

Pacjenci z chorobami rzadkimi bez dostępu do wielu nowoczesnych terapii

Fot. Thinkstock / Getty Images

Polski system refundacji leków jest niekorzystny dla pacjentów z chorobami rzadkimi. Stosowany system oceny sprawia, że niemal wszystkie leki sieroce wypadają w testach jako nieopłacalne kosztowo, a więc nie podlegają refundacji. Resort zdrowia pracuje nad zmianami w tym zakresie.

W listopadzie projekt ma trafić do konsultacji publicznych. Zdaniem ekspertów w Polsce niezbędne jest wprowadzenie alternatywnych metod oceny oraz systemu finansowania, m.in. odrębnych budżetów dla chorób rzadkich oraz tzw. instrumentu dzielenia ryzyka.

Choroby rzadkie to bardzo rzadko występujące schorzenia, zazwyczaj o podłożu genetycznym, a także przewlekłym i często ciężkim przebiegu. W Polsce cierpi na nie 2-3 mln osób. Do chorób rzadkich należy 90 proc. wszystkich nowotworów krwi. W ciągu ostatnich 25 lat zachorowalność na nowotwory hematologiczne w Polsce zwiększyła się ponad dwukrotnie. Szacuje się, że co roku zapada na nie 10 tys. osób. Nowotwory krwi są nieuleczalne, mogą jednak stać się chorobami przewlekłymi. Nowoczesne terapie są bowiem w stanie nie tylko przedłużyć życie chorych, lecz także znacznie poprawić jego jakość.

- W medycynie funkcjonuje pojęcie „niezaspokojonej potrzeby” i to dotyczy przede wszystkim chorych, którzy mają przewlekłe postępujące nowotwory krwi, którzy wyczerpali dotychczasowe metody leczenia, natomiast dzięki zastosowaniu nowych leków mogą jeszcze lata żyć. W hematologii chodzi o lata życia i to jest cel, który chcemy osiągnąć - mówi agencji informacyjnej Newseria prof. Wiesław Jędrzejczak, konsultant krajowy w dziedzinie hematologii, kierownik Katedry i Kliniki Hematologii i Chorób Wewnętrznych Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego.

Jednym z rzadkich nowotworów krwi jest mielofibroza, czyli zwłóknienie szpiku kostnego, na którą w Polsce choruje ok. 1 tys. osób. Jest to mało znane schorzenie, nastrożające licznych problemów diagnostycznych. Rozpoznawane jest najczęściej u osób starszych. Mielofibroza ma bardzo ciężki przebieg, a jakość życia pacjentów jest przez to znacznie obniżona. Nowoczesne leki są w stanie zahamować rozwój choroby, a także złagodzić objawy, co skutkuje poprawą jakości życia.

- To, na czym skupiamy się w koalicji zrzeszającej prawie 100 tys. pacjentów, to pomoc tym organizacjom czy tym grupom chorych, którzy nie mają swojej reprezentacji i nigdy mocnym głosem nie będą się w stanie upomnieć o swoje prawa. Rozwiązania, które w tej chwili funkcjonują w Polsce, czyli naliczanie i wartość ekonomiczna leku czy wartość w przeliczeniu na PKB danego człowieka, niestety, nie są korzystne dla pacjentów z chorobami rzadkimi - mówi Szymon Chrostowski, prezes Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych.

Polscy pacjenci hematologiczni mają ograniczony dostęp do nowoczesnych terapii - miesięczny koszt leczenia przekracza możliwości większości chorych, a znaczna liczba leków nie jest objęta refundacją. Z raportu dr Rafała Zyśka, farmakoekonomisty z Uczelni Łazarskiego, wynika, że w latach 2014-2015 Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji wydała rekomendacje dla 23 leków hematologicznych w 50 wskazaniach, z czego pozytywnie zarekomendowano 17 leków w 19 wskazaniach. Spośród pozytywnie zarekomendowanych leków refundacją objętych zostało tylko 10

leków w 15 wskazaniach. Zdaniem ekspertów wynika to przede wszystkim z niedopasowania systemu oceny i finansowania.

- W Polsce mamy najbardziej restrykcyjne przepisy w Europie, jeśli chodzi o ocenę technologii medycznych. Stosowany jako miernik tej opłacalności leczenia jest wskaźnik QALY (rok życia skorygowany o jakość) oraz wskaźnik kosztowy (koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość). To powoduje, że praktycznie wszystkie technologie sieroce i ultrasieroce są nieopłacalne – mówi dr Rafał Zyśk.

Zdaniem eksperta podstawą zmian w systemie oceniania skuteczności leków jest rezygnacja z metody QALY na rzecz alternatywnych form oceny. W zakresie finansowania niezbędne jest stworzenie odrębnych budżetów przeznaczonych na terapię chorób rzadkich oraz wprowadzenie tzw. risk sharing scheme, czyli instrumentów dzielenia ryzyka. System RSS zakłada, że za terapię skuteczną płaci płatnik, koszt leczenia nieskutecznego ponosi natomiast producent leku.

W resorcie zdrowia trwają obecnie prace nad nowelizacją ustawy refundacyjnej, która ma poprawić dostępność do nowoczesnych terapii. Projekt jest na etapie konsultacji wewnątrzresortowych, w listopadzie ma trafić do konsultacji publicznych, a następnie do prac w parlamencie.

Zdaniem ekspertów zmiany w polskiej hematologii powinny obejmować ponadto utworzenie mechanizmu udostępniania leków nieobjętych refundacją (poza badaniami klinicznymi), zwiększenie dynamiki udostępniania nowych terapii oraz wprowadzenie możliwości wczesnego dostępu do leków jeszcze niezarejestrowanych, a mających dobre rokowania.

Źródło: Newseria