

A ritka betegségek gyógyítására szolgáló gyógyszerekre vonatkozó európai és nemzeti jogszabályok reformjának szükségessége

BMJ 2023; 381 doi: <https://doi.org/10.1136/bmj-2022-072796> (Published 09 May 2023)

Kulcsszavak: gyógyszer, gyógyszerpolitika, gyógyszerjog, ritka betegségek gyógyítására szolgáló gyógyszerek, Orphan Drugs, Európai Unió

Forrás Internet-helye: <https://www.bmj.com/content/381/bmj-2022-072796>

Philip Kranz (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen – IQWiG, Köln) és mt., valamint Rita Banzi (IRCCS Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri, Ranica, Italia) a ritka betegségek gyógyítására szolgáló gyógyszerek hatékonyságára vonatkozó bizonyítékokat elemezték. Következtetésük szerint európai és nemzeti szinten is felmerül a reformok szükségessége.

Az Európai Unióban mintegy 30 millió ember szenved a több mint 6.000 különböző ritka betegség valamelyikében. „Az *Európai Parlament és a Tanács 141/2000/EK rendelete (1999. december 16.) a ritka betegségek gyógyszereiről*” [<https://eur-lex.europa.eu/legal-content/HU/TXT/?uri=celex%3A32000R0141>] 2000-ben lépett hatályba. Az ezt követő első évtizedben 63, a másodikban 133 és csupán 2022-ben 22 ilyen hatóanyag kapott engedélyezést a piaci forgalmazásra.

A szerzők szerint az Orphan Drug-státuszhoz társított terápiás haszon mögött nem állnak klinikai vizsgálatokból származó bizonyítékok. Ezért azt javasolják, hogy az Orphan Drug-státuszt vonatkoztassák el a „többlethaszon” besorolástól. Jóllehet ritka betegségek esetén gyakran kétségbe vonják a randomizált és kontrollált vizsgálatok lehetőségét, a szerzők nem tartják kizártnak, hogy ritka betegségeknel is ez úton generáljanak bizonyítékokat.

A European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA) WAIT-indikátora (Waiting to Access Innovative Therapies) [https://www.efpia.eu/media/676539/efpia-patient-wait-indicator_update-july-2022_final.pdf] évente elemzi az új innovatív terápiák bevezetését, valamint azt, hogy mennyi ideig tart, amíg ezek eljutnak a betegekhez. Eredményei szerint Európában a gyógyszerellátás tekintetében jelentős különbségek mutatkoznak. 2021-ben például Németországban 40, Ausztriában 34, Bulgáriában 12 újonnan bevezetett gyógyszer állt a betegek rendelkezésére.

Az Európai Bizottság néhány hete tett javaslatot az EU gyógyszerészeti jogszabályainak felülvizsgálatára. [Lásd: *Európai egészségügyi unió: A Bizottság gyógyszerészeti reformot javasol a hozzáférhetőbb, megfizethetőbb és innovatív gyógyszerek érdekében, 2023. II. negyedév 2. sz.*] A szerzők álláspontja szerint a szabályozási védelem időtartamának csökkentése gyengíteni fogja az innovatív gyógyszerekre vonatkozó szellemi tulajdon védelmét.

Philip Kranz: philip.kranz@iqwig.de