



**IZBA GOSPODARCZA
„FARMACJA POLSKA”**

Warszawa dnia 28 grudnia 2020r.

**STANOWISKO IZBY GOSPODARCZEJ „FARMACJA POLSKA”
DO WSTĘPNEJ OCENY SKUTKÓW ROZPORZĄDZENIA KOMISJI EUROPEJSKIEJ
DOTYCZĄCEGO LEKÓW PEDIATRYCZNYCH I LEKÓW SIEROCYCH STOSOWANYCH
W CHOROBAH RZADKICH**

Przedstawione propozycje Komisji Europejskiej wychodzą naprzeciwko społecznemu zapotrzebowaniu dalszego rozwijania aktywności mającej na celu możliwość rozwijania działań w zakresie tzw. leków sierocych stosowanych w chorobach rzadkich. Cieszy nas fakt, że poprzez wspólne działania unijne polscy pacjenci będą mieli ułatwiony szerszy dostęp do leków, z których dotychczas korzystała tylko niewielka ilość chorych.

Choroby rzadkie obejmują średnio nawet 6-8 proc. populacji danego kraju, stanowiąc poważny problem zdrowotny i społeczny. W 50 proc. przypadków ujawniają się w wieku dziecięcym. Ich przebieg może być gwałtowny i grozić wczesnym zgonem. Nawet 26 proc. dzieci z tego rodzaju schorzeniami umiera przed osiągnięciem 5. roku życia. Z drugiej strony, m.in. dzięki wprowadzeniu do leczenia skutecznych terapii, choroby rzadkie mogą mieć przebieg przewlekły. Wtedy z chorobą żyje się wiele dziesięcioleci.

Wytyczne Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 16 grudnia 1999r. **doprowadziły do poprawy warunków prac badawczo-rozwojowych w zakresie leków stosowanych w chorobach rzadkich**, przyczyniając się do znaczącego wzrostu inicjatyw w tej dziedzinie, angażując zarówno środowisko akademickie jak i przedsiębiorców.

Cieszy nas fakt, że liczba produktów leczniczych wzrosła już do 164 w roku 2018. W wielu krajach odnotowano również istotne skrócenie czasu faktycznego wprowadzenia tych produktów na rynek. Kluczową sprawą pozostaje dalej opracowywanie narodowych strategii i planów dot. chorób rzadkich kładących nacisk na diagnostykę i leczenie. Stwarza to wyrównanie szans z innymi chorymi.

Izba Gospodarcza „FARMACJA POLSKA” działająca na rynku od 29 lat współpracując z szeregiem organizacji pacjenckich oraz poprzez dialog z władzami oraz instytucjami zajmującymi się terapią chorób rzadkich wielokrotnie postulowała konieczność stworzenia efektywnego systemu zapewniającego terapię i opiekę zarówno dla pacjentów jak i ich rodzin. Naszym celem w dalszym ciągu będzie przekazywanie informacji i podnoszenie kompetencji środowisk pacjenckich oraz społeczeństwa na temat badań nad nowymi lekami a także wzmocnienie zaangażowania pacjentów w proces badawczy we współpracy z firmami farmaceutycznymi ośrodkami

naukowymi, komisjami bioetycznymi a przede wszystkim władzami odpowiedzialnymi za ochronę zdrowia.

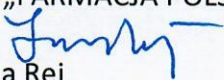
W obecnej sytuacji widzimy trzy istotne problemy.

1. Obecnie obowiązujące przepisy zachęcające do opracowywania leków dla dzieci i osób cierpiących na choroby rzadkie zapewniają względną równowagę pomiędzy obowiązkami i nagrodami związanymi z opracowywaniem nowych terapii. **Naruszenie tej równowagi może mieć skutki odwrotne do zamierzonych i doprowadzić do zahamowania rozwoju nowych terapii w tych obszarach oraz sprawić, że Europa stanie się mniej atrakcyjnym miejscem do prowadzenia działań z zakresu badań i rozwoju.**
2. Chociaż potrzeba więcej badań nad nowymi terapiami stosowanymi w leczeniu chorób rzadkich oraz dzieci, **należy docenić niezwykle sukces obecnych regulacji zachęcających do opracowywania leków dla dzieci oraz osób cierpiących na choroby rzadkie.** Skuteczność obecnie obowiązujących rozporządzeń potwierdza fakt opracowania ponad 180 metod leczenia w ponad 107 chorobach sierocych w ciągu 20 lat obowiązywania regulacji. Jednocześnie w ciągu 10 lat rozporządzenie pediatryczne także dowiodło swojego sukcesu i zaowocowało ponad 260 nowymi lekami dla dzieci.
3. Wprowadzenie potencjalnego **ograniczenia wyłączności rynkowej na dalsze innowacje w rzadkich chorobach mogłoby negatywnie wpłynąć na badania i rozwój terapii w zakresie rzadkich nowotworów.** Badania i rozwój terapii w rzadkich chorobach nowotworowych często polegają na rozszerzaniu wskazań, gdzie ryzykowne i trudne badania pozwalają na uzyskanie informacji o tym, że znana już cząsteczka może być również skuteczna w terapii pacjentów z rzadkimi nowotworami. Bez zachęt wynikających z rozporządzenia OMP prowadzenie prac badawczo-rozwojowych może skutkować znacznymi ograniczeniami.

Mamy nadzieję, że działania Komisji Europejskiej powinny prowadzić do przekonania wszystkich krajów członkowskich UE do konieczności pilnego przyjęcia i wdrożenia Narodowych Planów Chorób Rzadkich (NPChR) oraz do poprawy lokalnych regulacji prawnych i zapewnienie finansowania, umożliwiających faktyczną realizację NPChR.

Prezes Zarządu

Izby Gospodarczej „FARMACJA POLSKA”


Irena Rej