

Αθήνα, 19 Μαρτίου 2024

ΔΕΛΤΙΟ ΤΥΠΟΥ

Ανακοίνωση της Ενωσης Σπανίων Ασθενών Ελλάδος (Ε.Σ.Α.Ε.) για την προστασία της πρώιμης πρόσβασης των ορφανών φαρμάκων στην Ελλάδα, με αφορμή τις δηλώσεις¹ του Υπουργού Υγείας, Αδωνι Γεωργιάδη, οι οποίες καταγράφηκαν και διαδόθηκαν μέσω σειράς ειδησεογραφικών αναφορών στα Μέσα Ενημέρωσης^{2,3,4,5,6}

Αναφορικά με τις δηλώσεις του Υπουργού Υγείας κ. Αδωνι Γεωργιάδη για αυστηροποίηση των διαδικασιών πρώιμης πρόσβασης σε θεραπείες που εισάγονται για τους Έλληνες ασθενείς μέσω του ΙΦΕΤ, η Ε.Σ.Α.Ε. έχει διατυπώσει την πάγια θέση της για την ανάγκη κάλυψης των αναγκών των σπάνιων ασθενών σε ζωτικής σημασίας θεραπείες, κρίσιμες για την επιβίωσή τους, σε ένα βιώσιμο σύστημα Υγείας.

Ωστόσο, θέλουμε να τονίσουμε ότι ο αυτονόητος έλεγχος των διαδικασιών εισαγωγής φαρμάκων μέσω του ΙΦΕΤ θα πρέπει να διατηρήσει την πρώιμη πρόσβαση σε θεραπείες που έχουν λάβει υπό όρους έγκριση από τον FDA (Οργανισμός Τροφίμων και Φαρμάκων ΗΠΑ) και τον EMA (Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων), ώστε να ικανοποιούνται οι ακάλυπτες ανάγκες των Ελλήνων ασθενών, εκ των οποίων 500.000 ζουν με σπάνιες παθήσεις.

Τα προγράμματα πρώιμης πρόσβασης σε φάρμακα που έχουν λάβει «έγκριση υπό όρους» αποτελούν ένα κρίσιμο εργαλείο για την εξασφάλιση της πρόσβασης των ασθενών το οποίο πρέπει να διατηρηθεί χωρίς προσκόμματα.

Η ανακοίνωση της διακοπής χορήγησης στην Ελλάδα του Relvrio (πρώιμης θεραπείας με άδεια επείγουσας πρόωρης χρήσης από τον FDA για τους ασθενείς με Πλάγια Μυατροφική Σκλήρυνση - ALS), παρόλο που αποτελεί ένα μεμονωμένο παράδειγμα, δεν πρέπει να παρεμποδίσει την εισαγωγή φαρμάκων για τους Έλληνες ασθενείς, ειδικά για αυτούς με σπάνιες νόσους.

Υπάρχουν σαφώς περισσότερες περιπτώσεις όπου φάρμακα με «υπό όρους έγκριση» που διατίθενται αρχικά μέσω προγραμμάτων πρώιμης πρόσβασης κατέληξαν σε επιτυχημένη πλήρη έγκριση από τους ρυθμιστικούς μηχανισμούς, προσφέροντας νωρίς τεράστια οφέλη στους ασθενείς.

Η ευθύνη για την αποδοτική λειτουργία των προγραμμάτων πρώιμης πρόσβασης ανήκει σε όλους μας, και απαιτεί συνεργασία και διαφάνεια.

Η Ένωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος (Ε.Σ.Α.Ε.), εκπροσωπώντας τα δικαιώματα των ασθενών με σπάνιες παθήσεις, παραμένει στη διάθεση του Υπουργείου Υγείας, ώστε να συνεισφέρει με την πολύχρονη και συμπυκνωμένη εμπειρία της σε έναν γόνιμο και ουσιαστικό διάλογο με στόχο τη βελτιστοποίηση και την εξασφάλιση της έγκαιρης και ισότιμης πρόσβασης στις θεραπείες, σε ένα βιώσιμο Εθνικό Σύστημα Υγείας.

Επειδή η σοβαρότητα των σπάνιων ασθενειών απαιτεί τεκμηριωμένο λόγο, προσοχή, συμμετοχή, και ενσυναίσθηση στον δημόσιο διάλογο από όλους μας, παρακάτω θα βρείτε ένα πλήρες ενημερωτικό κείμενο θέσεων της Ένωσης με πλήρεις βιβλιογραφικές αναφορές.

Ο Υπουργός Υγείας Αδωνις Γεωργιάδης προανήγγειλε την πρώτη εφαρμογή περιοριστικών μέτρων στην εισαγωγή φαρμάκων από το Ινστιτούτο Φαρμακευτικών Ερευνών και Τεχνολογίας (ΙΦΕΤ), καταγγέλλοντας σπατάλη που προκύπτει από την εισαγωγή πολύ ακριβών φαρμάκων. Επικαλέστηκε την ανάγκη για περιορισμούς στη διαδικασία εισαγωγής μέσω του Συστήματος Ηλεκτρονικής Προέγκρισης (ΣΗΠ), στο πλαίσιο των αυξανόμενων δαπανών του ΙΦΕΤ για φάρμακα, μερικά εκ των οποίων είτε είναι σε μακροχρόνια έλλειψη είτε δεν κυκλοφορούν στην Ελλάδα, με τον Υπουργό να απορρίπτει την επιβολή clawback ως λύση. Επιπλέον, αναφέρθηκε στην ανάγκη θέσπισης νέων προϋποθέσεων για την εισαγωγή φαρμάκων στην Ελλάδα, με σκοπό την εξάλειψη καταχρήσεων και την αλλαγή κριτηρίων αξιολόγησης, ειδικά για φάρμακα που έχουν λάβει έγκριση μόνο από τον Οργανισμό Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA), επισημαίνοντας ότι δεν θα χορηγούνται πλέον τόσο εύκολα φάρμακα που δεν έχουν εγκριθεί από τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων (EMA).

Αφορμή για τις δηλώσεις του Υπουργού στάθηκε η πρόσφατη ανακοίνωση της εταιρείας Amylyx Pharmaceuticals, στις 8 Μαρτίου 2024, σχετικά με το φάρμακο της Relyvrio για την αντιμετώπιση

της σπάνιας νόσου της Πλάγιας Μυατροφικής Σκλήρυνσης (ALS), το οποίο απέτυχε να επιβεβαιώσει την αποτελεσματικότητά του, και ενδέχεται σύντομα, εκουσίως από την εταιρεία, να αποσυρθεί από την παγκόσμια αγορά⁷. Το φάρμακο είχε λάβει άδεια επείγουσας πρόωρης χρήσης από τον FDA το Σεπτέμβριο του 2022 με βάση τα πρώιμα αποτελέσματα φάσης II, αλλά τα τελικά αποτελέσματα φάσης III έδειξαν ότι δεν προσφέρει βελτίωση σε σχέση με το εικονικό φάρμακο. Ο Υπουργός συγκάλυψε έκτακτη σύσκεψη με τη συμμετοχή του ΕΟΦ, του ΙΦΕΤ και της Ελληνικής Νευρολογικής Εταιρείας, προκειμένου να διακοπεί επίσημα η χορήγηση της θεραπείας στη Ελλάδα, όπως αναμένεται να αποσυρθεί και από όλες τις χώρες της Ευρώπης. **Αξίζει ίσως να αναφερθεί ότι η συνάντηση έγινε χωρίς την παρουσία Εκπροσώπου των Ασθενών της Θεραπευτικής κατηγορίας της Πλάγιας Αμυοτροφικής Σκλήρυνσης (ALS), ή των θεσμικών τους Εκπροσώπων, οι οποίοι συμμετέχουν και στις συμβουλευτικές επιτροπές του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων.**

Ο Υπουργός χαρακτήρισε ως αποτυχία των γιατρών την υπερσυνταγογράφηση του φαρμάκου Relvgrio στη χώρα, εκφράζοντας την αγανάκτησή του για τη δαπάνη που σημειώθηκε στον ΙΦΕΤ τα τελευταία δύο χρόνια, τονίζοντας ότι θα διερευνηθούν τυχόν ευθύνες των γιατρών που το συνταγογράφησαν. Τέλος, τόνισε την ανάγκη θέσπισης αυστηρότερων κανόνων για τη χορήγηση και συνταγογράφηση αυτού και παρόμοιων φαρμάκων στο μέλλον.

Ορμώμενοι από αυτά τα γεγονότα, ως Ένωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος (Ε.Σ.Α.Ε.), θα θέλαμε να παρέμβουμε, απαντώντας και θέτοντας τις θέσεις μας σχετικά με τα ζητήματα που ανακύπτουν:

Στην Ελλάδα, εκτιμάται ότι σχεδόν 500.000 άτομα ζουν με μία Σπάνια Πάθηση. Ωστόσο, αν λάβουμε υπόψη τα μέλη της οικογένειας και τους φροντιστές των Σπανίων Ασθενών, περισσότεροι από 1.500.000 άνθρωποι στη χώρα επηρεάζονται άμεσα ή έμμεσα από τις Σπάνιες Ασθένειες. Ειδικότερα:

- Το 50% των ασθενών είναι παιδιά⁸,
- Το 30% δεν φτάνει τα 5 έτη⁹,
- Οι Σπάνιες Παθήσεις ευθύνονται για το 35% των βρεφικών θανάτων⁹,
- Οι Σπάνιες Παθήσεις ευθύνονται για το 58% των παιδιατρικών θανάτων¹⁰,

- Στην Ευρώπη, λιγότερο από το 10% των ασθενών με σπάνιες νόσους λαμβάνουν θεραπεία, ενώ μόλις το 1% ακολουθεί ένα εγκεκριμένο θεραπευτικό πλάνο⁸,
- Ενώ για το 95% των Σπανίων Παθήσεων δεν υπάρχει εγκεκριμένη θεραπεία¹¹.

Οι Σπάνιες Παθήσεις, στην πλειοψηφία τους, είναι πολύπλοκες, χρόνιες και εκφυλιστικές νόσοι με υψηλή θνησιμότητα και αυξημένη νοσηρότητα. Συχνά προκαλούν χρόνια αναπηρία, χαμηλή ποιότητα ζωής για τον ασθενή, αυξημένη ψυχολογική, οικονομική και κοινωνική επιβάρυνση για την οικογένειά του, καθώς και αυξημένες δημόσιες δαπάνες για το Σύστημα Υγείας και Κοινωνικής Ασφάλισης και Κοινωνικής Προστασίας.

Τα ποιοτικά και αριθμητικά στοιχεία καταδεικνύουν την προσοχή, τη σοβαρότητα και την ενσυναίσθηση που απαιτούνται, ιδίως στον δημόσιο λόγο, από όλους τους φορείς.

Η διαδικασία έγκρισης ενός φαρμάκου μπορεί να απαιτήσει χρόνια, ενώ η άμεση ανάγκη θεραπείας από ασθενείς με σοβαρές ή θανατηφόρες ασθένειες είναι επιτακτική. Για αυτόν τον λόγο έχει αναπτυχθεί ο μηχανισμός της «υπό όρους έγκρισης», που δίνει πρόσβαση σε φάρμακα βασισμένα σε έναν περιορισμένο αριθμό δεδομένων από κλινικές δοκιμές, όπως όλα σχεδόν τα εμβόλια του COVID-19. Αυτός ο τρόπος έγκρισης είναι καθοριστικός όταν οι ανάγκες είναι επείγουσες, και τα οφέλη υπερσχύουν των πιθανών κινδύνων, ακόμα και όταν τα πλήρη δεδομένα δεν είναι διαθέσιμα. Τα προγράμματα πρώιμης πρόσβασης δίνουν τη δυνατότητα σε ασθενείς που έχουν άμεση ανάγκη για θεραπεία να λάβουν φάρμακα που δεν έχουν ακόμη πλήρη έγκριση. Η σπουδαιότητα αυτών των προγραμμάτων είναι ακόμα πιο εμφανής σε περιπτώσεις ασθενών με σοβαρές ή θανατηφόρες παθήσεις, και ειδικά για εκείνους που πάσχουν από σπάνια νοσήματα, και διάφορες σπάνιες μορφές καρκίνου. Επειδή αυτές οι παθήσεις συχνά περιορίζονται σε λίγες ή καθόλου επιλογές θεραπείας, η πρόσβαση σε νέες και καινοτόμες θεραπείες που βρίσκονται υπό όρους έγκρισης καθίσταται κρίσιμη. Η άμεση ανάγκη για θεραπεία εξαιτίας της σοβαρότητας ή της θανατηφόρας φύσης αυτών των παθήσεων καταδεικνύει την αναγκαιότητα της έγκαιρης πρόσβασης στις διαθέσιμες θεραπείες. Η βελτίωση της ποιότητας ζωής, καθώς και η μείωση του κοινωνικοοικονομικού φόρτου που επωμίζονται οι ασθενείς και οι οικογένειές τους είναι επιπλέον σημαντικοί παράγοντες που επισημαίνουν την επιτακτική ανάγκη για πρόσβαση σε αυτές τις θεραπείες. Είναι ουσιώδες, λοιπόν, να διασφαλίζεται από το Ελληνικό Σύστημα Υγείας η

υποστήριξη προς τις πρωτοβουλίες που προάγουν την πρόσβαση στις νέες θεραπείες, ειδικά για τους ασθενείς με σπάνιες ασθένειες.

Λόγω της μεγάλης ακάλυπτης ανάγκης αλλά και της έλλειψης θεραπευτικών επιλογών, τόσο ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων (EMA) όσο και ο Οργανισμός Τροφίμων και Φαρμάκων (FDA) έχουν αναπτύξει ειδικά προγράμματα που στοχεύουν στην επιτάχυνση των διαδικασιών αξιολόγησης και έγκρισης νέων φαρμάκων. Είναι συχνό φαινόμενο τα νέα φάρμακα να λαμβάνουν πρώτα την έγκριση στις Ηνωμένες Πολιτείες, με τον FDA να διενεργεί τις αναγκαίες αξιολογήσεις σημαντικά ταχύτερα σε σύγκριση με τον EMA¹².

Ο FDA, ως μια καταξιωμένη ρυθμιστική αρχή παγκοσμίως, αναλαμβάνει πρωτοποριακό ρόλο στη διαδικασία της «υπό όρους έγκρισης» φαρμάκων. Αυτές οι εγκρίσεις από τον FDA συχνά υπηρετούν ως καταλύτης για άλλα Συστήματα Υγείας παγκοσμίως, παροτρύνοντας την εισαγωγή και χρήση αυτών των φαρμάκων στις αγορές τους, ακόμα και πριν από την πλήρη έγκριση ή την ολοκλήρωση της αξιολόγησης από τον EMA. Η διαδικασία της «υπό όρους έγκρισης» φαρμάκων από τον FDA αποτελεί μία κρίσιμη παρέμβαση που επιτρέπει την ταχύτερη πρόσβαση σε πρωτοποριακές θεραπείες για τους ασθενείς. Αυτή η διαδικασία είναι ιδιαίτερα σημαντική για φάρμακα που αντιμετωπίζουν σοβαρές ή θανατηφόρες παθήσεις, όπου η ανάγκη για άμεση θεραπεία είναι επιτακτική. Μέσω αυτής της διαδικασίας, τα φάρμακα μπορούν να εισέλθουν στην αγορά βασιζόμενα σε προκαταρκτικά δεδομένα αποτελεσματικότητας, ενώ συνεχίζονται οι περαιτέρω μελέτες.

Αυτή η ευελιξία επιτρέπει στους ασθενείς να έχουν ισότιμη πρόσβαση σε καινοτόμες θεραπείες πολύ πιο γρήγορα από ό,τι θα ήταν δυνατόν μέσω των παραδοσιακών διαδικασιών έγκρισης. Αυτό είναι ιδιαίτερα σημαντικό σε περιπτώσεις όπου κάθε ημέρα μετράει για τους ασθενείς που αντιμετωπίζουν σοβαρές ασθένειες. Επιπλέον, η «υπό όρους έγκριση» προσφέρει στους Ερευνητές τη δυνατότητα να συλλέξουν σημαντικά δεδομένα από την πραγματική χρήση του φαρμάκου, τα οποία μπορούν να ενισχύσουν την κατανόηση της ασφάλειας και αποτελεσματικότητας του φαρμάκου σε ευρύτερο πληθυσμό. Η προσέγγιση αυτή αντικατοπτρίζει μια ισορροπημένη στρατηγική ανάμεσα στην παροχή πρόσβασης σε καινοτόμες θεραπείες και στη διασφάλιση της δημόσιας υγείας μέσω της συνεχούς αξιολόγησης της ασφάλειας και αποτελεσματικότητας των φαρμάκων. Κατ' αυτόν τον τρόπο, η «υπό όρους έγκριση» από τον FDA

διευκολύνει την πρόσβαση σε πρωτοποριακές θεραπείες, παρέχοντας παράλληλα ένα μέσο για την προστασία της δημόσιας υγείας μέσω ενός πιο δυναμικού πλαισίου ρυθμιστικού ελέγχου.

Καθώς οι Ηνωμένες Πολιτείες συνεχίζουν να κατέχουν την πρωτοπορία παγκοσμίως σε ό,τι αφορά τις δαπάνες για την έρευνα και ανάπτυξη στην Υγεία, η πλειοψηφία των φαρμάκων που βρίσκονται στη φάση της ανάπτυξης προέρχονται από εταιρείες εγκατεστημένες στις Ηνωμένες Πολιτείες. Πολλές από αυτές είναι μικρές βιοτεχνολογικές εταιρείες που, αφού λάβουν έγκριση από τον FDA, δεν προχωρούν ποτέ στη διαδικασία αίτησης για έγκριση από τον EMA. Αυτό συχνά συμβαίνει επειδή μπορεί να μη διαθέτουν τους απαραίτητους πόρους, την υποδομή ή την πρόθεση να υποβάλλουν αίτηση για έγκριση στην Ευρωπαϊκή Ένωση λόγω της μεγάλης πολυπλοκότητας και του υψηλού κόστους της ευρωπαϊκής διαδικασίας έγκρισης, καθώς και λόγω της ανάγκης για προσαρμογή σε διάφορα ρυθμιστικά πλαίσια.

Εξαιτίας αυτής της κατάστασης, η μη έγκριση ενός φαρμάκου από τον EMA δεν θα πρέπει να αποτελεί αυτομάτως εμπόδιο για την εισαγωγή και τη διαθεσιμότητά του στην ελληνική αγορά, όπως ισχύει και στις υπόλοιπες χώρες της Ευρώπης. Εάν, λάβουμε υπόψη μας μόνο τις εγκρίσεις του EMA, παραβλέποντας τις αποφάσεις του FDA, θα προκύψει η κατάσταση όπου ορισμένες ιατρικές ανάγκες στην Ελλάδα θα μείνουν ανεκπλήρωτες. Αυτό καταδεικνύει την ανάγκη για ευέλικτες αλλά και αποτελεσματικές πολιτικές στην Ελλάδα σχετικά με την εισαγωγή φαρμάκων, οι οποίες θα λαμβάνουν υπόψη τις ιδιαιτερότητες της παγκόσμιας φαρμακευτικής αγοράς και των ρυθμιστικών διαδικασιών. Παράλληλα, η δυνατότητα πρόσβασης σε φάρμακα που έχουν εγκριθεί από τον FDA αλλά όχι από τον EMA μπορεί να αποτελέσει ζωτικής σημασίας για ασθενείς με σοβαρές ή θανατηφόρες παθήσεις, οι οποίοι έχουν περιορισμένες θεραπευτικές επιλογές, υπογραμμίζοντας έτσι την ανάγκη για ταχεία προσαρμογή και ευελιξία στις εθνικές ρυθμιστικές πολιτικές.

Είναι, λοιπόν, απαραίτητο το Ελληνικό Σύστημα Υγείας να υποστηρίζει ενεργά τις πρωτοβουλίες που επιτρέπουν την πρόσβαση σε φάρμακα με υπό όρους έγκριση όπως γίνεται σε όλη την υπόλοιπη Ευρώπη, και να διευκολύνει την πρόωρη πρόσβαση, ιδίως για ασθενείς με σπάνιες ασθένειες, ακόμα και αν αυτές οι θεραπείες δεν έχουν -ακόμη- υποβάλει αίτηση για έγκριση στον EMA. Η περίπτωση του Relnrgio, παρόλο που αποτελεί ένα μεμονωμένο παράδειγμα, δεν πρέπει να οδηγήσει σε υπερβολικά αυστηροποιημένες προϋποθέσεις που θα παρεμποδίσουν την εισαγωγή φαρμάκων για τους Έλληνες ασθενείς, ειδικά για αυτούς με σπάνιες νόσους. Υπάρχουν

σαφώς περισσότερες περιπτώσεις όπου φάρμακα με υπό όρους έγκριση που διατίθενται αρχικά μέσω προγραμμάτων πρώιμης πρόσβασης κατέληξαν σε επιτυχημένη πλήρη έγκριση από τους ρυθμιστικούς μηχανισμούς, προσφέροντας νωρίς τεράστια οφέλη στους ασθενείς.

Η ευθύνη για την παρακολούθηση και την ενημέρωση σχετικά με την πρόοδο των κλινικών δοκιμών φαρμάκων που έχουν λάβει υπό όρους έγκριση επαφίεται και στους θεράποντες ιατρούς, αλλά και στις ρυθμιστικές αρχές. Η περίπτωση του φαρμάκου Relyvrio αναδεικνύει τη σημασία της έγκαιρης και ακριβούς ενημέρωσης, καθώς και την ανάγκη για έναν συνεπή και διαφανή μηχανισμό παρακολούθησης των φαρμάκων που διατίθενται μέσω προγραμμάτων πρώιμης πρόσβασης, εξασφαλίζοντας έτσι την ασφάλεια και την ευημερία των ασθενών.

Όσον αφορά τον ρόλο των θεράποντων ιατρών που συνταγογραφούν φάρμακα μέσω προγραμμάτων πρώιμης πρόσβασης, δεν είναι μόνοι σε αυτήν τη διαδικασία, καθώς και οι σχετικές επιτροπές του ΣΗΠ παίζουν επίσης έναν ελεγκτικό ρόλο. Το ζήτημα με το Relyvrio δεν αφορά την αποτυχία των γιατρών να περιορίσουν τη σπατάλη και την κατάχρηση, αλλά αντικατοπτρίζει την εγγενή φύση της διαδικασίας έγκρισης φαρμάκων, η οποία πολλές φορές γίνεται αποδεκτή υπό όρους και προωθείται μέσω προγραμμάτων πρώιμης πρόσβασης έως ότου λάβουν πλήρη έγκριση. Οι γιατροί ακολούθησαν την παγκόσμια τάση για τη χορήγηση εγκεκριμένης θεραπείας, η οποία είναι ενταγμένη σε θεραπευτικά πρωτόκολλα και κατευθυντήριες οδηγίες. Βάσει του περιστατικού με το Relyvrio, επισημαίνεται η ανάγκη για άμεση, έγκαιρη και ακριβή ενημέρωση και παρακολούθηση της πορείας των κλινικών δοκιμών για φάρμακα που είναι εγκεκριμένα υπό όρους και διατίθενται μέσω προγραμμάτων πρώιμης πρόσβασης, ώστε τα Συστήματα Υγείας να αντιδρούν άμεσα για τη διαφύλαξη της υγείας των ασθενών.

Η διασφάλιση της ακρίβειας και της ασφάλειας στη διαδικασία εγκρίσεων φαρμάκων, κυρίως εκείνων που διατίθενται μέσω προγραμμάτων πρώιμης πρόσβασης, απαιτεί συντονισμένη συνεργασία ανάμεσα σε επιμέρους φορείς. Η ανάγκη αυτής της συνεργασίας γίνεται ακόμα πιο επιτακτική όταν αντιμετωπίζουμε περιπτώσεις υποστελέχωσης και μη εξειδίκευσης του ανθρώπινου δυναμικού στις ρυθμιστικές αρχές. Η κατάσταση αυτή εγείρει το ζωτικό ερώτημα: Ποιος φέρει την τελική ευθύνη για την ορθή παρακολούθηση και ενημέρωση σε αυτές τις διαδικασίες; Απαιτείται, λοιπόν, ένα νέο πλαίσιο συνεργασίας, όχι μόνο ανάμεσα στους θεσμικούς φορείς και τις ρυθμιστικές αρχές, αλλά και με άλλους εμπλεκόμενους φορείς, όπως είναι οι

Θεράποντες ιατροί, οι εκπρόσωποι ασθενών και οι εταιρείες φαρμακευτικών προϊόντων. Επιπλέον, απαιτείται η χρήση εργαλείων ως μέρος της αξιολόγησης, όπως το «σύστημα σάρωσης ορίζοντα» (horizon scanning), οι συμφωνίες επιμερισμού κινδύνου και οι συμφωνίες με βάση την έκβαση του αποτελέσματος, μιας και υπάρχει μεγάλη αβεβαιότητα σε ό,τι αφορά αυτές τις νέες θεραπείες, τα Μητρώα Ασθενών, τα δεδομένα πραγματικού κόσμου (Real-World Data-RWD), όλα εργαλεία που η Κοινότητα των ασθενών ζητά έντονα τα τελευταία χρόνια από την Πολιτεία.

Ειδικά σε περιόδους όπου οι πόροι είναι περιορισμένοι και η εξειδίκευση δυσεύρετη, η συλλογική ευθύνη και η διαφάνεια στην επικοινωνία γίνονται ακόμα πιο κρίσιμα στοιχεία.

Η περίπτωση του Relyvrio, παρουσιάστηκε από τα Μέσα Ενημέρωσης ως ακόμα μια ευκαιρία για εξοικονόμηση δαπανών για τον ΙΦΕΤ, μια προσέγγιση που εστιάζει κυρίως στην οικονομική διάσταση. Αυτός ο γνώμονας αδυνατεί να λάβει υπόψη την ουσιαστικότερη προοπτική για την αξία της πρόσβασης σε θεραπείες για τους ασθενείς με σπάνιες παθήσεις. Αντιδρώντας σε αυτή την αποκλειστικά οικονομική προσέγγιση, επιθυμούμε να επικαλεστούμε τη δήλωση από την Αμερικανική Ένωση ALS μετά την ανακοίνωση για την αναποτελεσματικότητα του φαρμάκου, η οποία επισημαίνει τη σημασία της πρώιμης έγκρισης του Relyvrio από τον FDA. Σύμφωνα με τη δήλωση⁷: «Εάν ο FDA δεν είχε δώσει πρώιμη έγκριση, και στη συνέχεια τα αποτελέσματα της δοκιμής PHOENIX ήταν θετικά, χιλιάδες άνθρωποι που ζουν με ALS δεν θα είχαν πρόσβαση σε μια θεραπεία που παρατείνει τη ζωή και ήταν ασφαλής για πάνω από δύο χρόνια. Η κοινότητα των ασθενών εξέφρασε την προθυμία να αναλάβει τον κίνδυνο, ακόμα και αν τελικά το φάρμακο αποδεικνυόταν αναποτελεσματικό». Αυτή η δήλωση υπογραμμίζει ότι η πρώιμη έγκριση φαρμάκων από τους ρυθμιστικούς οργανισμούς μπορεί να αποτελέσει ζωτικής σημασίας παράμετρο για τη γρήγορη πρόσβαση των ασθενών σε θεραπείες που εν δυνάμει μπορούν να βελτιώσουν σημαντικά την ποιότητα και τη διάρκεια της ζωής τους, γεγονός που είναι ιδιαίτερος σημαντικός στις περιπτώσεις των ασθενών με σπάνια νοσήματα, όπου οι θεραπευτικές επιλογές είναι περιορισμένες. Όπως προκύπτει από τον σχολιασμό της Επίκουρης Καθηγήτριας Ιατρικής Δεοντολογίας και Νομικής στο Πανεπιστήμιο της Πενσυλβάνιας για την περίπτωση του Relyvrio, θεωρεί ότι το ρίσκο που ανέλαβε ο FDA ήταν λογικό, και έγινε σε συνεργασία με τους συλλόγους ασθενών, προσθέτοντας για την οικονομική διάσταση του ζητήματος ότι⁷: «Αυτό είναι ένα παράδειγμα όπου, αν πρόκειται να επιτρέψουμε την κυκλοφορία φαρμάκων στην αγορά με αβεβαιότητα, τότε χρειαζόμαστε να έχουμε μεγαλύτερο έλεγχο στην τιμολόγηση». Είναι, λοιπόν,

κρίσιμο να αναγνωρίζεται η ζωτική σημασία της πρόσβασης σε θεραπείες για τους ασθενείς, ακόμα και όταν αυτό συνεπάγεται την ανάληψη κάποιου κινδύνου ή οικονομικού ρίσκου. Η συζήτηση γύρω από το οικονομικό κόστος θα πρέπει να προχωρήσει παράλληλα με την αξιολόγηση της πραγματικής αξίας της προσφερόμενης θεραπείας, σε συνεργασία με τους συλλόγους ασθενών, και με γνώμονα τη βιωσιμότητα του Συστήματος Υγείας, ώστε να διασφαλίζεται η δίκαιη πρόσβαση για όλους.

Η εισαγωγή φαρμάκων μέσω του ΙΦΕΤ αποτελεί μια σημαντική επένδυση στην Υγεία και στην ποιότητα ζωής των ασθενών, και όχι απλώς μια οικονομική δαπάνη για την απόκτηση ακριβών φαρμάκων. Το ΙΦΕΤ λειτουργεί ως κρίσιμο εργαλείο για την εξασφάλιση πρόσβασης σε θεραπείες που είναι καθοριστικές για ασθενείς με σοβαρές και σπάνιες παθήσεις. Υποστηρίζουμε τις προσπάθειες της ηγεσίας του Υπουργείου Υγείας που στοχεύουν στην αποτελεσματική αξιοποίηση των διαθέσιμων πόρων, με κινήσεις που επιδιώκουν την εξοικονόμηση πόρων και την αποφυγή σπατάλης, χωρίς ωστόσο αυτό να θίγει την πρόσβαση των ασθενών σε αναγκαίες θεραπείες.

Επιθυμούμε να συμμετάσχουμε ως Ένωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος στις προγραμματισμένες συναντήσεις στο Υπουργείο Υγείας μαζί με το ΙΦΕΤ, τον Εθνικό Οργανισμό Φαρμάκων (ΕΟΦ) και τον Εθνικό Οργανισμό Παροχών Υγειονομικής Ασφάλισης (ΕΟΠΥΥ), και στις σχετικές επιτροπές ώστε να εκπροσωπήσουμε τα δικαιώματα των ασθενών στις επόμενες αποφάσεις που αφορούν τις εισαγωγές αυτών των φαρμάκων.

Είναι απαραίτητο να καθοριστούν με σαφήνεια οι προϋποθέσεις για την αξιολόγηση και την εισαγωγή των φαρμάκων, με στόχο να μην παραμένουν ανεκπλήρωτες ιατρικές ανάγκες στην Ελλάδα. Αυτό σημαίνει ότι θα πρέπει να διαμορφωθούν συμφωνημένες διαδικασίες που θα επιτρέπουν την ταχεία αξιολόγηση νέων δεδομένων και την έγκαιρη ενσωμάτωση αυτών των πληροφοριών στις υφιστάμενες θεραπευτικές πρακτικές.

Επιπλέον, είναι κρίσιμο να οριστεί ένα σύστημα συλλογικής ενημέρωσης και παρακολούθησης των νέων δεδομένων, ώστε το Σύστημα Υγείας να μπορεί να αντιδρά άμεσα και αποτελεσματικά. Αυτό απαιτεί την ενίσχυση των ρυθμιστικών αρχών με κατάλληλα εκπαιδευμένο και εξειδικευμένο προσωπικό στις κρίσιμες θέσεις.

Η δημιουργία του Εθνικού Μητρώου Ασθενών και η εφαρμογή του Εθνικού Σχεδίου Δράσης για τις Σπάνιες Παθήσεις, που ζητά η Ένωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος (Ε.Σ.Α.Ε.) και οι 500.000

ασθενείς που ζουν με Σπάνιες Ασθένειες στην Ελλάδα, είναι μονόδρομος για την ολιστική διαχείριση και αντιμετώπιση των Σπανίων Νοσημάτων, αλλά και για τη βιωσιμότητα και την ανθεκτικότητα του Ελληνικού Συστήματος Υγείας.

Μόνο μέσα από μια ολοκληρωμένη και συντονισμένη προσπάθεια μπορούμε να εξασφαλίσουμε ότι οι ασθενείς στην Ελλάδα θα έχουν πρόσβαση στις πιο σύγχρονες και αποτελεσματικές θεραπείες, αντιμετωπίζοντας παράλληλα την οικονομική βιωσιμότητα του Εθνικού Συστήματος Υγείας.

Ενωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος (Ε.Σ.Α.Ε.)

Λίγα λόγια για την Ενωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος

Με τους Σπάνιους Ασθενείς να αντιπροσωπεύουν το 3,5-5,9% του πληθυσμού στην Ελλάδα, η ανάγκη για μία συντονισμένη προσπάθεια εκπροσώπησής τους και για μία από κοινού προώπιση του δικαιώματος ισότιμης και καθολικής πρόσβασής τους στις υπηρεσίες Υγείας ήταν επιτακτική.

Το όραμα της Σπάνιας Κοινότητας για ενιαία φωνή έγινε πραγματικότητα τον Φεβρουάριο του 2022 με την ίδρυση της Ε.Σ.Α.Ε., με βασικό αίτημά της «Κανένας Σπάνιος Ασθενής να μη μείνει πίσω», που αποτελεί και στόχο της Ατζέντας 2030 των Ηνωμένων Εθνών για τη Βιώσιμη Ανάπτυξη.

Η Ε.Σ.Α.Ε. είναι μία Ενωση Οργανώσεων Ασθενών μη κερδοσκοπικού χαρακτήρα, με έδρα την Αθήνα και περιφέρεια ολόκληρη την ελληνική επικράτεια, η οποία, αυτήν τη στιγμή, συγκεντρώνει υπό τη σκέπη της 30 Συλλόγους, Σωματεία και ΑΜΚΕ με ασθενείς που ζουν με Σπάνιες Ασθένειες και Νοσήματα.

Σήμερα, αποτελεί τον μεγαλύτερο φορέα εκπροσώπησης των Σπανίων Ασθενών και των αναγκών τους στην Ελλάδα, με μέλη σε Επιτροπές και Ομάδες Εργασίας, όπως στην Επιτροπή Σπανίων Νοσημάτων, στην Ομάδα Εργασίας Μητρώου για τα Σπάνια Νοσήματα, στην Επιτροπή Φαρμακευτικής Δαπάνης Θεραπευτικών Πρωτοκόλλων και Μητρώων του υπουργείου Υγείας κ.ά. Παράλληλα, είναι ο επίσημος φορέας εκπροσώπησης της Ελλάδας στο εξωτερικό, μέλος του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Σπανίων Παθήσεων (EURORDIS), καθώς και του Συμβουλίου των Εθνικών Ενώσεων της Ευρώπης (Council of National Alliances).

Αναφορές

1. Δηλώσεις κατά τη διάρκεια της ημερίδας του Πανελληνίου Φαρμακευτικού Συλλόγου για τη φαρμακευτική πολιτική στις 11 Μαρτίου 2024 και του συνεδρίου Economist για τις πολιτικές στον καρκίνο στις 12 Μαρτίου 2024.
2. <https://www.newsit.gr/ellada/georgiadis-mono-me-egkrisi-tou-ema-tha-xorigountai-farmaka-sti-xora-katagellei-yperisyntagografisi/4030836/>
3. <https://www.flash.gr/sto-mikroskopio-2-farmaka-poy-eisagontai-meso-ifet-dothikan-ekatommyria-kai-apetychan-stis-klinikes-meletes-925148>
4. <https://www.mononews.gr/health/healthstories/adonis-georgiadis-gia-ifet-to-pe-ke-to-kane-beni-o-protos-koftis>
5. <https://www.parapolitika.gr/politiki/article/1362212/adonis-georgiadis-apotuhia-ton-giatron-i-sudagografisi-tou-relyvrio/>
6. <https://www.in.gr/2024/03/13/greece/aksiologisi-sta-nea-farmaka-pou-einai-viosima-gia-ton-proypologismo/>
7. <https://edition.cnn.com/2024/03/08/health/als-drug-relyvrio-fails-trial/index.html>
8. American Association for the Advancement of Science. 7,000 Challenges: The Basis and Burden of Rare Diseases (2021). <https://www.science.org/content/webinar/7000-challenges-basis-and-burden-rare-diseases>
9. Rare Genomics Institute. What Are Rare Diseases? Rare Disease Facts. (2021). <https://www.raregenomics.org/rare-disease-facts>
10. Gunne, E., McGarvey, C., Hamilton, K. et al. A retrospective review of the contribution of rare diseases to paediatric mortality in Ireland. Orphanet J Rare Dis 15, 311 (2020). <https://doi.org/10.1186/s13023-020-01574-7>
11. European Commission. Horizon: The EU Research & Innovation Magazine (2024). <https://projects.research-and-innovation.ec.europa.eu/en/horizon-magazine/expanding-research-rare-diseases>
12. Joppi R, Bertele V, Vannini T, Garattini S, Banzi R. Food and Drug Administration vs European Medicines Agency: Review times and clinical evidence on novel drugs at the time of approval. Br J Clin Pharmacol. 2020 Jan;86(1):170-174. doi: 10.1111/bcp.14130. Epub 2019 Dec 16. PMID: 31657044; PMCID: PMC6983504.