

„ORPHAN“ LIEKY

Magdaléna Kuželová¹, Kateřina Kubáčková²

Členky výboru COMP (Committee for orphan medicinal products), EMEA, Londýn, UK nominované za Slovenskú a Českú republiku

¹Katedra farmakológie a toxikológie FaFUK, Bratislava

²Radioterapeuticko-onkologické oddelení FN Motol, Praha

Klin Farmakol Farm 2007; 21: 3

Pacienti so zriedkavými ochoreniami, ktoré sú často vážne, chronické, invalidizujúce a život ohrožujúce, sú znevýhodnení oproti pacientom, ktorí majú častejšie sa vyskytujúce ochorenia. Zriedkavo sa vyskytujúcimi ochoreniami trpí v EÚ 6–8% obyvateľov a ako zriedkavé sú klasifikované ochorenia s prevalenciou nižšou ako 5 chorých na 10 000 obyvateľov. Poznatky o mnohých zriedkavo sa vyskytujúcich ochoreniach sú nedostatočné, chýbajú informácie o patofyziológii ochorenia. Pacienti alebo rodinní príslušníci často získavajú informácie svojpomocne. Mnohokrát je presná diagnóza ochorenia stanovená neskoro, pretože neexistujú vhodné skriningové metódy. Farmaceutické firmy nemajú záujem vyrábať lieky pre úzku skupinu pacientov. Pacienti so zriedkavými ochoreniami majú ale rovnaké právo na kvalitnú liečbu ako pacienti s často sa vyskytujúcimi ochoreniami.

Na základe toho bola uzákonená legislatíva platná v USA od roku 1983 (1) a v EÚ od roku 2000, ktorá je nádejou pre pacientov so zriedkavo sa vyskytujúcimi ochoreniami, pretože podporuje a stimuluje vývoj a výrobu liekov v malom množstve tak, aby bola ekonomicky výhodná pre výrobcov liekov. Európska legislatíva je zhrnutá v nariadení (ES) č. 141/2000 (2) a nariadení komisie (ES) č. 847/2000 (3) a priamo platí v každom členskom štáte únie. Lieky, ktoré sú určené na liečbu zriedkavých ochorení sa nazývajú „orphan“ lieky (OMP – orphan medicinal products) (angl. orphan – sirota). Európska legislatíva definuje OMP ako **lieky určené pre diagnózu, prevenciu alebo liečbu život ohrožujúcich alebo veľmi vážnych ochorení, ktoré sú zriedkavé a nevyskytujú sa častejšie ako u 5 chorých na 10 000 osôb v Európskej únii alebo lieky, ktoré by sa z ekonomických dôvodov bez výhod nevyrábali.**

Výrobcovia liekov sú povinní, aby mohol byť liek dezignovaný ako „orphan“ liek, okrem kritérií uvedených v predchádzajúcej definícii, dostatočne vedecky zdôvodniť plánované použitie lieku aj vzhľadom k existujúcej terapii. O dezignácii, ktorá sa môže udeliť v akomkoľvek štádiu vývoja lieku rozhoduje vedecký výbor pre OMP (COMP) v EMEA, Londýn so zastúpením každého členského štátu EÚ (4). Výsledkom dezignačného procesu je zaradenie lieku do **registra OMP** (5), ktoré umožňuje výrobcom

liekov využívať výhody pri ďalšom vývoji lieku na danú indikáciu.

Možnosť získať po registrácii dlhodobé výlučné postavenie na trhu (market exkluzivita) je najvýznamnejším stimulom pre výrobcov liekov. Je potrebné zdôrazniť, že registračný proces prebieha za rovnakých kritérií ako u ostatných liekov s dôkazom kvality, účinnosti a bezpečnosti liečby. Dôležitým stimulom je možnosť požiadať pri ďalšom vývoji lieku o kvalifikovanú bezplatnú radu, ktorá sa často týka dizajnu klinických štúdií, tak aby sa zabezpečila bezproblémová registrácia lieku na danú indikáciu. Poplatky za registračný proces sú tiež znížené. EÚ v značnej miere prispieva k rozvoju v oblasti výskumu a vývoja liekov pre liečbu zriedkavo sa vyskytujúcich ochorení a vyčleňuje pre tieto účely každoročne viac finančných prostriedkov. Niektoré členské štáty EÚ majú národné vedecké programy, ktoré podporujú aktivity v tejto oblasti. Viac sa o problematike „orphan“ liekov môže čitateľ dozvedieť v článku autorov Kuželová a spol. (6).

Za úspech európskej liekovej politiky možno považovať, že vedecký výbor COMP dezignoval ako OMP za 7 ročné pôsobenie už 431 produktov a vedecký výbor CHMP udelil 34 pozitívnych rozhodnutí o registrácii pre tieto lieky, 11 v poslednom roku. Úspechy v liečbe niektorých ochorení budú prezentované v nasledujúcich článkoch. Pôvodne sa predpokladalo, že priemerná doba od dezignácie po registráciu OMP bude päťročná, ale ako sa ukazuje bude v EÚ kratšia. Dá sa predpokladať, že podiel registrácií OMP, ktoré sa uskutočňujú centralizovanou procedúrou v EMEA, bude v nasledujúcich rokoch rýchlym tempom narastať. Napriek týmto optimistickým číslam a prognózam treba ale podotknúť, že reálna dostupnosť pacientov k OMP nie je dostatoč-

ná. To platí v plnej miere aj pre Českú a Slovenskú republiku. Hoci sa u nás zvyšuje dostupnosť a plná úhrada týchto liekov, ktoré patria k najdrahším, nemôžeme byť spokojní so súčasnou situáciou v ČR ani v SR.

Záverom je potrebné poukázať na problémy, ktorých riešenie by mohlo urýchliť a zlepšiť reálny prístup pacientov k OMP aj v našich podmienkach. Bolo by nutné zriadiť inštitúciu popri prípade komisiu, ktorá by sa zaoberala problematikou zriedkavo sa vyskytujúcich ochorení a ich liečbou. Je potrebné v ČR aj v SR zvýšiť podporu a preferovať výskum aspoň niektorých zriedkavo sa vyskytujúcich ochorení a ich liečby. Bolo by výhodné získať podobne ako v iných štátoch EÚ finančné prostriedky formou grantov na preklad **Orphanetu**, najväčšej európskej databázy o 3600 zriedkavých ochoreniach, do národných jazykov (7). Tým by sa zvýšila informovanosť odbornej aj laickej verejnosti o zriedkavých ochoreniach. V neposlednom rade je potrebné zvýšiť komunikáciu medzi existujúcimi patientskymi organizáciami a odbornou zdravotníckou verejnosťou, pomôcť spolupracovať pacientom a ich rodinným príslušníkom s najväčšou európskou patientskou organizáciou **Eurordis**, ktorá zastrešuje 270 európskych patientskych organizácií (8).

Stanoviská uvedené v editoriálnom článku vyjadrujú názory autorov, ale nie stanoviská výboru COMP, EMEA

doc. RNDr. Magdaléna Kuželová, CSc.
Katedra farmakológie a toxikológie FaFUK
Kalinčiakova 8, 832 32 Bratislava
e-mail: kuzelova@fpharm.uniba.sk

Literatúra

1. Haffner ME. Orphan drug product regulation – United States. *Int. J. Clin. Pharmacol. Ther.*, 2002; 40: 84–88.
2. Regulation (EC) No 141/2000 of the European parliament and of the council. *Off. J. Eur. Commun.*, 2000; 43: L18, 1–5.
3. Commission regulation (EC) No 847/2000. *Off. J. Eur. Commun.*, 2000; 43: L103, 5–8.
4. EMEA – Londýn, Veľká Británia: <http://www.emea.europa.eu>
5. Register orphan liekov: <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/alforphreg.htm>
6. Kuželová M, Kubáčková K, Palágyi M, Šmíd M. Nádej pre pacientov so zriedkavo sa vyskytujúcimi ochoreniami – „orphan“ lieky. *Čas. Lék. čes.* 2006; 145: 296–300.
7. Orphanet: <http://www.orpha.net>
8. Eurordis: <http://www.eurordis.org>