



Το ταξίδι μιας καινοτόμας θεραπείας

Δημήτρης Κοντοπίδης

02.03.2021



ΟΙ ΣΠΑΝΙΟΙ ΑΣΘΕΝΕΙΣ σε αριθμούς

- Εμφάνιση σε **<1 στους 2.000** ανθρώπους
- **6.000–8.000** διαφορετικές σπάνιες παθήσεις
- **72%** είναι γενετικής φύσης
- **30** εκατομμύρια στην Ευρώπη
- **70%** προσβάλλει παιδιά
- **30%** των παιδιών πεθαίνουν έως 5 ετών



ΟΙ ΒΑΣΙΚΑ ΠΡΟΒΛΗΜΑΤΑ στην θεραπεία μας

- **«Διαγνωστική Οδύσσεια»**
η οποία μπορεί να διαρκέσει από 5 έως 30 έτη.
- **Για το 95% δεν υπάρχει θεραπεία**
εξαιρετικά χαμηλό προσδόκιμο ζωής



ΟΙ ΒΑΣΙΚΑ ΠΡΟΒΛΗΜΑΤΑ στην θεραπεία μας

- **Ορφανά**

Φάρμακα

Οι ασθένειες για τις οποίες προορίζονται τα ορφανά φάρμακα είναι τόσο σπάνιες που οι φαρμακευτικές εταιρείες και οι σπόνσορες εμφανίζονται διστακτικές στην ανάπτυξη τέτοιων φαρμάκων.

- Οικονομικοί λόγοι
- Κίνητρα ανάπτυξης νέων φαρμάκων (EMA)

”

Η άμεση πρόσβαση σε καινοτόμες
θεραπείες, είναι **ζωτικής σημασίας** ειδικά
για τις σπάνιες παθήσεις που για το 95%
των ασθενών δεν υπάρχει θεραπεία



ΟΙ ΖΩΤΙΚΗΣ ΣΗΜΑΣΙΑΣ η άμεση πρόσβαση

- **ταχύτητα** στην έγκριση κυκλοφορίας
(FDA, EMA, ΕΟΦ)
- **Αποζημίωση** - υψηλού κόστους
(ΕΟΠΥΥ, ΙΦΕΤ)



ΤΟ «ΤΑΞΙΔΙ» ΤΟΥ καινοτόμου φαρμάκου

- **ΚΟΜΒΙΚΟ ΡΟΛΟ**
στην άμεση πρόσβαση οι ενημερωμένοι
ασθενείς



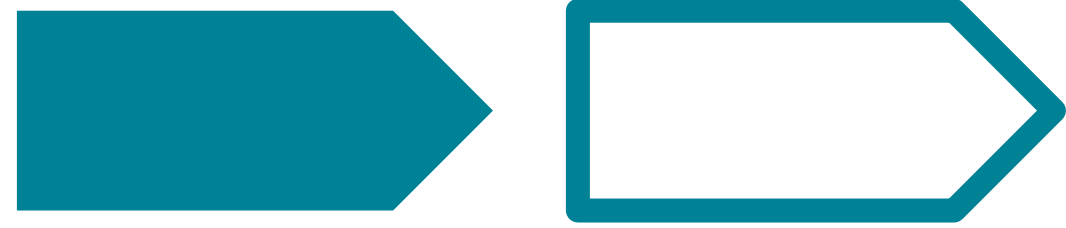
ΤΟ «ΤΑΞΙΔΙ» ΜΙΑΣ ΚΑΙΝΟΤΟΜΑΣ ΘΕΡΑΠΕΙΑΣ

σε 6 διακριτές φάσεις



1. ΚΛΙΝΙΚΗ ΜΕΛΕΤΗ

- Σε τρία στάδια: α', β', γ'



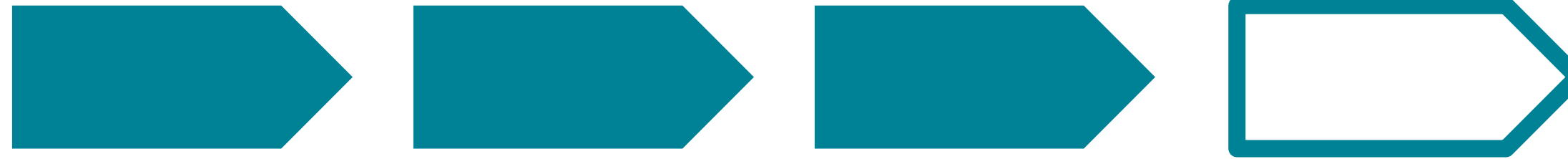
2. ΕΓΚΡΙΣΗ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ

- Σε Αμερική (FDA) / Ευρώπη (EMA)
- Σε Ελλάδα (ΕΟΦ)



3. ΤΙΜΟΛΟΓΗΣΗ

- Σε Αμερική (FDA) / Ευρώπη (EMA)
- Σε Ελλάδα (ΕΟΦ)



4. ΑΞΙΟΛΟΓΗΣΗ

- Επιτροπή ΗΤΑ



5. ΔΙΑΠΡΑΓΜΑΤΕΥΣΗ

- Επιτροπή Διαπραγμάτευσης Τιμών
- Προτείνει στον Υπουργό Υγείας



6. ΕΓΚΡΙΣΗ ΑΠΟΖΗΜΙΩΣΗΣ

- Εντός 180 ημερών



6. ΕΓΚΡΙΣΗ ΑΠΟΖΗΜΙΩΣΗΣ

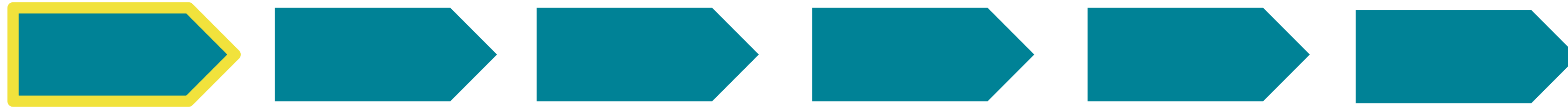
- Εντός 180 ημερών

Τί γίνεται όταν οι ασθενείς κινδυνεύουν?

- δεν υπάρχει δυνατότητα μεταμόσχευσης πνεύμονα



ΤΙ ΚΑΝΑΜΕ στην **Κυστική Ίνωση**



1. ΚΛΙΝΙΚΗ ΜΕΛΕΤΗ

- Στην 3η φάση **Άυγουστο 2019**



το χάπι που
«παγώνει την νόσο»



2. ΕΓΚΡΙΣΗ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ

- Σε Αμερική (FDA) **Οκτώβριος 2019**



Άρνηση μεταμόσχευσης



2. ΕΓΚΡΙΣΗ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ

- Σε Αμερική (FDA) **Οκτώβριος 2019**
- Κάλεσμα Φαρμακευτικής **Νοέμβριος 2019**



Άρνηση μεταμόσχευσης



2. ΕΓΚΡΙΣΗ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ

- Σε Αμερική (FDA) **Οκτώβριος 2019**
- Κάλεσμα Φαρμακευτικής **Νοέμβριος 2019**
- Έναρξη Πρώιμης πρόσβασης **Απρίλιος 2020**



Άρνηση μεταμόσχευσης



2. ΕΓΚΡΙΣΗ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ

- Σε Αμερική (FDA) **Οκτώβριος 2019**
- Κάλεσμα Φαρμακευτικής **Νοέμβριος 2019**
- Έναρξη Πρώιμης πρόσβασης **Απρίλιος 2020**
- Δημιουργία Εθνικού Μητρώου **Ιούλιος 2020**



Άρνηση μεταμόσχευσης



2. ΕΓΚΡΙΣΗ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ

- Σε Αμερική (FDA) **Οκτώβριος 2019**
- Κάλεσμα Φαρμακευτικής **Νοέμβριος 2019**
- Έναρξη Πρώιμης πρόσβασης **Απρίλιος 2020**
- Δημιουργία Εθνικού Μητρώου **Ιούλιος 2020**
- Έγκριση σε Ευρώπη (EMA) **Άυγουστος 2020**



Άρνηση μεταμόσχευσης

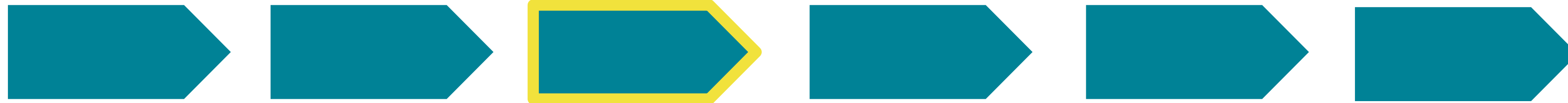


2. ΕΓΚΡΙΣΗ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ

- Σε Αμερική (FDA) **Οκτώβριος 2019**
- Κάλεσμα Φαρμακευτικής **Νοέμβριος 2019**
- Έναρξη Πρώιμης πρόσβασης **Απρίλιος 2020**
- Δημιουργία Εθνικού Μητρώου **Ιούλιος 2020**
- Έγκριση σε Ευρώπη (EMA) **Άυγουστος 2020**
- Έγκριση σε Ελλάδα (ΕΟΦ) **Οκτώβριος 2020**



Άρνηση μεταμόσχευσης



3. ΤΙΜΟΛΟΓΗΣΗ

- Τιμολόγηση (ΕΟΦ) **Νοέμβριος 2020**



Άρνηση μεταμόσχευσης



4. ΑΞΙΟΛΟΓΗΣΗ

- Αξιολόγηση **Μάρτιος 2021**



Άρνηση μεταμόσχευσης



5. ΔΙΑΠΡΑΓΜΑΤΕΥΣΗ

- Διάσωση > 30 ασθενών μέσω πρώιμης



Άρνηση μεταμόσχευσης



5. ΔΙΑΠΡΑΓΜΑΤΕΥΣΗ

- Διάσωση > 30 ασθενών μέσω πρώιμης
- Σταδιακή εισαγωγή μέσω ΣΗΠ



Άρνηση μεταμόσχευσης



5. ΔΙΑΠΡΑΓΜΑΤΕΥΣΗ

- Διάσωση > 30 ασθενών μέσω πρώιμης
- Σταδιακή εισαγωγή μέσω ΣΗΠ
- Αναμονή αποζημίωσης σε χρόνο ρεκόρ



Άρνηση μεταμόσχευσης



ΣΥΜΠΕΡΑΣΜΑ

Όταν οι ασθενείς Τολμούν, μπορούν





ΣΥΜΠΕΡΑΣΜΑ

Όταν οι ασθενείς Τολμούν, μπορούν

- Γνώση στην πολιτική φαρμάκου
- Στρατηγική
- Συνεργασία



ΟΙ ΣΠΑΝΙΟΙ ΑΣΘΕΝΕΙΣ



”

Άμεση πρόσβαση στις
καινοτόμες θεραπείες

...ο κάθε ασθενής μετράει