**Slovenská aliancia zriedkavých chorôb,**
Slovenský klub cystickej fibrózy,
Slovenská asociácia cystickej fibrózy,
Priatelia slaných detí
*(členovia Eurordis)*

**<u>Stanovisko pacientskych organizácií</u> do konaní o liekoch na cystickú fibrózu číslo**
32704, 32705, 32706, 32707, 32708, 32709, 32710, 32711
*(rozšírenie indikácií pre príčinnú liečbu na ochorenie cystická fibróza, hodnotené liečivá korektory a modulátory).*

Keďže niektoré vydané stanoviská v rámci vyššie uvedených konaní **<u>vylučujú časť pacientov s ojedinelým ochorením z prístupu k liečbe výlučne na základe finančného kritéria</u>,** ktoré nadraďujú ako jediné vylučujúce kritérium pre zaradenie lieku na ojedinelé ochorenie *(tzv. prahovú hodnotu, finančné/ nákladové kritérium).* Obmedzenie prístupu zavádzajú **priamo, ako odporúčanie nerozšíriť indikácie liečby a nepriamo tak, že sa vyžadujú nesplniteľné podmienky pre posudzovanie lieku na ojedinelé ochorenie**, ktoré sú v rozpore so zavedenou praxou a podmienkami uplatňovanými pre hodnotenie produktov na zriedkavé ochorenia (OMP) v rámci EÚ, sveta a v okolitých krajinách.

Keďže ojedinelé ochorenia sú definované podľa **Nariadenia Rady a Parlamentu EÚ č. 141/2000** ako život ohrozujúci alebo chronický stav, ktorý postihuje vo svojej prevalencii menej než 5 z 10.000 obyvateľov a toto Nariadenie ďalej definuje, že takéto ochorenie, je **tak zriedkavé, že je potrebné vytvoriť incentívy a odbúrať administratívne prekážky, aby sa k pacientom mohli dostávať tieto tzv. ORPHAN medicínske produkty**. Rovnakú filozofiu uplatňuje USA od roku 1983 a Japonsko od roku 1993. Podmienky pre vývoj a vstup produktov na liečbu zriedkavého ochorenia sa majú nastaviť tak, aby **všetci pacienti mali rovnocennú šancu na prístup k liečbe <u>bez ohľadu na ojedinelosť svojho ochorenia</u>**. Tento princíp zakotvuje legislatíva EÚ a **hodnotenie liekov na ojedinelé ochorenia výlučne na základe požiadavky preukázať nákladovú efektívnosť sa považuje za diskriminačné voči pacientom s ojedinelým ochorením**, keďže im bráni v prístupe k liečbe. Často sa pritom jedná o liečbu s **neexistujúcou alternatívou a nenaplnenou medicínskou potrebou, čo je aj tento hodnotený prípad.**

Keďže kritérium **prahovej hodnoty a povinnosť preukázať nákladovú efektívnosť** sa v zaužívanej praxi v rámci EU ani USA **nepoužíva pre posudzovanie liekov a produktov na ojedinelé ochorenia**, pretože sa jedná o metodicky nevhodné kritérium, ktoré kladie na liek na ojedinelé ochorenie **nesplniteľnú požiadavku.** Zaužívanou praxou pre hodnotenie liekov na ojedinelé ochorenia je tzv. **metóda MCDA** *(Multi Criteria Decision Analysis)* – rozhodovanie na základe analýzy viacerých kritérií. Primárnym príkladom je **Česká Republika**, keď v úprave identického zákona vyslovene uvádza **priamo v zákone, že kritérium nákladovej efektívnosti sa predkladá ako informatívne.**

Keďže znenie slovenského zákona 363/2011 Z.z. o úhradách z verejného zdravotného poistenia **obsahuje samostatnú cestu pre vstup liekov na zriedkavé ochorenia**.

Keďže **finančné kritérium** sa vo vydaných stanoviskách uplatňuje **neproporčne a nevyvážene**, nakoľko **splnenie prahovej hodnoty neznamená vyhovieť žiadosti**, no **nesplnenie prahovej hodnoty znamená neodporúčanie zaradiť liek** do systému úhrad. Takéto hodnotenie **znevýhodňuje pacienta.**

Kedže máme za to, že pri posudzovaní lieku na ojedinelé ochorenia sa má v súlade s postupmi v rámci EÚ v prvom rade zohľadniť **závažnosť ochorenia, na liečbu ktorého je liek určený, nahraditeľnosť posudzovaného lieku inými terapeutickými postupmi, nenaplnená medicínska potreba pacienta, preukázateľný prínos na zlepšenie kvality života pacienta, terapeutická účinnosť a bezpečnosť, odporúčania odborných komisií, inštitúcií a spoločností, celospoločenský význam možnosti terapeuticky ovplyvniť ochorenie, dostupnosť posudzovaného lieku v krajinách EÚ.**

**Keďže sme aktuálne jediná krajina EÚ, ktorá odopiera skupine pacientov s cystickou fibrózou prístup k niektorým indikáciám liečby korektormi a modulátormi v súlade so schválením EMA** a máme aktuálne pacientov v kritickom stave, ktorí spadajú pod indikácie v uvedených konaniach.

Keďže sa jedná o **zásadnú príčinnú liečbu,** ktorá v kohorte 12+ pridáva pacientom podľa modelu **35 rokov kvalitného života**. Podľa preukázaných **vstupných štúdií** a aj **opakovaných štúdií po 5 rokoch** podávania liečby a **klinickej praxe,** hodnotená liečba **zvráti progresiu ochorenia.** A keďže **klinické výsledky** už aj u našich pacientov **preukazujú zvrátenie progresie ochorenia, nárast funkčných ukazovateľov pľúc, prospievania, ale najmä výrazný pokles hodnoty koncentrácie chloridov v pote na úroveň zdravého človeka.** To vedie k plnohodnotnému návratu našich pacientov do života a spoločnosti, kedy pracujú, študujú, podnikajú, zakladajú rodiny.

Keďže je účinok hodnotených liečiv jednoznačne a nespochybniteľne preukázaný vykonanými štandardnými štúdiami akceptovanými vo všetkých hodnotiacich systémoch a v porovnaní s predchádzajúcimi generáciami príčinnej a symptomatickej liečby, kde **dokonca hodnotený liek už hodnotila ako mimoriadne účinný samotná naša vlastná HTA agentúra v minulých konaniach**, rovnako ako ďalšie hodnotiace organizácie a systémy v rámci EÚ.

Keďže liečba **korektormi a modulátormi** na cystickú fibrózu je zavedená ako **štandard v našich vlastných platných štandardoch** Ministerstva zdravotníctva.

Keďže **choroba hranice nepozná** a máme rovnaké **genetické predpoklady**, históriu, **výskyt ochorení** a máme za to, že máme mať **rovnaký podiel, ktorý spoločnosť vynaloží pre svojich pacientov, špeciálne ak sa porovnáme s krajinami nášho regiónu** *(opakujeme, sme jediná krajina EÚ, ktorá liečbu v istých indikáciách schválených EMA momentálne svojim pacientom odopiera)*.

## Preto:

**prosíme a žiadame všetky zúčastnené subjekty o**
**MAXIMÁLNU SÚČINNOSŤ**
**v konaní, zdrojoch, poskytnutých údajoch, informáciách, koordinácii, rokovaniach a ochote dospieť k výsledku, ktorý povedie**
**k dostupnej hodnotenej liečbe**
**pre slovenských pacientov s cystickou fibrózou.**

**Správna rada pacientskych organizácií:**

*Slovenská aliancia zriedkavých chorôb, 00421 918 893 099, Štepánek Peter*
*Slovenský klub cystickej fibrózy,, 00421 905 409 927, Ľuboš Herák*
*Slovenská asociácia cystickej fibrózy, 00421 903 608 435, MUDr. Katarína Štěpánková*
*Priatelia slaných detí*
*(členovia Eurordis)*

V Bratislave, 28.7.2024