

# Выход на рынок незарегистрированных фармацевтических препаратов в Восточной Европе

Первая национальная конференция “Украина и Европлан2 – Развитие государственной стратегии по редким заболеваниям до 2020 года”

Киев; Украина, 27<sup>ое</sup> марта 2013 г.



Кирсти Викки; Генеральный директор Россия и СНГ

[www.sobi.com](http://www.sobi.com)

 **sobi**  
Pioneer in Rare Diseases

# Орфанные препараты

---

- Для разработки лекарственного средства требуется много времени (более 10 лет и более 800 М USD)
- Закон об орфанных препаратах был первоначально принят как в США, так и Европе, для поддержки научных исследований в области орфанной медицины – для удовлетворения нужд медицины при лечении орфанных заболеваний, и признании прав для больных этими заболеваниями получать лечение, так же, как и другие пациенты
- Не все страны развивают медицину
- Не во всех странах делаются анализы для диагностики определенных редких заболеваний.
- Ключевым фактором успеха является сотрудничество между странами.



# Орфанные препараты

---

- Уже 30 лет в США начал действовать закон, регулирующий диагностику и лечение орфанных заболеваний, и уже более 20 лет, как ЕС начал работать с подобным законодательством.
- Требуется время и усилия, чтобы разработать программы доступности лечения.
- Это также требует совместного понимания проблемы
- Необходимо время для обсуждения проблемы
- Для выполнения задачи лечения орфанных больных необходимо участие всех заинтересованных лиц – все пациенты, пациентские организации, правительственные учреждения, медицинские и научные общества, лица, ответственные за финансирование программы, и фармацевтические компании.



# Правительства во всем мире создали системы для доступности препаратов до получения регистрации

Использование незарегистрированного препарата в связи с исключительными обстоятельствами

- Расширенный доступ
- NPU / Персональное применение незарегистрированного препарата для конкретного пациента
- NPP / Программа адресной помощи
- Препараты с особым процедурой лицензирования
- Специальная программа доступности лечения
- Отсроченные программы клинических испытаний
- Импорт на основании специального разрешения препарата до его запуска в рутинную практику
- Ускоренная процедура одобрения для орфанных препаратов (ответственное отношение и после регистрации)

Готовность вести переговоры и предоставлять необходимое лечение!

Когда есть желание, есть и выход!



## EMA (Европейское агентство лекарственных средств)- программа применения нового незарегистрированного препарата при тяжелой патологии (ПНП):

---

- Все лекарственные препараты должны иметь разрешение, до выхода на рынок в Евросоюзе. Для больных в странах Евросоюза, у которых не существует альтернатив результативного авторизованного лечения, а также для тех, кто не может участвовать в клинических испытаниях, могут быть использованы не одобренные лекарственные препараты в рамках применения программы лекарственных субстанций в исключительных случаях. Эти программы позволяют обеспечить таким пациентам возможность инновационного лечения препаратами, находящимися в стадии разработки. Национальные ПНП программы, позволяют сделать доступным медицинские продукты как для отдельно взятого, так и для групп пациентов, и регулируются отдельными законодательными актами государств – членом союза.

# EMA – применение нового незарегистрированного препарата при тяжелой патологии (ПНП):

В то время как осуществление программы ПНП остается в компетенции государств-членов союза, [Статья 83 Законодательства \(ЕС\) № 726/2004](#) по ПНП является дополнением к национальным законодательствам и предоставляет возможность для государств - членов ЕС, которые хотели бы получить мнение от Комитета по препаратам для человека (CHMP) относительно условий применения, распределения целевым пациентам в рамках ПНП специфического медицинского препарата, который попадает под действие статьи 83(1) и 83(2).

- Таким образом, есть возможность использовать все эти препараты уже в стадии разработки, когда нет другой альтернативы!



## Доступность лечения до момента одобрения

---

- Программы под конкретного пациента программы обеспечивают альтернативный подход для получения медицинской помощи
- Официальный анонс лекарственного препарата компанией – производителем не обязателен
- В некоторых странах не отработана схема доставки и продажи препарата
- Может оказаться коммерчески не выгодно идти традиционным путем, добиваясь маркетингового разрешения / регистрации/лицензии для таких продуктов
- Возможная альтернатива – использовать так называемый процесс авторизации – > используя отчетность для создания базы данных для регистрационного досье: отчитываться обо всех побочных эффектах, а также предоставлять регулярно обновляемые отчеты по безопасности (PSURs). Таким образом, после выполнения этой работы в течение определенного периода времени, досье может быть подготовлено для регистрации : так называемая **адаптивная модель лицензирования!**

## Что было достигнуто в мире на рынке орфанных препаратов со времени действия законодательства (США и Европа)

---

- Списки орфанных препаратов в мире насчитывает около 3000:
  - Среди них сегодня насчитывается более **80 зарегистрированных препаратов Европе из более, чем 1000, включенных в список.** В США имеется **2500 лекарственных препаратов, включенных в список, из которых 400 являются официально зарегистрированными продуктами.**
- В Европе существует открытое научное обсуждение и консультация с органами власти и научного сообщества с одной стороны, и научно-исследовательских компаний, с другой стороны.
- В США существует поощрение в налоговом законодательстве для фармацевтической компаний, разрабатывающих препараты, подразумевающее 7 лет эксклюзивности
- В Европе эксклюзивность длится 10 лет + может быть продлена на 2 года, при проведении клинических испытаний у детей – однако, налоговых льгот не предусматривается
- Конечно, достижения в лечении пациентов с редкими болезнями выдающиеся, однако до сих пор для большого количества пациентов с подобными заболеваниями эффективных методов лечения не разработано ( в настоящее время описано более 6000 описанных редких болезней)



# Быстрый путь для получения доступа и лицензирования

- Выигрышная для всех ситуация :  
Все больше пациентов получают лечение в условиях неудовлетворенных медицинских потребностей ;  
Работающие родители пациентов добавляют ценность обществу в форме приносимых налогов;  
Компания получает оплату за уже произведенные научно-исследовательские разработки и имеют средства для будущих исследований новых орфанных препаратов  
Индивидуальное лечение/лечение небольшой группы пациентов
- Обеспечение неудовлетворенных медицинских потребностей
- Социальная польза для общества стоит в приоритете перед экономическими расчетами в здравоохранении
- Маленькая популяция пациентов- > делает трудным проведение клинических испытаний и сбор данных



# Возмещение расходов или финансирование лечения?

---

- ...не зарегистрированных/нелицензированных медицинских препаратов?
- Необходимость осознать значение лечения
- Отсутствие последовательных политик возмещения расходов и механизмов финансирования
- Программы разработаны, но они охватывают лишь несколько показаний/нозологий
- Восприятие высокой стоимости орфанных препаратов
- Создать специальный бюджет для: неудовлетворенных медицинских потребностей пациентов, орфанных больных, для непредвиденных и угрожающих жизни ситуаций
- Или – использовать бюджетные средства для этих программ полностью для пользы пациентов
- Контроль бюджета в департаменте Министерства Здравоохранения
- Региональное финансирование? – Ассигнование из государственных фондов
- Благотворительность – только для «курабельных» больных, не хронических

# Ответственность после регистрации



- Поскольку не всегда есть возможность провести клинические испытания для орфанных продуктов, ответственное сопровождение после одобрения может как при возмещении затрат на лечение, так и его финансированием
- Компания-производитель обязуется сообщать о каждом отдельном пациенте, начинающем лечение в данной стране
- Сбор данных по каждому пациенту в созданной официальной базе данных
- Обязательный период наблюдения - 1-2 года
- Органы власти собирают эти данные и рассматривают вопрос о предоставлении регистрации препарата, после того, как была доказана эффективность и безопасность или качество по стандартам EU
- Планирование расходов : возможно, когда данная популяция пациентов мала, и на каждого пациента собраны данные , таким бюджетные выплаты могут быть спланированы, и люди понимают, за что их просят платить!

# Доступность лечения пациентам, страдающим орфанными заболеваниями

Подтвержденный диагноз	<ul style="list-style-type: none"><li>• Доступность систем аналитической лабораторной диагностики для подтверждения диагноза</li></ul>
Показания/ Применение без официально зарегистрированного показания (Off-label)	<ul style="list-style-type: none"><li>• Надежный профиль эффективности и безопасности, продемонстрированный для данного показания</li><li>• Препарат доступен в других странах– применяется специальная процедура лицензирования</li><li>• Применение Off-label? Жизнеугрожающие ситуации; только при процессе, одобренном МЗ, а также одобренном финансировании и согласии пациента/семьи</li></ul>
Механизм обеспечения	<p>NPP Персональное применение незарегистрированного препарата для конкретного пациента (NPU) / Программа адресной помощи (NPP)</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• Решение консилиума</li><li>• Согласие пациента</li><li>• Разрешение МЗ</li><li>• Департамент МЗ принимает решение о финансировании</li><li>• Таможенные процедуры</li><li>• Доставка через дистрибутора</li></ul>
Возмещение расходов или финансирование пациента	<ul style="list-style-type: none"><li>• Правительственное решение</li><li>• Специализированная программа по орфанным заболеваниям/ необходимость развития национального плана<ul style="list-style-type: none"><li>• Специализированные программы и/или бюджет по орфанным заболеваниям и для неудовлетворенных медицинских потребностей вместе с бюджетом для непредвиденных ситуаций– быстрая реализация, необходимая для спасения жизни детей</li></ul></li></ul>



# Для пациентов с орфанными заболеваниями Украины-

- МЗ: Комитет по орфанным заболеваниям: концепция плана > синтез
- Как получить доступ к препаратам из всемирной базы, доступ для лечения пациентов с орфанными заболеваниями – критерий для ввоза? Интегрированные с ЕС? Только медицинские?
- Сбор данных для создания регистра пациентов и ценность опыта в реальной жизни применения препарата по данной индикации или даже – вне-индикации
- Более быстрый доступ к препаратам, имеющим орфанный статус (или в США или Европе), это также относится к незарегистрированным медицинским продуктам с орфанным обозначением (Orphan Designated Product)
- Возможность адаптивного процесса лицензирования !
- Ключевые установки для доступа> получить реальные временные рамки, уважительно относится к защите интеллектуальной собственности и патентной защите, признание глобального социо-экономического влияния лечения орфанных заболеваний
- Должна быть создана программа финансирования орфанных заболеваний и непрерывность доступа к лечению



# Экстренность – необходимость раннего начала лечения!

- Случай:
- Пациент с острой тирозинемией 1 типа – без лечения -> острая печеночная недостаточность, летальный исход
- Хроническая форма тирозинемии 1 типа : лечение есть, но оно прерывается время от времени из-за отсутствия системы обеспечения и как следствие препарат для данного пациента закупается с перерывами
- Побочные эффекты или серьезные нежелательные реакции -> узелки печени которые ведут к развитию цирроза и гепатоцеллюлярной карциноме
- Невропатия, боль, другие симптомы-> и печеночная недостаточность
- Ответственность? –отсутствие непрерывного лечения может привести к серьезным нежелательным побочным эффектам?



## В сотрудничестве с другими странами

---



Благодарю за внимание

---

мы обеспечиваем ценное лечение  
для пациентов с орфанными заболеваниями





Всем вместе нам это по плечу!

