak ji číst, Bc. Anna Arellanesová, Ing. René Břečtan

Bc. Arellanesová přivítala všechny přítomné na schůzi a seznámila je s programem.

1.) Cesta léku na vzácná onemocnění procesem schvalování na EMA: positive opinion, designation, registration with EC (MUDr. Kateřina Kopečková, FN Motol)

MUDr. Kopečková přítomné provedla cestou léku na vzácná onemocnění procesem schvalování EMA. Uvedla, že léky pro vzácná onemocnění byly definovány koncem roku 1999, a to nařízením EP a Rady EU č. 141/2000, které definovalo kritéria designace těchto léků a cílem bylo vytvořit právní rámec stimulující průmysl k vývoji těchto léčivých přípravků, zajistit přístup nemocným k lékům, podporovat výzkum, vývoj a uvedení na trh.

Dle nařízení se jedná o léčivé přípravky určené pro léčbu, diagnostiku, i prevenci onemocnění vyskytující se u méně než 5 osob na 10 000 tisíc v EU, přičemž onemocnění je život ohrožující, chronicky invalidizující či závažné a chronické. Dalším kritériem designace je neexistence jiné léčby nebo jiné uspokojivé metody. Lék musí prokázat nějaký přínos (signifiant benefit) oproti již registrovanému léku (přínos = lepší účinnost nebo bezpečnost nebo tzv. major contribution to patient care).

Kdo rozhoduje o statutu orphan:

Rozhoduje Evropská léková agentura (EMA), odpovědná za registraci všech léků v Evropě, konkrétně při ní existující Výbor pro léky pro vzácná onemocnění (Committee for Orphan Medical Products - COMP), v němž sedí zástupci všech členských států, tři zástupci pacientských organizací a tři zástupci Evropské Komise, všichni se stejným hlasovacím právem. Tento výbor posuzuje žádost o designaci. Žadatel o designaci ji může podat v jakémkoli stádiu vývoje před podáním žádosti o registraci. Výbor (COMP) vydá stanovisko ve lhůtě 90 dnů, v případě zamítavého stanoviska se může žadatel odvolat.

Proces designace a registrace:

Paralelně a nezávisle s procesem designace probíhá proces registrace, který se odvíjí na úrovni jiného výboru Evropské lékové agentury, který rozhoduje na základě účinnosti a bezpečnosti, **nikdy nepřihlíží k ekonomickým stránkám.**

V době, kdy lék žádá o registraci a má statut orphanu, se celá složka o klinických zkouškách vrací do Výboru pro léky pro vzácná onemocnění, kde se hodnotí, zda kritéria pro získání statutu orphanu stále trvají. Pokud stále trvají, lék je registrován jako lék pro vzácné onemocnění, pokud netrvají, bude registrován pouze jako léčivý přípravek. (I pokud lék v době registrace ztratí statut orphanu, může se ale stále dostat k pacientovi)

Odstranění z registru

V okamžiku, kdy lék dostává designaci orphanu, je zařazen do registru léků pro vzácná onemocnění. Odstranění z registru je možné:

- 1) na žádost držitele registrace, což se stává často, pokud chce zasahovat do jiných diagnóz, než té orphanové;
- 2) je-li před udělením registrace zjištěno, že lék nespĺňuje kritéria pro designaci;
- 3) na konci desetiletého období, kdy má výhradní právo na trhu sám – po 10 letech od registrace je odstraněn, ale nadále zůstává na trhu jako lék pro jakékoliv běžné onemocnění (non-orphan).

Bc. Arellanesová vznesla dotaz, jak napojit situaci, kdy lék po vymazání z registru ztratí statut orphan, na naši legislativu. René Břečťan zmínil, že by uvítal zřízení (respektive obnovení) Pracovní skupiny pro úpravu oprhanové legislativy. Dále uvedl, že po vymazání z registru je lék pořád lékem na vzácné onemocnění. MUDr. Kopečková dodala, že lék už ovšem už nemá statut léku pro vzácné onemocnění ve smyslu Nařízení. René Břečťan upozornil na to, co bylo účelem a záměrem novely, a že záměrem (vzhledem k přípravným schůzím a důvodové zprávě) nebylo omezení oprhanů ve smyslu aktivní/neaktivní, nebo je negativním způsobem selektovat. Podle jeho názoru po výmazu z registru lék nepozbývá designace léku na vzácná onemocnění.

Paní Camélia Isaic dodala, že proces klinické studie může trvat dlouhou dobu, třeba až 10 let, a může se tak stát, že než lék vznikne a zaregistruje se už mu končí získaná designace. K tomu MUDr. Kopečková oponovala, že 10letá ochranná doba, po níž může čerpat exkluzivitu, začíná běžet až po registraci léku, tato situace tak nemůže nastat.

2.) Rozdíl mezi termínem "lék na vzácná onemocnění" a "orphan" - co to znamená v rámci naší novely zákona o veřejném zdravotním pojištění?

Bc. Arellanesová promítla § 39d zákona č. 48/1997 o veřejném zdravotním pojištění, v němž je stanoveno, že „*Za léčivý přípravek určený k léčbě vzácného onemocnění se považuje léčivý přípravek, který byl **stanoven jako takový** podle přímo užitelného předpisu Evropské unie o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění.*“, přičemž dodala, že právníci, kteří pomáhali s novelou, se upínali ke spojení „stanoven jako takový“. Bc. Arellanesová toto porovnávala s citací ředitelky SÚKL, paní Storové, která řekla, že SÚKL vyžaduje aktivní orphan designaci. Bc. Arellanesová podotýká, že si není jista, jak paní Storová výrok myslela. Účastníci schůzky se

shodují, že pravděpodobně myslela lék zapsaný v registru, s 10letou ochrannou lhůtou po udělení registrace.

Dále Bc. Arellanesová sděluje, že novela neplní svůj účel a neulevuje § 16, ale místo toho vytváří podmínky, které rázně omezují vstup léků. Na dotaz Mgr. Hlaváčové, jestli ví o něčem, čemu to aktivně brání sdělila, že například u cystické fibrózy brzy bude končit aktivní designace používaných léků a také Spinraza pro léčbu SMA bude končit, stejně jako u spousty dalších léků. Na tento problém ani evropské nařízení, ani novela zákona o veřejném pojištění nepomyslela. Camélia Isaac uvedla příklad léku, kterému status orphanu již vypršel, načež začali celosvětoví výrobci léků vytvářet generika standardní cestou.

K dotazu na rozdíl s patentovou ochranou Bc. Arellanesová uvádí, že patentová ochrana trvá v Evropě 20 let a při zisku SPC (dodatkového ochranného osvědčení) se ochrana prodlužuje o 5 let. Patentová ochrana se liší od exkluzivity. Po dobu 10leté exkluzivity na trhu se může objevit další lék, zaregistrovat se, ale nemůže získat statut orphanu ve smyslu nařízení. Registrací u EMA je lék automaticky registrován i u SÚKL, úhrada se řeší na národní úrovni

Bc. Arellanesová zmiňuje výhody registrace v Registru Společenství léčivých přípravků pro vzácná onemocnění, po níž běží market exkluzivita 10 let, kterými jsou poplatkové zvýhodnění na registraci, centralizované procedury a pomoc při přípravě designu klinické studie za účelem registrace.

Ing. Břečtan vyjádřil svůj názor, že v databázi orphanů jsou tři záložky – jedna aktivní, jedna withdrawn, jedna zrušená (expired) a vnímá, že zamítnutý lék je v kategorii zamítnutých, ale pořád nepozbývá designace léku pro vzácná onemocnění. MUDr. Kopečková oponuje, že podle výkladu se jedná jen o léky se statutem orphanu podle Nařízení, tzn. po dobu deseti let od registrace.

Na závěr této sekce shrnuje Bc. Arellanesová, že žádost „třetí cestou“ podali 2 držitelé, u jednoho držitel pozastavil řízení, druhou žádost SÚKL zamítnul, protože již existoval hrazený léčivý přípravek a držitel požadoval úhradu dalšího léku v kombinaci s jinými třemi molekulami, držitel se odvolal. Ostatní vyčkávají, jak dopadnou první rozhodnutí, existence podmínky „aktivního statutu orphanu“ je pro ně omezující. Opět shrnuje, že dlouho očekávaná novela nepřinesla úlevu od § 16, spíše naopak. Jsou kladeny podmínky explicitně nestanovené v zákoně. Žádá ministerstvo o uspořádání nového zasedání pracovní skupiny věnující se úpravě úhrad k projednání implementace, na nichž by se legitimní zástupci ministerstva a SÚKL mohli k tématu mohli vyjádřit a společně se pokusit najít řešení. Dále pro ilustraci rigidity postupu SÚKL uvádí, že po zamítnutí žádosti SÚKL z důvodu již dříve hrazené jedné molekuly léku, vedla se SÚKL jednání, neúspěšná.

Paní Simona Zábranská potvrzuje problém v oblasti cystické fibrózy, v současné době je v ČR zhruba 300 pacientů v situaci, kdy je není jiná možnost než opět žádat o výjimečnou úhradu podle paragrafu 16.

Výstupem této části jednání je všemi účastníky odsouhlasený požadavek na organizaci dalšího jednání pracovní skupiny pro inovace, kde budou přítomni relevantní zástupci Ministerstva zdravotnictví a zástupci SÚKL, případně pojišťoven.

3.) Přechodné období: paragraf 16 a stanoviska, než je schválena úhrada třetí cestou? Nová metodika některých poskytovatelů při žádání na paragraf 16

Bc. Arellanesová prezentovala, jaké změny týkající se § 16. přinesla novela zákona č. 48/1997 Sb. o veřejném zdravotním pojištění. Zásadní změnou je podrobná specifikace celého procesu rozhodování o výjimečné úhradě, kdy jsou nově pevně stanovena procesní pravidla tohoto řízení a jeho průběh, jelikož dosud byly postupy pojišťoven roztržštěné a právní úprava byla dotvářena až judikaturou soudů. Pacient je ze zákona „automaticky“ zastoupen poskytovatelem zdravotních služeb – lékař podává žádost bez nutnosti udělení plné moci ze strany pacienta (k jejímuž udělení v praxi často nedocházelo) a dochází tak ke sjednocení právní úpravy a nastavené praxe. Zdravotní pojišťovna vystupuje v řízení jako tzv. správní orgán (dříve rozhodoval revizní lékař), jsou přesně stanovena pravidla pro doručování, jsou jasně stanoveny lhůty pro vydání rozhodnutí a odvolání, proti zamítavému rozhodnutí se podává odvolání, o němž rozhoduje tzv. revizní komise zdravotní pojišťovny, pojišťovna je oprávněna stanovit dobu, v níž bude výjimečná úhrada poskytována.

Vypíchlá především změnu, na základě, které je pacient ze zákona „automaticky“ zastoupen poskytovatelem zdravotních služeb. Upřesňuje, že žádost o výjimečnou úhradu podle § 16 podává pacient vůči své zdravotní pojišťovně, může se rovněž nechat zastoupit. **Zákon nově předpokládá „automatické“ zastoupení poskytovatelem zdravotních služeb.**

V současné době často dochází k situacím, kdy Všeobecná zdravotní pojišťovna nechce vydávat stanoviska (stanoviska byla vydávána ve spolupráci s odborníky). Pojišťovny tak nepřímou nutí žadatele požádat o úhradu třetí cestou. Tam je pak naráženo ale na problém „aktivního orphanu“, takže jde o zacyklený problém, kde trpí pacienti a jejich rodiny. Objevuje se rozdílné rozhodování o žádosti podle § 16, VZP některé žádosti zamítá plošně, což má negativní dopady na pacienty. Některé rodiny situaci řeší změnou pojišťovny dvakrát do roka.

Bc. Arellanesová poprosila Mgr. Simonu Zábranskou o novinky ohledně informovaných souhlasů a uvádí, že někteří poskytovatelé vydávají metodiku při žádání na §16. Pokud za pacienta připravuje žádost o úhradu ošetřující lékař, pacient musí podepsat méně než 5 dní starý informovaný souhlas. Mgr. Zábranská doplňuje praxí z FN Motol, kdy, pokud přijde pacient k lékaři na kontrolu, kde má dostat lék na vzácné onemocnění, nemůže podepsat na kontrole informovaný souhlas, protože ten se přikládá už k žádosti o úhradu. S tím si ovšem lékaři (alespoň ve FN Motol) poradili a našlo se řešení. Ing. Břečťan doplnil, že nelze žádat zpětně o úhradu a případné odvolání navíc musí podat pouze sám pacient.

K dotazu Mgr. Hlaváčové na upřesnění situace je uvedeno, že některé pojišťovny nechtějí jednat, když vidí, že žadatel může žádat o úhradu třetí cestou, což nás dostává do stejné situace jako dřív, přičemž dříve pojišťovny alespoň vydávaly stanoviska, což dnes nechtějí.

Další dotaz se týkal toho, jak často se dle aktuální úpravy musí podávat žádost o úhradu. Bc. Arellanesová odpovídá, že to je jedním z dotazů na pojišťovny, neboť by pacient žádost nemusel podávat stále dokola každé 3 měsíce, jelikož v zákoně to zakotveno není. Pro pacienty je zatěžující každé 3 měsíce dojíždět k odborníkovi, aby mohla být žádost podána, stejně tak pro lékaře je to zbytečně zatěžující.

Mgr. Hlaváčová se dotázala na ideální komunikační kanál s lékaři. Bylo navrženo oslovit profesora Svačinu (ČLS JEP). Dále se diskutovaly možné způsoby osvěty týkající se tohoto tématu. Vhodné by bylo učinit také dotaz na pojišťovny (v *mezidobí se konalo zasedání Pacientské rady dne 16.5., kde byla problematika také diskutována dle vyjádření nám. Policara a dalších účastníků, kteří se dotazovali na VZP není nutné žádat každé tři měsíce, ale s ohledem na předpokládaný zdravotní stav pacienta i na delší období*).

4.) Horizon scanning, terapeutická zpráva Eurordisu a jak ji číst (Bc. Anna Arellanesová, Ing. René Břečťan)

V poslední části schůze seznámila Bc. Arellanesová přítomné s vyhledáváním, které léky jsou v EMA v procesu klinického hodnocení. Vycházela z Terapeutické zprávy Eurordisu, kterou přítomným doporučila pravidelně sledovat. Poprosila MUDr. Kopečkovou o vysvětlení pojmu *positive opinion* vydaného COMPem. Ta vysvětlila, že se jedná o souhlas, doporučení k udělení designace. Existuje i pediatrický výbor hodnotící léky z pohledu dětské indikace a komise pro pokročilou genovou a buněčnou léčbu.

Ing. Břečťan prezentoval systém horizon scanning pro VO (systém sledování klinických studií) vytvořený v ČAVO. Vychází z Terapeutické zprávy Eurordisu, z níž zjistí, jaké léky byly schválené, Registru Nařízení EP (databáze orphanů) a z Horizon scanningu vytvořeného pro SÚKL a pojišťovny. Dalším zdrojem jsou členové Pacientské rady, pacientské organizace a farmaceutické společnosti. Popsal proces správního řízení o žádosti farmaceutické společnosti – SÚKL se podívá do databáze pacientských organizací vedené ministerstvem. Mgr. Hlaváčová dodala, že pokud SÚKL organizaci v seznamu nenajde, doptává se ministerstva, zda neeviduje žádost o zápis. Dále vysvětlila rozdíl mezi seznamem a databází pacientských organizací – databáze je nezávazná, podle zákon je rozhodující seznam.

Závěr setkání pracovní skupiny:

Výstupem jednání byl všemi účastníky formulovaný požadavek na organizaci dalšího jednání pracovní skupiny během měsíce června 2022, kde bude nadále diskutována problematika novelizovaného zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění, ve vztahu ke vstupu léčivých přípravků na vzácná onemocnění do systému úhrad. Tohoto jednání by se měli účastnit relevantní zástupci Ministerstva zdravotnictví, zástupci SÚKL, případně zástupci plátců – tedy zdravotních pojišťoven.

Bc. Arellanesová poděkovala za účast a ukončila schůzi.

Zapsala Barbora Šotolová, editovala Pavla Mašková

Dne 31.5.2022

