



Редки Болести и Лекарства Сираци

Брой 3 / 2020 г.

ISSN 1314-3581
<http://journal.raredis.org>

РЕДАКЦИОННА СТАТИЯ

Регламент (ЕО) № 141/2000 за лекарствата сираци – 20 години по-късно

Георги Искров^{1,2}, Румен Стефанов^{1,2}

¹ Катедра по Социална медицина и обществено здраве, Факултет по Обществено здраве, Медицински университет – Пловдив

² Институт по редки болести, Пловдив

Тази година отбелязваме **20 години от влизане в сила на Регламент (ЕО) № 141/2000 на Европейския парламент и на Съвета от 16 декември 1999 г. за лекарствата сираци**. Този нормативен акт определя критерии за обозначаването на определени лекарствени продукти като лекарства сираци за превенция, диагностика и лечение на редки състояния, както и осигурява стимули за тяхното проучване, разработване и предлагане на пазара [1]. Въпреки че редките болести фигурират в някои по-ранни документи на европейското законодателство, **този регламент е първият, който специално и ексклузивно засяга проблемите на хората с редки болести и техните семейства в Европа**.

Двадесет години по-късно е време за равностметка. В този контекст, Европейската комисия проведе серия от обществени допитвания с различни заинтересовани страни, последвани от проучване на ефекта и резултатите от Регламент (ЕО) № 141/2000 [2]. Поводите за задоволство са много, но и идентифицираните проблеми не са никак малко. **По най-важния въпрос обаче – адекватен достъп на пациентите с редки болести до терапия с лекарства сираци – успехът е частичен**. Да, броят на лекарствата сираци, получили разрешение за пазарна употреба в ЕС, е значителен. Но в същото време се констатира огромни неравенства при достъпа до тях по страни членки. Съществена част от тези терапии остават недостъпни за пациентите от Източна Европа [3].

Докладът на Комисията прави трезва оценка на тази ситуация. Изложените заключения в него предполагат, че **може би е дошло време за промяна** и допълване на Регламент (ЕО) № 141/2000. Този нормативен акт е изпълнил своята историческа роля по отношение на редките болести и лекарствата сираци. Предизвикателствата днес обаче са различни. Всичко това налага преосмисляне на някои остарели регулаторни концепции и заменянето им с нови, по-ефикасни, които да отговорят на днешната, променена реалност. **Разбира се, актуализацията на регламента ще отнеме време. В какви направления може да се очакват промени на общоевропейско ниво?**

На първо място, дефиницията за рядко заболяване. Регламентът е първият европейски нормативен акт, който

въвежда праг за болестност. Дадено заболяване се счита за рядко, ако засяга не повече от 5 на 10 000 души в ЕС. От приемането до днес **няма изложена научна обосновка за този условен критерий за рядкост**. Изследователите почти еднородно смятат, че за тези цифри се крият икономически аргументи за постигане на определена рентабилност на пазара на лекарствени продукти [2]. Двадесет години по-късно, дефиницията носи много въпроси със себе си [4]. Трябва ли този критерий да бъде общовалиден за всички нозологични единици, без значение на етиология, патогенеза, клиника и прогноза? Къде спрямо тази дефиниция следва да се позиционират злокачествените новообразувания и в частност редките тумори? Как трябва да се процедира по отношение на персонализираните терапии и трансформирането на сравнително чести единици в множество редки поединици?

Последното е сериозен проблем, който съчетан с изключителните права за предлагане на пазара в рамките на 10 години, води до създаване на **изкуствени монополи, изкривяване на пазара** и в крайна сметка – **неравномерен достъп на пациентите до лечение**. По данни на доклада на Комисията, от 142 разрешени за пазарна употреба лекарства сираци, 40 (28%) са насочени към заболявания, за които няма други възможности за лечение [2]. Следователно, при над две трети от случаите новото лекарство сирак получава привилегировано положение спрямо други алтернативни терапии. Това само по себе си не би било повод за притеснение, ако през последните години редица регулатори не **алармираха за ниското ниво на добавени здравни ползи** при някои от тези лекарствени продукти [5].

Липсата на същинска терапевтична иновация е друга нарастваща причина за безпокойство. По данни на доклада на Комисията, 19% от лекарствата сираци в ЕС са реално препрофилирани форми на стари, добре познати активни съставки [2]. Доколко това може да се счита за иновация е спорно. Но фактът, че после тези нови лекарствени продукти биват пускани на пазара **на многократно по-висока цена**, представлява повече от етичен конфликт. Това поражда серия от проблеми – от прекъсвания в лечението на пациенти до финансово натоварване на платци и здравни системи [6]. Въпросният казус се очертава може би като ключов за бъдещето на Регламент (ЕО) № 141/2000. Досега европейските регулатори се оправдаваха, че нормативният акт засяга само издаването на разрешение за пазарна употреба, а ценообразуването и заплащането са предмет на съответното национално законодателство [2]. Това е вярно, но коренът на този специфичен проблем е заложен на европейско ниво в случая.

Проблемът с ценообразуването е сложен и пряко зависи както от направените инвестиции за разработване на

нов лекарствен продукт, така и от реализираните пазарни печалби след това. Установяването на справедлива цена изисква пълна информация за всички парични потоци, което се счита за търговска тайна, и преговорите за разумна цена, удовлетворяваща всички страни, в крайна сметка пропагат. В този контекст, прокрадват се идеи за **деклариране на направените инвестиции за научна и развойна дейност** като условие за издаване на разрешение за пазарна употреба и обвързване на вида и формата на разрешението с техният размер [2]. Факт е, че **много научноизследователски проекти са частично или изцяло финансирани с публични и частни филантропски средства**. Техният принос следва бъде отгледен и взет под внимание при последващите ценообразуване и заплащане.

Не на последното място, актуализирането на Регламент (ЕО) № 141/2000 минава през отчитане на **възможностите за конкуренция от страна на генерични и биоподобни лекарствени продукти**. Преди 20 години тези опции са изглеждали доста далечни, но днес вече това е реалността. Нещо повече, те предоставят шанс за по-ниски цени и съответно по-ниски разходи за лечение. Към днешна дата обаче, последната хипотеза не е подкрепена с достатъчно факти. **Генерична конкуренция се наблюдава за много малко лекарства сираци и спадът на цената е по-бавен в сравнение с други лекарства** [2]. Това е повод регулатори и платци да обърнат повече внимание на този проблем.

В заключение, задачата пред Регламент (ЕО) № 141/2000 по време на неговото приемане е била да се увеличи броят на лекарствата сираци в ЕС. Днес, 20 години по-късно, пациентите с редки болести и европейските общества очакват повече – **адекватен и навременен достъп до лечение с лекарствата сираци в рамките на националните здравни системи**. В сегашния си вид, този нормативен акт вече не може да отговори на новата цел. Разбира се, сам по себе си, един регламент не може да реши всички проблеми наведнъж. Актуализацията на Регламент (ЕО) № 141/2000 трябва, от една страна, да насърчи инвестициите в научни изследвания и разработки, които действително да достигнат до пациентите и да отговорят на здравните им потребности. От друга страна обаче, регламентът трябва да отстрани възможностите за пазарни дефекти и неетични търговски практики, които нарушават и поставят в риск финансовата стабилност на здравните системи в ЕС.

Библиография

1. Регламент (ЕО) № 141/2000 на Европейския парламент и на Съвета от 16 декември 1999 година за лекарствата сираци. OJ L 18, 22.1.2000, р. 1–5.
2. European Commission. Joint evaluation of Regulation (EC) No 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use and Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products {SEC(2020) 291 final} - {SWD(2020) 164 final}
3. Pejčić AV, Iskrov G, Jakovljević MM, et al. Access to orphan drugs - comparison across Balkan countries. Health Policy. 2018 Jun;122(6):583-589.
4. Искров Г, Стефанов Р. Редките тумори – епидемиологични и общественоздравни аспекти. Редки болести и лекарства сираци 2018;9(4):9-13.
5. Wieseler B, McGauran N, Kaiser T. New Drugs: Where Did We Go Wrong and What Can We Do Better? BMJ. 2019 Jul 10;366:l4340.
6. Искров Г, Стефанов Р. За стойността на иновативните терапии и цената на препрофилирането на лекарствени продукти. Редки болести и лекарства сираци 2019;10(1):3-4.