**Αναθεώρηση του φαρμακευτικού πλαισίου της Ευρωπαϊκής Ένωσης για τη διασφάλιση δίκαιης πρόσβασης σε θεραπείες σπάνιων ασθενειών**

**Πηγή: Eurordis.org**

**Συγγραφέας: Stanislav Ostapenko**

**Ημερομηνία: 16/04/2021**

**Διαθέσιμο στο:** [**https://www.eurordis.org/news/revision-eu-pharmaceutical-framework-ensure-equitable-access-rare-disease-therapies**](https://www.eurordis.org/news/revision-eu-pharmaceutical-framework-ensure-equitable-access-rare-disease-therapies)

**Παρά τις σύγχρονες ραγδαίες επιστημονικές εξελίξεις με την πάροδο των ετών, πολλά άτομα με σπάνιες ασθένειες εξακολουθούν να μην έχουν πρόσβαση σε αποτελεσματικές θεραπείες με χρήση καινοτόμων τεχνολογιών και φαρμάκων. Η**[**αναθεώρηση της φαρμακευτικής νομοθεσίας σε επίπεδο Ευρωπαϊκής**](https://ec.europa.eu/info/law/better-regulation/have-your-say/initiatives/12963-Evaluation-and-revision-of-the-general-pharmaceutical-legislation)  **Έ**νωσης**χρησιμεύει ως ευκαιρία για την αντιμετώπιση των αναγκών των ατόμων που ζουν με μια σπάνια ασθένεια, για περαιτέρω έρευνα και διασφάλιση δίκαιης και ισότιμης πρόσβασης σε ορφανά φάρμακα σε ολόκληρη την Ευρώπη.**

Έχει σημειωθεί μεγάλη πρόοδο στον τομέα των σπάνιων ασθενειών τα τελευταία χρόνια, με σχεδόν 2400 αναγνωρίσεις – προσδιορισμό σπανίων νόσων που οδήγησαν σε 199 ορφανά φάρμακα που έχουν εγκριθεί στην Ευρωπαϊκή Ένωση από το 2000. Νέα φάρμακα και θεραπείες έχουν συμβάλει στην αύξηση του μέσου προσδόκιμου ζωής και εξασφαλίζουν μια καλύτερη ζωή για εκατομμύρια ανθρώπους που πάσχουν από μια σπάνια ασθένεια.

Ωστόσο, **για πολλούς ανθρώπους που ζουν με μια σπάνια ασθένεια, η πρόσβαση σε θεραπείες μπορεί να είναι δύσκολη και μερικές φορές αδύνατη λόγω της έλλειψης της διαθέσιμης θεραπείας.**Παρά τις σημαντικές εξελίξεις στην έρευνα, το 31% των ασθενών με σπάνιες ασθένειες δεν έχουν λάβει ποτέ θεραπεία για την κατάστασή τους. Μόνο το 3% ανέφερε ότι επωφελήθηκε από τη θεραπεία αποτρέποντας τις κλινικές εκδηλώσεις της σπάνιας νόσου τους και το 5% έλαβε θεραπευτική αγωγή που συνδέεται άμεσα με την κατάστασή τους. Συνολικά, πάνω από το 90% των ασθενών αναφέρουν ότι δεν έχουν καλύψει τις ιατρικές τους ανάγκες σήμερα.

**Τα άτομα με σπάνιες παθήσεις και οι φροντιστές τους συχνά αισθάνονται απομονωμένοι, υποτιμημένοι και αντιμετωπίζουν οικονομικές δυσκολίες όταν έχουν πρόσβαση σε εξειδικευμένες ιατρικές υπηρεσίες**. Το 2019, τουλάχιστον το 1/5 των ανθρώπων που ζούσαν με μια σπάνια ασθένεια αντιμετώπιζαν δυσκολίες στη θεραπεία που χρειάζονταν επειδή δεν ήταν διαθέσιμο στην περιοχή που ζούσαν. Το 12% ανέφερε ότι δεν μπόρεσε να καλύψει τη δαπάνη για τη θεραπεία που χρειαζόταν ή να λάβει οικονομική υποστήριξη για να ταξιδέψει και να λάβει τη θεραπεία σε άλλη χώρα.

**Επανεξέταση της φαρμακευτικής νομοθεσίας**

**Η αρχή της δίκαιης και ισότιμης πρόσβασης σε θεραπείες πρέπει να είναι βασικός άξονας σε κάθε πολιτική υγειονομικής περίθαλψης τόσο σε εθνικό όσο και σε ευρωπαϊκό επίπεδο**. Αυτό αποτελεί τη βασική αρχή του [εγγράφου θέσης](https://www.eurordis.org/sites/default/files/reflexion-paper.pdf) της [EURORDIS σχετικά με την ισότιμη πρόσβαση σε θεραπείες σπάνιων ασθενειών](https://www.eurordis.org/sites/default/files/reflexion-paper.pdf) (2018), στο οποίο βασίζεται η συνεισφορά της Eurordis στην αναθεώρηση του θεσμικού πλαισίου των παιδιατρικών και ορφανών φαρμάκων.

Είναι επίσης μία από τις κεντρικές ιδέες που περιγράφονται στις πρόσφατα δημοσιευμένες [συστάσεις του Rare 2030](https://www.rare2030.eu/recommendations/) , αποτέλεσμα μιας διετούς προοπτικής μελέτης με επικεφαλής την EURORDIS και πάνω από 250 εμπειρογνώμονες από όλη την κοινότητα των σπάνιων παθήσεις. Συγκεκριμένα, τα συμπεράσματα καθορίζουν την πορεία για τη [βελτίωση της πρόσβασης σε προσιτή και διαθέσιμη θεραπεία και την αύξηση των επενδύσεων στην καινοτομία και την έρευνα νέων ορφανών φαρμάκων](http://download2.eurordis.org/rare2030/Rare2030_recommendations.pdf#page=111) . Αυτό θα μεταφράζεται σε:

* 1000 νέες θεραπείες διαθέσιμες έως το 2030, σύμφωνα με το [όραμα IRDiRC](https://irdirc.org/about-us/vision-goals/) .
* Εγκεκριμένη θεραπεία για 500 διαφορετικές σπάνιες παθήσεις, καλύπτοντας το 50% του συνολικού πληθυσμού των ατόμων που ζουν με μια σπάνια πάθηση στην Ευρώπη.
* Θεραπευτικές, σταθεροποιητικές και συμπτωματικές θεραπείες για 200 από τις 400 συχνότερες σπάνιες ασθένειες που καλύπτουν πάνω από το 90% του πληθυσμού που ζει με μια σπάνια πάθηση.
* Διαθέσιμες θεραπευτικές ή μεταμορφωτικές θεραπείες για τουλάχιστον 100 σπάνιες παθήσεις από την ομάδα που προσβάλλουν λιγότερο από μία στις 100.000 και
* Συνολικά, 3 έως 5 φορές πιο προσιτές και διαθέσιμες θεραπείες σπάνιων παθήσεων.

*«Τα διδάγματα από την πανδημία της νόσου COVID-19 δείχνουν ότι η Ευρώπη πρέπει να διεκδικήσει τη φιλοδοξία της να είναι παγκόσμιος ηγέτης στην υγεία και να την θεωρήσει ως επένδυση και όχι ως κόστος. Με την αναθεώρηση των κανονισμών της Ευρωπαϊκής Ένωσης για τα ορφανά φάρμακα και τη μελλοντική στρατηγική της ΕΕ για τα φαρμακευτικά προϊόντα, η Ευρώπη έχει μια μοναδική ευκαιρία να ενισχύσει τις επενδύσεις σε έρευνα και καινοτομία σπάνιων νόσων - όπου μπορεί να φέρει την υψηλότερη προστιθέμενη αξία - ανοίγοντας το δρόμο για μια νέα γενιά εξαιρετικά καινοτόμων θεραπειών. Μόνο με την ανάπτυξη δυνητικά θεραπευτικών και μεταμορφωτικών θεραπειών, τη μείωση των καθυστερήσεων και την εξασφάλιση ίσης πρόσβασης σε θεραπείες, δεν μπορούμε πραγματικά να αφήσουμε κανένα άτομο που ζει με μια σπάνια νόσο», - αναφέρει ο Yann Le Cam, Διευθύνων Σύμβουλος της EURORDIS-Rare Disease Europe.*

Προτείνοντας νομοθετικές ρυθμίσεις που θα διαμορφώσουν τον τρόπο που κάνουμε τα πράγματα για τα επόμενα είκοσι χρόνια, η Ευρώπη πρέπει να αντιμετωπίσει τι λειτουργεί και τι όχι για άτομα που ζουν με μια σπάνια ασθένεια. Ενώ εκτιμήθηκε η αξιολόγηση και ορισμένες από τις επιλογές που προτείνονται στους κανονισμούς για τα ορφανά φάρμακα και τα παιδιατρικά φάρμακα, πιστεύουμε ότι υπάρχουν ακόμη τομείς που πρέπει να αντιμετωπιστούν.

Προκειμένου η Ευρώπη να διατηρήσει τη θέση της ως παγκόσμιου ηγέτη, η EURORDIS διεκδικεί:

* Ανάπτυξη πολιτικών που φθάνουν στις πιο σπάνιες παθήσεις, οι οποίες εκτείνονται σε ωφέλειες πέραν από λίγες μόνο κατηγορίες νόσων
* Οι ερευνητικές προτεραιότητες καθορίζονται με βάση την ανεκπλήρωτη ανάγκη, όχι μόνο την υπάρχουσα γνώση μιας πάθησης, τη διαθεσιμότητα υφιστάμενων θεραπειών ή τη σοβαρότητα της νόσου και του επιπολασμού της.
* Μια ομοιόμορφη, συντονισμένη και ανθρωποκεντρική προσέγγιση στην ανάπτυξη και πρόσβαση στη θεραπεία για σπάνιες ασθένειες στην Ευρώπη, που οδηγεί σε μεγαλύτερες επενδύσεις στην έρευνα και την ανάπτυξη προϊόντων και δημιουργεί συνεχείς βελτιώσεις στην πρόσβαση των ασθενών και στην παρακολούθηση της υγείας τους
* Ένας σαφής σύνδεσμος με τις προτεινόμενες πρωτοβουλίες που παρέχονται στη Φαρμακευτική Στρατηγική, ιδίως σχετικά με τη συνεργασία για την πρόσβαση και τις τιμές όπου η Ευρώπη μπορεί να έχει πραγματική προστιθέμενη αξία.

**Μαθαίνοντας από την πανδημία**

**Η παγκόσμια πανδημία προκάλεσε μια άνευ προηγουμένου διεθνή απάντηση και μια συντονισμένη προσπάθεια σε επιστημονικούς, κυβερνητικούς, ρυθμιστικούς και ασθενών φορείς για την αντιμετώπιση της νόσου COVID-19.**Ο coronavirus έχει δείξει τη σημασία της ευρωπαϊκής συνεργασίας στην έρευνα και την καινοτομία αλλά και την ανάγκη συντονισμένης διασυνοριακής διαχείρισης. Σε αυτούς τους δύσκολους καιρούς, ενωμένοι προς έναν κοινό στόχο, η Ευρώπη έθεσε τη συνεργασία πριν από τον ανταγωνισμό, τη δημόσια ασφάλεια πριν από τα κέρδη και παρείχε σημαντική ρυθμιστική ευελιξία για να βοηθήσει στην επίτευξη των επιδιωκόμενων αποτελεσμάτων. Η ίδια στρατηγική και προσεγγίσεις που εφαρμόστηκαν για την καταπολέμηση του COVID-19 μπορούν να αναπαραχθούν για να ενισχύσουν τις επενδύσεις και την έρευνα και να διασφαλίσουν δίκαιη πρόσβαση σε θεραπείες για άτομα που ζουν με μια σπάνια πάθηση.

*«Η πανδημία COVID-19 απέδειξε ότι η ισότιμη πρόσβαση των ασθενών σε φάρμακα σε ολόκληρη την Ευρώπη, κάτι που εδώ και καιρό υποστηρίζεται από οργανώσεις ασθενών, είναι πλέον εφικτή. Η εκτίμηση των επιπτώσεων κατά την έναρξη του φαρμακευτικού πλαισίου της ΕΕ χρησιμεύει ως ευκαιρία για την ενίσχυση του συντονισμού σε ολόκληρη την Ευρώπη και για να βεβαιωθείτε ότι κανένα άτομο που ζει με μια σπάνια ασθένεια δεν έχει μείνει χωρίς θεραπεία για την κατάστασή του»* .

**Υπάρχει μια μοναδική ευκαιρία να επανεξεταστεί το φαρμακευτικό νομικό πλαίσιο της ΕΕ και να οικοδομηστεί ένα καλύτερο μέλλον για άτομα που ζουν με μια σπάνια πάθηση.**Με ορίζοντα την αξιολόγηση και την αναθεώρηση της γενικής φαρμακευτικής νομοθεσίας, η κοινότητα των επιστημόνων και των ασθενών βρίσκεται σε ένα σταυροδρόμι, με τη δυνατότητα να επηρεαστεί η μελλοντική νομοθεσία με θετικό τρόπο μέσω της εφαρμογής σκληρών αγώνων.

Η EURORDIS και η κοινότητά της είναι έτοιμες να προσφέρουν συμβουλές για την παροχή λύσεων που βασίζονται πραγματικά στον ασθενή και ανταποκρίνονται στις ανεκπλήρωτες ανάγκες των ασθενών.

Το EURORDIS καλεί τις οργανώσεις ασθενών και άλλους ενδιαφερόμενους να υποβάλουν τα σχόλιά τους στον χάρτη πορείας της Ευρωπαϊκής Επιτροπής σχετικά με την [αξιολόγηση της γενικής φαρμακευτικής νομοθεσίας](https://ec.europa.eu/info/law/better-regulation/have-your-say/initiatives/12963-Evaluation-and-revision-of-the-general-pharmaceutical-legislation) έως τις 27 Απριλίου 2021. Το EURORDIS καθιερώνει μια κοινή θέση βάσει των απόψεων των μελών της για να ορίσει την έρευνα και την ανάπτυξη ορφανών φαρμάκων, ενθαρρύνοντας την ισότιμη πρόσβαση σε θεραπείες σπάνιων παθήσεων σε ολόκληρη την Ευρώπη.

Για περισσότερες πληροφορίες, επικοινωνήστε με τη Simone Boselli στη διεύθυνση simone.boselli@eurordis.org .

**Επιμέλεια – απόδοση κειμένου,**

**Στρατής Χατζηχαραλάμπους,**

**Πρόεδρος της Ε.Ο.Σ. – ΣΠΑ.ΝΟ.ΠΑ.**