

ZAOSTRENÉ NA ZRIEDKAVÉ CHOROBY

Zriedkavé choroby sú často život ohrozujúce choroby s nízkym výskytom. Väčšina z nich sú geneticky podmienené choroby, prejavujúce sa v detskom veku, ale i v dospelom veku a sú veľmi heterogénne. Medzi ostatné kategórie patria zriedkavé druhy nádorov, autoimúnne choroby a infekčné choroby. Vyžadujú si individuálny prístup založený na spoločnom úsilí zamedziť predčasnej úmrtnosti a zlepšiť kvalitu života. Na Slovensku trpí zriedkavými chorobami takmer 300 000 pacientov.

Podpora a integrácia jednotného európskeho prístupu k zriedkavým chorobám spája a skvalitňuje informácie o zriedkavých chorobách a ich možnostiach diagnostiky, liečby a prevencie.

1 zo 17 obyvateľov EÚ ma zriedkavú chorobu

V Európe žije 30 miliónov ľudí so zriedkavými chorobami. Zriedkavé choroby tak predstavujú nenaplnenú zdravotnú potrebu a veľkú medicínsku výzvu pre celú spoločnosť!

Poznáme viac ako **6000** zriedkavých chorôb

Choroba sa považuje za zriedkavú ak postihuje nie viac ako 5 z 10 000 obyvateľov EÚ, je závažná alebo životohrozujúca.

Orphan dezinácia nie je registrácia

Nie všetkým orphan dezinovaným liekom sa podarí doviest' vývoj dokonca – k registrácii. Ak sa tak stane, orphan lieky musia spĺňať tie isté kritéria ohľadom účinnosti a bezpečnosti ako všetky ostatné lieky.

80 % je genetického pôvodu

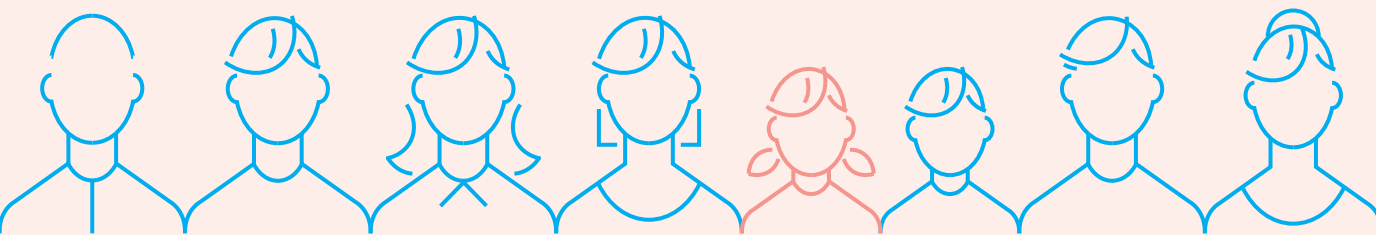
V Európe bolo registrovaných viac ako 140 orphan liekov

Pre väčšinu zriedkavých chorôb nie je dostupná liečba

- Dôvodom je aj fakt, že farmaceutický priemysel ťažšie investuje do oblastí, ktoré pomôžu len malým skupinám pacientov.

Vývoj liekov na zriedkavé choroby

- EÚ ponúka viaceré možnosti ako motivovať farmaceutický priemysel k vývoju liekov na zriedkavé choroby. Na základe dodržania istých kritérií sa farmaceutické firmy môžu uchádzať o orphan dezináciu.



Zdroj: EMA

- 50%** pacientov so zriedkavými chorobami sú deti
- 35%** detí so zriedkavou chorobou zomrie v priebehu prvého roka života
- 30%** detí so zriedkavou chorobou sa nedožije svojich piatich narodenín
- 28%** pacientov so zriedkavou chorobou nemôže navštevovať školu
- 7 z 10** pacientov alebo ich opatrovateľov nepracuje práve preto, že člen ich rodiny má zriedkavú chorobu

Kritéria pre orphan dezignáciu

- Liek musí byť určený na diagnostiku, liečbu alebo prevenciu život ohrozujúcej, závažnej, chronickej choroby. Druhou možnosťou je nenávratnosť investícií.
- Choroba postihuje nie viac ako 5 z 10 000 pacientov.
- Neexistuje žiadna uspokojujúca možnosť liečby danej choroby. V prípade, že choroba je liečiteľná, nový liek musí preukázať signifikantný benefit.

Ako sa orphan liek dostane k pacientovi

- Registrácia orphan lieku Európskou liekovou agentúrou vytvára možnosť pre výrobcu okamžite vstúpiť na trh v jednotlivých členských štátoch. Avšak, dostupnosť a financovanie liečby sa riešia individuálne na úrovni členských štátov.

Viac ako **1900** liekom sa podarilo získať orphan dezignáciu

Prehodnotenie žiadosti o orphan dezignáciu podľa presne definovaných kritérií má na starosti Komisia pre lieky na zriedkavé choroby. V prípade, že liek žiada o registráciu, Komisia pre lieky na zriedkavé choroby opätovne prehodnotí, či liek spĺňa orphan kritériá a možno ho registrovať centralizovane ako orphan liek.

