ΕΛΛΗΝΙΚΗ ΔΗΜΟΚΡΑΤΙΑ

Γενική Γραμματεία Στρατηγικού Σχεδιασμού

Πρόσβαση σε νέες θεραπείες για την αντιμετώπιση των σπάνιων παθήσεων

Δρ. Άρης Αγγελής, Γενικός Γραμματέας Στρατηγικού Σχεδιασμού

Αθήνα, 29 Φεβρουαρίου 2024

«Σπάνιοι» ασθενείς» - ορισμοί ανά τον κόσμο

ΗΠΑ

< 1 ανά 1.500 κατοίκους

ΕΕ

< 1 ανά 2.000 κατοίκους

Ιαπωνία

< 1 ανά 2.500 κατοίκους

Πηγές: https://rarediseases.org/understanding-rare-disease/rare-disease-facts-and-statistics/
https://ojrd.biomedcentral.com/

Οι Σπάνιες Παθήσεις σε αριθμούς

- Τα σπάνια νοσήματα είναι χρόνια, εκφυλιστικά, συχνά απειλητικά για τη ζωή, ενώ κάποιες φορές επιφέρουν χρόνια αναπηρία, επηρεάζοντας σημαντικά την ποιότητα ζωής των ασθενών, των οικογενειών και των φροντιστών τους.

- Σήμερα έχουν αναγνωριστεί περισσότερες από 7,000 σπάνιες παθήσεις εκ των οποίων ~70% προσβάλλουν παιδιά.

- Το 80% των σπάνιων ασθενειών έχουν γενετική βάση.

- Στην Ευρώπη ζουν ~36 εκ. σπάνιοι ασθενείς.

- Στην Ελλάδα, ο αριθμός των ασθενών διαμορφώνεται μεταξύ 350.000-600.000 (*εκτιμώμενο μέγεθος 500.000 ασθενείς)

Πηγές: https://rarediseases.org/understanding-rare-disease/rare-disease-facts-and-statistics/
https://health.ec.europa.eu/european-reference-networks/rare-diseases_en

Γιατί χαρακτηρίζονται «ορφανά»;

EURORDIS
RARE DISEASES EUROPE

The Voice of Rare Disease Patients in Europe

About EURORDIS | About Rare Diseases | Rare Disease Policy | Orphan Drugs & Treatments | Living with a Rare Disease | Servic Traini

Home

About Orphan Drugs

"Orphan drugs" are medicinal products intended for diagnosis, prevention or treatment of life-threatening or debilitating rare diseases. They are "orphans" because the pharmaceutical industry has little interest under normal market conditions in developing and marketing drugs intended for only a small number of patients suffering from very rare conditions.

Πηγή: https://www.eurordis.org/information-support/list-of-the-marketing-authorisations/orphan-medicines-regulation/

Ορφανά Φάρμακα

«Ορφανό» χαρακτηρίζεται ένα φάρμακο που προορίζεται για την αντιμετώπιση μιας σπάνιας νόσου.

• Η έρευνα για τα ορφανά φάρμακα συχνά δεν τυγχάνει του απαιτούμενου ενδιαφέροντος από τη Φαρμακοβιομηχανία, δεδομένων των υψηλών δαπανών σε Ε& Α, που, συνήθως δεν αντισταθμίζεται από την κερδοφορία των πωλήσεων.

• Προκειμένου να καταστεί το περιβάλλον πιο ελκυστικό, στις ΗΠΑ και σε άλλες χώρες έχουν θεσπιστεί ειδικές νομοθετικές ρυθμίσεις, που παρέχουν φοροελαφρύνσεις κι άλλα κίνητρα για τις φαρμακοβιομηχανίες που επενδύουν στην έρευνα κι ανάπτυξη των ορφανών φαρμάκων.

Το Ευρωπαϊκό κοινωνικό-πολιτικό πλαίσιο

«Η κοινωνία δεν μπορεί να αποδεχτεί, ότι ορισμένοι από τους πολίτες της στερούνται τα οφέλη της ιατροτεχνολογικής προόδου, απλά ***επειδή ο αριθμός των ανθρώπων που πάσχουν είναι μικρός****.*

Ως εκ τούτου, εναπόκειται στις δημόσιες Αρχές να παράσχουν τις αναγκαίες ρυθμίσεις και τα κίνητρα και να προσαρμόσουν τις διοικητικές τους διαδικασίες, έτσι, ώστε να καταστήσουν όσο το δυνατόν πιο εύκολη την παροχή φαρμακευτικών προϊόντων σε αυτούς τους ασθενείς, προϊόντα που θα είναι εξίσου ασφαλή και αποτελεσματικά με κάθε άλλο φαρμακευτικό προϊόν και θα πληρούν τα ίδια πρότυπα ποιότητας.”

Source: EU Charter of Fundamental Rights

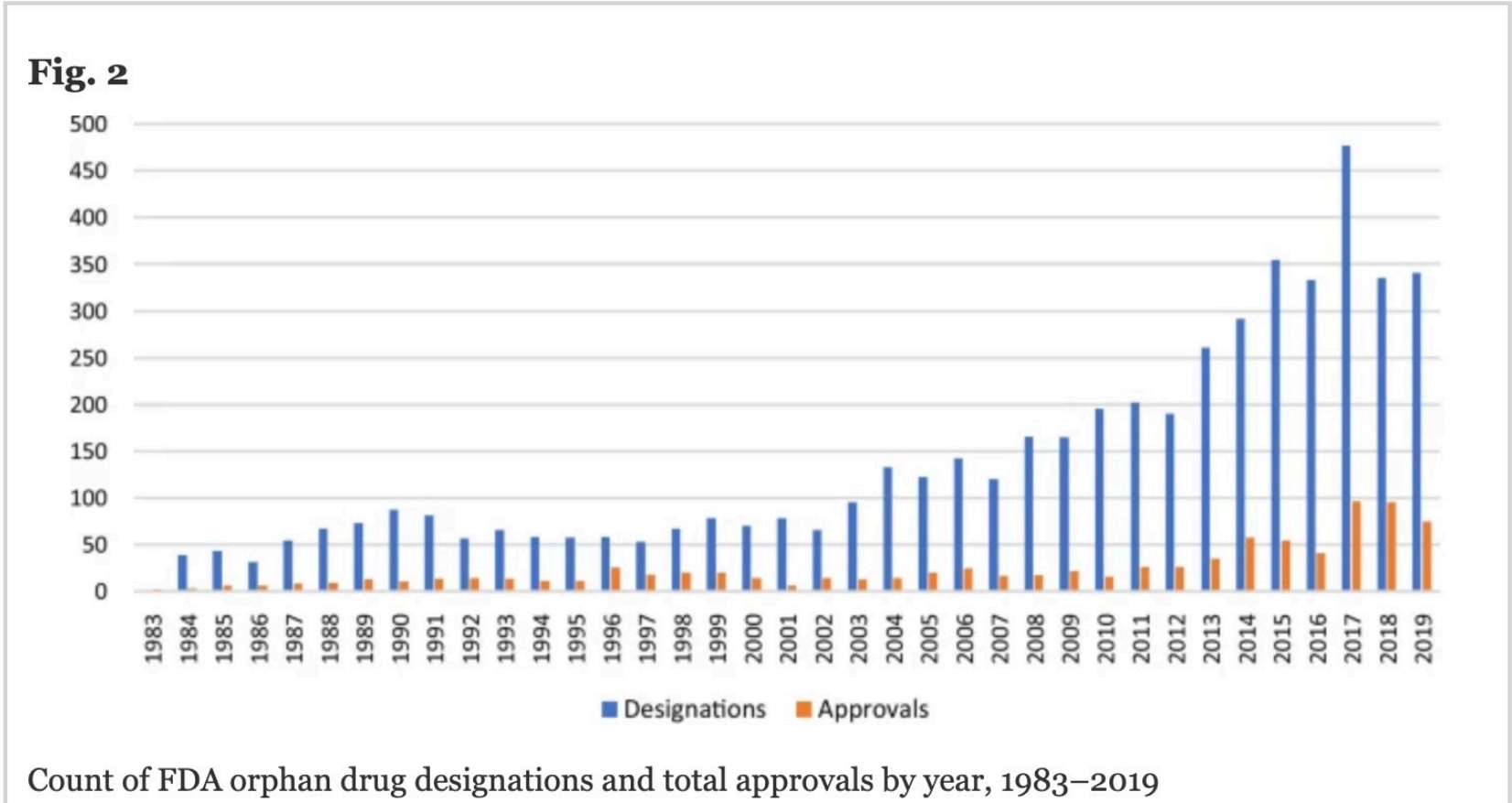
Το Ευρωπαϊκό θεσμικό πλαίσιο για τα ορφανά φάρμακα

Οι πολιτικές που χαρακτηρίζουν την φαρμακευτική νομοθεσία και την πρόσβαση των ασθενών στα ορφανά φάρμακα είναι ετερογενείς σε όλο τον κόσμο και στην Ευρώπη.

Ο αριθμός των χωρών, που υιοθέτησαν/ ανέπτυξαν πολιτικές για τα ορφανά φάρμακα αυξήθηκα σημαντικά, σε παγκόσμια κλίμακα, από το 2013 και μετά.

Πηγή: https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-023-02774-7

Count of FDA drug designations and total approvals (1983 -2019)



Count of FDA orphan drug designations and total approvals by year, 1983–2019

- 5099 φάρμακα και βιολογικά έλαβαν το χαρακτηρισμό του «ορφανού», κατά την περίοδο 1983 – 2019.
- Τα φάρμακα που χαρακτηρίστηκαν «ορφανά» υπερδιπλασιάστηκαν μεταξύ της δεκαετίας 1980 – 1990.
- (σχεδόν) διπλασιάστηκαν μεταξύ 1990 – 2000
- (σχεδόν)τριπλασιάστηκαν μεταξύ 2000 -2010.

Πηγή: https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-021-01901-6

FDA: Orphan drug approvals (2001 -2021)

Time Period	% Orphan drug approvals
2001 - 2005	25%
2016- 2020	48%
2021	51%

Πηγή : https://www.bmj.com/content/380/bmj-2022-071710.abstract

Προκλήσεις: Αξιολόγηση Τεχνολογιών Υγείας. Τι ισχύει για τις σπάνιες παθήσεις?

Standard health technology assessment criteria are not designed for rare diseases

Clinical trials lack large data sets

Typical clinical trial patient numbers for common and rare diseases[1,2]

Diabetes = **4,000**

Short Bowel Syndrome = **43**

Rare disease clinical trials make assessment challenging

Often lack diagnostic tests and have smaller numbers of patients to participate in trials[3,4]

Frequent absence of large scale data-sets to demonstrate treatment value[4]

Difficulties in conducting double-blind studies due to size[3]

As a result, assessment processes for rare disease medicines lead to substantial delays or failure to gain access[5]

1. https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5047004/
2. Jeppesen PD. Gastroenterology. 2012 Dec;143(6):1473-1481.e3. doi: 10.1053/j.gastro.2012.09.007. Epub 2012 Sep 11
3. Cornu C. et al (2013). Experimental designs for small randomised clinical trials: an algorithm for choice. Orphanet J Rare Dis. 8: 48
4. Augustine EF et al (2013). Clinical Trials in Rare Diseases: Challenges and Opportunities. J Child Neurol. 2013 September; 28(9): 1142–1150
5. ISPOR 8-8 Challenges in Assessing Appraising Rare Disease Diagnostics Treatments - DRAFT for REVIEW

Ορφανά Φάρμακα - Ελλάδα

- **82** ορφανά φάρμακα αποζημιώνονται από τον ΕΟΠΥΥ
- **74** ορφανά φάρμακα διανέμονται μέσω ΙΦΕΤ (μέσω της διαδικασίας έκτακτης εισαγωγής)

Η δαπάνη των ορφανών φαρμάκων (2022 -2023)

Δαπάνη ΕΟΠΥΥ	2020	2021	2022	2023
Δαπάνη (εκατ. €)	3.733	3.774	3.649	3.991
Δαπάνη ορφανών	137	198	198	228
Δαπάνη ορφανών ως % επί της δαπάνης	3.6	5.2	5.4	5.7

Πηγή: ΕΟΠΥΥ, 2024

(Δε συμπεριλαμβάνονται θεραπείες CAR - T cells & ορφανά νοσοκομειακά φάρμακα

Η δαπάνη των ορφανών φαρμάκων μέσω του ΙΦΕΤ (2020 -2023)

ΔΑΠΑΝΗ ΦΑΡΜΑΚΩΝ ΙΦΕΤ (αξίες σε €)					
	2020	**2021**	**2022**	**2023**	
Συνολική δαπάνη	126.085.067	192.677.198	181.523.922	266.580.394	
Δαπάνη ορφανών	49.325.903	85.765.563	69.509.473	92.813.913	
Ποσοστό επί της δαπάνης	**39**	**45**	**38**	**34,82**	

Πηγή: ΙΦΕΤ, 2024

Η πρόσβαση των ασθενών με σπάνιες ασθένειες θα πρέπει να είναι εξασφαλισμένη, γιατί…

- Ο αριθμός των υπό αγωγή ασθενών με σπάνια νοσήματα είναι σχετικά σταθερός και προβλέψιμος
- Προτεραιότητα η υιοθέτηση ενός Εθνικού Σχεδίου Δράσης για την ολιστική διαχείριση των σπάνιων παθήσεων.
- Η αποτελεσματική θεραπευτική προσέγγιση των ασθενών με σπάνια νοσήματα δύναται να εξοικονομήσει πόρους για το σύστημα υγείας.
- Υπάρχουν αποτελεσματικοί τρόποι εξισορρόπησης της φαρμακευτικής δαπάνης για ορφανά φάρμακα, την εφαρμογή των κατάλληλων εργαλείων (συμφωνίες όγκου – αξίας, MEAs κ.ά)