



Katarzyna Czyżewska, 2021-12-09 09:20

Katarzyna Czyżewska:

## Wczesny dostęp do leków w świetle planowanych zmian w prawie



Fot. Marcin Petruszka

**Co do zasady, warunkiem udostępnienia leku pacjentom jest jego uprzednie dopuszczenie do obrotu; a uzyskanie stosownego pozwolenia nie jest możliwe przed przeprowadzeniem badań przedklinicznych i klinicznych, które mają potwierdzić odpowiednią skuteczność i bezpieczeństwo leku. Dlatego od wstępnego opracowania formuły leku do jego wprowadzenia na rynek może upłynąć nawet wiele lat.**

Co jednak w przypadku, gdy już zgromadzone dane o jakości i skuteczności jeszcze niezarejestrowanego preparatu pozwalają przypuszczać, że lek mógłby pomóc uratować zdrowie, a nawet życie, pacjentów, którzy dotychczas nie mieli dostępnych żadnych opcji terapeutycznych? Czy wolno przyspieszyć dostęp do leku w imię pomocy ciężko chorym ludziom, w sytuacji, gdy taka jeszcze niezarejestrowana terapia niesie ze sobą pewne ryzyko?

To zagadnienie, dotyczące zastosowania leku podyktowanego współczuciem (ang. „*compassionate use*”), nie jest obecnie uregulowane w przepisach polskiego prawa; co nie oznacza jednak, że przyspieszenie dostępu do leczenia z uwagi na ciężką sytuację chorego nie jest dopuszczalne. Podstawy do umożliwienia pacjentom uzyskania dostępu do leku niezarejestrowanego (nie tylko w Polsce, ale w ogóle nigdzie na świecie) daje art. 83 Rozporządzenia 726/2004 ustanawiającego wspólnotowe procedury wydawania pozwoleń dla produktów w leczniczych stosowanych u ludzi i do celów weterynaryjnych; przy czym przepis ten ma zastosowanie wyłącznie do produktów (objętych wnioskiem o dopuszczenie do obrotu lub będących w trakcie badań klinicznych), które kwalifikują się do rejestracji centralnej. Również przepisy polskiego Prawa farmaceutycznego pozwalają na ubieganie się o wyjątkowe dopuszczenie do obrotu leku niezarejestrowanego, w szczególności w przypadku zagrożenia życia lub zdrowia ludzi (art. 4 ust. 8 PF). Żadna z tych regulacji nie zawiera jednakże szczegółowych warunków, które należy spełnić, zanim będzie możliwe wprowadzenie do obrotu leku nieposiadającego zwykłego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, w celu ratowania zdrowia lub życia pacjentów; z tego powodu ich stosowanie jest w praktyce trudne.

Dlatego warto odnotować, że opublikowana 27 września b.r. uchwała nr 110 Rady Ministrów w sprawie przyjęcia dokumentu Plan dla Chorób Rzadkich zawiera zapowiedź wprowadzenia do polskiego prawa przepisów regulujących zasady zastosowania leku powodowanego współczuciem. Nowe przepisy mają określić zasady prowadzenia programów *compassionate use* oraz odpowiedzialności poszczególnych instytucji krajowych i ich współpracy z Europejską Agencją Leków, metod finansowania oraz procedur bezpieczeństwa. W Planie dla Chorób Rzadkich zwrócono w szczególności uwagę na rolę takich programów w poprawie dostępu pacjentów do leczenia, w tym na konieczność zapewnienia możliwości kontynuacji leczenia nowym lekiem uczestnikom badania klinicznego, w czasie, gdy toczy się już postępowanie rejestracyjne dla leku. Rzeczywiście, pozbawienie pacjentów leczenia po zakończeniu badania klinicznego, zwłaszcza, jeżeli okazało się ono nadzwyczaj skuteczne, tylko z powodu przedłużającego się procesu rejestracyjnego, budzi poważne wątpliwości etyczne, które firmy farmaceutyczne coraz częściej rozwiązują właśnie poprzez różne programy bezpłatnego zapewnienia pacjentom leku na zasadach *compassionate use*.

Plan dla Chorób Rzadkich wspomina także o innej formie wspierania dostępu do leków, jaką w praktyce stosują ich producenci, a mianowicie, o programach wczesnego dostępu. Te programy dotyczą leków już zarejestrowanych, ale nie znajdujących się jeszcze w obrocie (na przykład z uwagi na trwające postępowanie refundacyjne). Zdarza się, że taki produkt leczniczy jest szybciej udostępniany szczególnie potrzebującym pacjentom, na koszt jego producenta, po to, by pacjenci wymagający pilnego leczenia nie musieli z jego rozpoczęciem czekać na przykład do pozytywnej decyzji o refundacji. W świetle informacji zawartych w Planie dla Chorób Rzadkich, również programy wczesnego dostępu mają być uregulowane w przepisach prawa.

Nowe regulacje, dotyczące zarówno zastosowania leku powodowanego współczuciem, jak i programów wczesnego dostępu, mają być wdrożone do końca przyszłego roku; co oznacza, że projekt odpowiednich zmian w prawie powinniśmy poznać w najbliższych miesiącach.

Katarzyna Czyżewska – adwokat

Czyżewscy kancelaria adwokacka