**ДОПИС ДО МАЛМЕД ВО ОДНОС НА ЗАКОН ЗА ЛЕКОВИ**

**Предлози од здруженија на пациенти**

Почитувани,

**Во однос на измените и дополнувањата на законот за лекови би сакале да ги предложиме следните точки кои се подолу објаснети:**

1. **Внесување на дефиниција за лекови „сираци“ (orphan drugs)**
2. **Внесување на дефиниција за ретки болести**
3. **Внесување на дефиниција за генска терапија**
4. **Утврдување на критериуми за регистрација и воведување на лекови за ретки болести**
5. **Забрзување на постапка за регистрација и одобрување на лекови за ретки болести**
6. **Внесување на дефиниција за програма од сочувство (compassionate use)**
7. **Внесување на постапка за ран пристап на терапија за животозагрозувачки состојби (привремено одобрување- fr. Autorisation temporaire d'utilisation)**

Некои медицински состојби се толку ретки што трошоците за развој и ставање во промет на производи за дијагностицирање и готови лекови за нивна превенција или лекување не можат да се надоместат со очекуваната продажба на лекот; па фармацевтската индустрија не е подготвена да развие таков лек по вообичаени услови на пазарот; овие лекови се нарекуваат „лекови за ретки болести“.

Моментално во законот нема **дефиниција за „лекови сираци“,** кои се лековите за ретки болести. Исто така не постои ни споменување на **генска терапија**, иако веќе неколку години наназад има напредок во однос на развој и одобрување на лекови од овој вид. Затоа предлагаме да се **препознае ознаката за Orphan лек** (лек сирак) издадена од Европската и Американската агенција за лекови.

На следниот линк од Европската Агенција за лекови се објаснети лековите „сираци“ - <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>

Дополнително има и дефиниција на сајтот на орфанет - <https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutOrphanDrugs.php?lng=EN>, каде има и информации за Европа, Америка, Јапонија и други земји во однос на лековите сираци.

Во нашите соседни земји (Хрватска, Бугарија, Грција и други) има соодветно национални планови за ретки болести и соодветна регулатива за дефинирање на ретки болести и лекови за ретки болести.

Пациентите кои страдаат од ретки болести треба да имаат право на ист квалитет на лекување како и другите пациенти; затоа е неопходно да се охрабри фармацевтската индустрија да истражува, развива и пласира соодветни лекови; вакви иницијативи за развој на лекови за ретки болести се достапни во Соединетите Американски Држави уште од 1983 година и во Јапонија од 1993 година, додека во Европа беа донесени посебни препораки за ретки болести во 2008/2009 година од страна на Европската Комисија.

За таа цел предлагаме да се **утврдат објективни критериуми за наведување на овие лекови**; овие критериуми треба да се засноваат на распространетоста на болеста за кои е потребна дијагностика, превенција или третман; преваленцата до 5 пациенти на 10.000 лица генерално се смета за соодветен праг; вклучени се лекови за живото-загрозувачки болести, болести кои предизвикуваат инвалидност, односно изнемоштувачки и хронични заболувања, дури и кога преваленцата е поголема од 5 лица на 10.000.

Пациентите со ретки болести заслужуваат да примаат лекови со ист квалитет, безбедност и ефикасност како и другите пациенти; затоа, лековите за ретки болести треба да бидат предмет на вообичаена процедура за проценка; подносителите на барање за одобрување на лекови за ретки болести треба да бидат во можност да добијат одобрение по скратени процедури за добивање или обновување на одобрението. За таа цел предлагаме да се **забрза постапката на одобрување** (ставање на лек во промет) на лек за ретка болест, на пр., за одобрен лек во повеќе од 3 земји во ЕУ да се одобри барањето во рок не подолг од 1 месец од денот на приемот на комплетното барање; за одобрен лек во помалку од 3 земји во ЕУ да се одобри барањето во рок не подолг од 3 месеци од денот на приемот на комплетното барање; за одобрен лек во САД, Јапонија, Швајцарија и Канада, Агенцијата го одобрува или го одбива барањето во рок не подолг од 2 месеци од денот на приемот на комплетното барање.

**Во нашиот закон нема дефиниција за ран пристап до терапии како compassionate use, и бараме истото да се дефинира како што е дефинирано и во други земји вклучувајќи ја и Хрватска како пример: програма од сочуство (анг. Compassionate use)** е постапка со која се овозможува обезбедување на неодобрен лек за пациенти кои боледуваат од хронични, сериозни и животозагрозувачки болести кои не можат на адекватен начин да се лекуваат со достапните терапии и за кои нема достапна клиничка студија, а се одобрува многу брзо по докажаната безбедност и ефикасност. Compassionate use покрај својата основна функција која треба законски да се овозможи, таа се регулира и во рамките на прописите на спонзорот (фармацевтската компанија). За да се пристапи кон барање за отварање на ваква програма во земјата, првенствено треба да е овозможена и регулирана на национално ниво. Во тој случај компанијата има можност да додели ран пристап до терапија на пациенти во нашата земја на регуларен начин.

Освен ран пристап со програмата од милосрдие, нашиот закон исто така нема можност да вклучи програма за ран пристап до терапии со т.н**. привремено одобрување.** Оваа програма овозможува одобрување на терапија со привремено бесплатно доделување од страна на Спонзорот се до исполнување на одредени услови, а потоа префрлање на лекот на позитивна листа. Успешен пример е програмата APU во Франција, каде пациентите имаат пристап до терапија по одобрување од страна на ФДА а пред ЕМА. Во овој случај пациентите се обезбедени со терапија многу брзо по одобрувањето од ФДА, а подоцна регулативите се усогласуваат и се регулира ретроактивно. Францускиот успешен пример може да се погледне на следниот линк: <https://www.legifrance.gouv.fr/affichSarde.do;jsessionid=D5154E89773A7A7F0BBFF410ED7883AE.tplgfr22s_3?reprise=true&page=1&idSarde=SARDOBJT000007122106&ordre=null&nature=null&g=ls>

Постојат две главни фази:

Лично (именувано) АТУ: Лекарот бара од националното осигурување еден од неговите пациенти да употребат лек кој има само едно одобрение во странство (главно САД) или што е во истражување на овој пациент. Националното осигурување може да прифати или не во рок од 1 месец.

Групно (Кохорт) АТУ, на барање на фармацевтска компанија, националното осигурување се согласува за ран пристап на една група пациенти. На пример: ЗОЛГЕНЗМА се договори само за бебиња со рани симптоми на СМА и помали од 6 месеци, сите пациенти кои спаѓаат во овие критериуми имаат автоматски пристап до лекот.

И во двата случаи националното осигурување ќе ја плати цената што ја бара компанијата, но штом лекот е на пазарот, а компанијата треба да ја надомести разликата помеѓу цената од преговорите и првичната. Ако времето помеѓу почеток на терапијата и крајот на преговорите трае повеќе од 2 години, тогаш националното осигурување плаќа само половина од цената по 2 години.

Ретките болести се идентификувани како приоритетни области за дејствување во областа на јавното здравство; во својата комуникација за акционата програма на Заедницата за ретки болести од областа на јавното здравство, Европската Комисија одлучи да им даде приоритет на ретките заболувања од областа на јавното здравство; Европскиот парламент и Советот ја усвоија Одлуката бр. Регулатива (ЕК) бр. 1295/1999 / ЕК на Советот од 29 април 1999 година за усвојување програма за акција на Заедницата за ретки болести од областа на јавното здравство (1999 до 2003 година), вклучително и обезбедување на информации, за решавање на групите ретки болести кај населението и поддршка на соодветни пациентски здруженија; оваа регулатива спроведува еден од приоритетите утврдени во оваа програма за акција.

**Дополнителни линкови до документи од ЕУ за донесени регулативи за ретки болести:**

* <https://ec.europa.eu/research/health/index.cfm?pg=area&areaname=rare>
* <https://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf>
* <https://ec.europa.eu/research/health/pdf/rare-diseases-how-europe-meeting-challenges_en.pdf>
* <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/29214592>
* <https://ec.europa.eu/health/non_communicable_diseases/rare_diseases_en>
* <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0925443915000599>
* <https://www.eurordis.org/eu-rare-disease-policy>
* <http://www.rd-action.eu/wp-content/uploads/2018/09/Final-Overview-Report-State-of-the-Art-2018-version.pdf>

Искуството од Соединетите Американски Држави и Јапонија покажува дека најсилниот поттик за индустријата да инвестира во развој и ставање на лекови за ретки болести во промет е таму каде што постои можност да се добие ексклузивно право на ставање во промет за одреден број години во текот на кој може да се врати дел од инвестицијата; ексклузивното право на ставање во промет треба да биде ограничено на терапевтски индикации за кои е одобрен лекот за ретка болест, без да се во спротивност со постојните права на интелектуална сопственост; во интерес на пациентот, ексклузивното право за ставање во промет доделено на лек со ретка болест не смее да го спречи пазарот на сличен лек што може да биде од значителна корист за болните.

Подносителите на медицински производи назначени како лекови за ретки болести треба да имаат целосна корист од сите мерки за стимулирање за поддршка на истражување и развој на медицински помагала за дијагностицирање, превенција или третман на такви болести, вклучително и ретки болести.

Специфичната програма Биомед 2 од Четвртата рамковна програма за истражување и технолошки развој (1994 до 1998 година) го поддржа истражувањето за третман на ретки болести, вклучително и методи за развој на планови за брз развој на лекови за ретки болести и листа на лекови за ретки болести достапни во Европа; овие средства беа наменети да ја поттикнат меѓудржавната соработка во основните и клиничките истражувања на ретки болести; истражувањето за ретки болести останува приоритет на заедницата, бидејќи е опфатено со Петтата рамковна програма за истражување и технолошки развој (1998 до 2002 година); оваа регулатива воспоставува правна рамка што ќе овозможи резултатите од ова истражување да се применат брзо и ефикасно.

**Референца:**

SLUŽBENI LIST EUROPSKE UNIJE 16.12.1999. UREDBA (EZ) br. 141/2000 EUROPSKOG PARLAMENTA I VIJEĆA od 16. prosinca 1999. o lijekovima za rijetke bolesti

**Поднесено од:**

  

***Весна Алексовска***

*Претседател на Здружение на граѓани за ретки болести, ЖИВОТ СО ПРЕДИЗВИЦИ Битола*

*Тел: +389 (0)70 70 54 46 / Е-маил:* *zivotsopredizvici@gmail.com* *;* *vesna.stojmirova@gmail.com*

**Деница Велковска**

Претседател на Здружение на лица со Спинална Мускулна Атрофија СТОП СМА

*Тел: +389 (0)75 42 28 21 / Е-маил:* *stopsma.mk@yahoo.com*

***Информации за здружението ЖИВОТ СО ПРЕДИЗВИЦИ:***

* <http://challenges.mk/>
* <https://www.facebook.com/LifeWithChallengesi>
* <https://www.facebook.com/groups/312483895490987/>

***Информации за здружението СТОП СМА:***

* [https://www.facebook.com/STOP-SMA-Macedonia-СТОП-СМА-1916753535041997/](https://www.facebook.com/STOP-SMA-Macedonia-%D0%A1%D0%A2%D0%9E%D0%9F-%D0%A1%D0%9C%D0%90-1916753535041997/)

***ЖИВОТ СО ПРЕДИЗВИЦИ е член на:***

****

***СТОП СМА е член на:***

**  **