

Výročná správa  
**2017**

## AK VÁM NA NÁS ZÁLEŽÍ, PRIDAJTE SA K NÁM! BUDE NÁS VIAC POČUŤ

18. 1. 2017

### VÝSKUM – ÚSTREDNÁ TÉMA MEDZINÁRODNÉHO DŇA ZRIEDKAVÝCH CHORÔB 2017

Témou tohtoročného Medzinárodného dňa zriedkavých chorôb, ktorý si pripomenieme 28. 2. 2017, je výskum. Výskum práve preto, že ako jediný prináša nádej pacientom so zriedkavými chorobami a ich rodinám. „Deň zriedkavých chorôb 2017 je výzvou pre vedcov, univerzity, lekárov, farmaceutov, študentov, farmaceutický priemysel, ale aj tvorcov zdravotníckych politík, aby podporili výskum a zdôraznili jeho význam pre ľudí so zriedkavými chorobami.“ „Zapojenie pacientov so zriedkavými chorobami do výskumu prispelo k rozšíreniu výskumu, ktorý lepšie odpovedá práve nárokom pacientov.“



### VĎAKA VÝSKUMU SÚ RIEŠENIA NEOBMEDZENÉ

Presne takto znie slogan desiateho ročníka Medzinárodného dňa zriedkavých chorôb 2017. Slovenská aliancia zriedkavých chorôb v spolupráci s Ministerstvom zdravotníctva SR pripravila pri tejto príležitosti tlačovú konferenciu. Táto sa uskutočnila dňa 22. 2. 2017 v budove MZ SR. Jej cieľom bolo ukázať širokej verejnosti, prečo je výskum dôležitý práve pre pacientov so zriedkavými chorobami. Každá zo 7 000 zriedkavých chorôb má svoje charakteristiky, svoj stupeň poznania, čo ich však spája, je výskum, cesta k poznaniu, nádej skvalitnenia života a prinavrátania zdravia.

## VIDEO MEDZINÁRODNÉHO DŇA ZRIEDKAVÝCH CHORÔB

26. 1. 2017

Už poznáme tohtoročné video Medzinárodného dňa zriedkavých chorôb. Pozrite si ho s nami so slovenskými titulkami.

## TLAČOVÁ KONFERENCIA: 10. ROČNÍK MEDZINÁRODNÉHO DŇA ZRIEDKAVÝCH CHORÔB

21. 2. 2017

Hoci sú zriedkavé, len na Slovensku nimi trpí odhadom až 300 000 pacientov. A ak by sa spojili všetci ľudia so zriedkavými chorobami, vytvorili by 3. najľudnatejší štát sveta.

- Čo vlastne sú zriedkavé choroby a prečo sú také špecifické?



- Prečo je výskum a odbornosť zásadným riešením tejto problematiky?
- Môžu slovenskí výskumníci zmeniť životy pacientov so zriedkavými chorobami na celom svete?
- Čo očakávajú od výskumu pacienti?
- Ako mení ich životy? Prečo potrebujú odborníkov?
- Ako pomáha zdravotnícka politika tejto oblasti?
- Aké aktivity podniklo MZ SR, aby pomohlo napredovať v tejto problematike?

Aj tieto otázky vám zodpovedali hostia tlačovej konferencie:

Ing. Beáta Ramljaková

*predsedníčka Slovenskej aliancie  
zriedkavých chorôb*

MUDr. Štefan Laššán, PhD.

*generálny riaditeľ (zastupujúci)  
sektora zdravia MZ SR*

Prof. MUDr. Jozef Rovenský, DrSc., FRCP

*Národný ústav reumatických  
chorôb v Piešťanoch*

MUDr. František Cisarík

*predseda Komisie MZ SR  
pre zriedkavé choroby*

Doc. MUDr. Ľuboš Drgoňa, CSc.

*člen Komisie MZ SR  
pre zriedkavé choroby*

Tlačová konferencia sa uskutočnila v stredu 22. februára 2017 o 13.00 hod. v priestoroch Ministerstva zdravotníctva SR na Limbovej 2 v Bratislave, Kongresová sála 152/1-2. Záštitu nad tlačovou konferenciou prevzalo Ministerstvo zdravotníctva SR.

### VÝSKUM PRINÁŠA NÁDEJ

Konferencia priniesla aj príbehy rodičov malých pacientov trpiacich zriedkavou chorobou, ktorých jedinou nádejou je práve výskum v tejto oblasti. Čo všetko treba zmeniť, aby sa aj u nás mohol realizovať prvotriedny výskum. Koľko odbornosti, zariadenia, profesionalizmu, extra štúdiá, manažérskych schopností, či každodennej ľudskosti si to vyžaduje, aj o tom porozprával profesor MUDr. Jozef Rovenský DrSc., FRCP.

### Význam výskumu pre diagnostiku zriedkavých chorôb

O tom, aký dôležitý je výskum pre poznanie diagnózy, koľko veľa toho vieme o ľudskom genóme, a predsa to často nestačí, hovorí aj príbeh šesťročnej Emky a jej rodiny. Príbeh o tom, čo všetko dokáže podstúpiť milujúca rodina na ceste za poznaním zdravotného stavu svojej dcéry.

### Význam výskumu pre kvalitnú starostlivosť a liečbu

O tom, čo všetko je ochotná vykonať rodina dieťaťa s diagnózou spinálna svalová atrofia (SMA) na ceste za lepšou starostlivosťou, ako veľmi im chýba multidisciplinárny tím odborníkov, ktorý by im pomohol

v starostlivosti o dieťa, čo potrebujú od systému a aké veľké rozdiely v starostlivosti a možnostiach pociťujú oproti iným krajinám rozpráva Miškov otec, zástupca Klubu Organizácie muskulárnych dystrofií – Rodiny s SMA.

### **Vďaka výskumu má liečbu**

A to je posledný z troch príbehov. Vďaka výskumu sa dostal k účinnej liečbe. Pán Jozef (66 rokov) mal silné bolesti chrbta. Kto ich v jeho veku nemá... Po dvoch rokoch hľadania príčiny, vyšetrenia ukázali nečakaný výsledok. Mnohopočetný myelóm, zriedkavá rakovina krvných buniek. Postihuje 4 - 9 pacientov na 100 000. Na Slovensku sa odhaduje, že je 1 300 pacientov s touto diagnózou. Postihnutí sú najmä starší muži.



### **EURÓPSKE REFERENČNÉ SIEŤE SA SPOJILI, ABY POMOHLI PACIENTOM**

Európske referenčné siete predstavujú unikátny a inovatívny spôsob cezhraničnej starostlivosti, vytvárajú platformy odborníkov pre zriedkavé a nízko prevalentné choroby. Prinášajú riešenia pre pacientov so zriedkavými chorobami, ktorých osudy často končili tragicky, len preto, že nepoznali svoju diagnózu alebo nevedeli nájsť adekvátnu starostlivosť. Konferenciu okrem slávnostného privítania tvorili 4 okrúhle stoly venované témam organizácie a manažmentu

európskych referenčných sietí, európskej politiky a výzvam podporujúcim referenčné siete. Medzi ďalšie témy patrili národné zdravotné systémy, ako aj napredovanie referenčných sietí.



### **RARECONNECT – VZÁJOMNÁ KOMUNIKÁCIA PACIENTOV VIE TIEŽ POMÔCŤ**

Život so zriedkavou chorobou znamená pre väčšinu pacientov život v izolácii. Aj preto mnohí pacienti túžia po spoločnosti, či priateľoch, na druhej strane sa ich však stráni, neznesú prílišný záujem okolo svojej osoby či choroby. Je ťažké byť celý život iný ako tí ostatní. Okrem psychických prekážok sú to často aj fyzické, mnohé aktivity, či miesta sú pre nich nedostupné alebo nemožné.

### **TEN NAJKRAJŠÍ DARČEK K MDD PRE DETI SO SPINÁLNOU SVALOVOU ATROFIU**

Hoci 95 % zriedkavých chorôb je nevyliciteľných, od 1. júna 2017 je o jednu liečiteľnú zriedkavú chorobu viac. Výsledky tretej fázy klinického výskumu potvrdili dopad na motorické funkcie a prežívanie detí so spinálnou svalovou atrofiou (SMA). Práve symbolicky v tento deň schválila Európska komisia registráciu lieku SPINRAZA R (nusinersen) na liečbu 5q SMA.



**ZRIEDKAVÉ CHOROBY SÚ SÚČASŤOU 7 ZO 17 PRIORÍT PRE UDRŽATEĽNÝ ROZVOJ**

### **VÝBEROVÝ SLOVNÍK POJMOV ZP**

19. 6. 2017

### **VÝBEROVÝ SLOVNÍK VHODNÝCH A NEVHODNÝCH POJMOV PRE OZNAČOVANIE ZDRAVOTNÉHO POSTIHNUTIA**



Vedieť sa správne vyjadriť by malo byť v záujme nás všetkých, ale najmä tých, ktorí pôsobia vo verejnom živote alebo v oblasti médií. Používanie nesprávnych pojmov môže byť totiž obzvlášť citlivé, pokiaľ sa viaže na označovanie zraniteľných skupín obyvateľstva, medzi ktoré bezpochyby patria ľudia so zdravotným postihnutím. Veľmi často sme svedkami zamieňania a používania nesprávnych pojmov a táto skutočnosť ma viedla k osloveniu odborníkov a zástupcov ľudí so zdravotným postihnutím, vytvoriť malý výberový slovník všeobecne vhodných a nevhodných pojmov, súvisiacich s oblasťou zdravotného postihnutia. Tento slovník nemá ambíciu slúžiť ako odborná, ale skôr ako orientačná a osvetová pomôcka najmä pre slovenské médiá, tlmočníkov a prekladateľov, ale aj pre laickú verejnosť, aby pri písaní či hovorení o ľuďoch so zdravotným postihnutím a o ich postihnutiach používali tie správne pojmy a označenia. Aj Slovenská aliancia zriedkavých chorôb sa podieľala na spolupráci pri jeho tvorbe.

19. 6. 2017

Pripomienky Slovenskej aliancie zriedkavých chorôb podané v pripomienkovom konaní k LP/2017/534 Zákon z....., ktorým sa mení a dopĺňa zákon č. 363/2011 Z.z LP/2017/534 Zákon z....., ktorým sa mení a dopĺňa zákon č. 363/2011 Z. z. o rozsahu a podmienkach úhrady liekov, zdravotníckych pomôcok a dietetických potravín na základe verejného zdravotného poistenia a o zmene a doplnení niektorých zákonov a ktorým sa menia a dopĺňajú niektoré zákony

**PRIPOMIENKA K: § 65, ODSEK 5**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka:

Slovenská aliancia zriedkavých chorôb po konzultácii so zástupcami pacientov s dedičnými metabolickými chorobami navrhuje zachovať plnú úhradu zdravotnej poisťovne na prípravky / dietetika určené na liečbu dedičných metabolických chorôb (napr. PKU)

(5) Ak predmetom žiadosti je dietetická potravina, ktorá nepatrí do žiadnej podskupiny dietetických potravín zaradených v zozname kategorizovaných dietetických potravín a nemá úradne určenú cenu aspoň v jednom členskom štáte, maximálna výška úhrady zdravotnej poisťovne za jednotku referenčnej dávky dietetickej potraviny sa určí tak, aby maximálna výška úhrady zdravotnej poisťovne za dietetickú potravinu neprevýšila 20 % z maximálnej ceny dietetickej potraviny vo verejnej lekární. Zmenu takto určenej maximálnej výšky úhrady zdravotnej poisťovne za referenčnú dávku dietetickej potraviny je možné vykonať na základe žiadosti výrobcu podľa § 64, ak preukáže, že dietetická potravina má úradne určenú cenu aspoň v troch členských štátoch. Na účely preukazovania úradne určenej ceny dietetickej potraviny podľa tohto odseku sa na veľkosť balenia dietetickej potraviny a počet kusov v balení dietetickej potraviny neprihliada.

Odôvodnenie:

1. Dietetické potraviny pre pacientov s vrodenými metabolickým poruchami

sú finančne nákladné. Obmedzením výšky úhrady zdravotnej poisťovne na tak nízku úroveň spôsobí vysoký doplatok pre pacienta a tým výrazné riziko nedostupnosti dietetickej potraviny v klinickej praxi predovšetkým s prihliadnutím na cieľovú skupinu pacientov a sociálny status. Vrodené metabolické ochorenia vyžadujú špeciálny diétny režim počas celého života, ako napríklad u pacientov s fenylketonúriou. Vstup inovatívnych dietetík do systému úhrad môže zabezpečiť veľký liečebný prínos a zvýšiť compliance pacienta.

2. Dieťa s vrodenou metabolickou poruchou vyžaduje 24-hodinovú starostlivosť jedného z rodičov. Tým pádom je rodina odkázaná iba na jeden finančný príjem, čo výrazne obmedzuje možnosť zaplatiť vysoké doplatky, ktoré by týmto návrhom vznikli. Pacienti s metabolickými ochoreniami majú výrazne zníženú možnosť príjmu bežných potravín, ktoré sú v porovnaní s dietetickými potravinami lacnejšie a dostupnejšie (napr. nízkobielkovinová diéta je približne o 60 % drahšia ako bežná strava) a sú odkázaní na používanie dietetických potravín.
3. Dodržiavanie diétneho režimu užívaním dietetických potravín (doplnenie bielkovín) znižuje výskyt zdravotných komplikácií, re-hospitalizácií a nákladnej infúznej liečby, čím sa znižujú celkové náklady zdravotnej poisťovne.
4. Vstup novej dietetickej potraviny do systému úhrad by v konečnom dôsledku mohlo priniesť úsporu prostriedkov z verejného zdravotného poistenia, nakoľko by sa používaním novej potraviny znížili výdavky za ostatné dietetické potraviny zaradené v už existujúcich podskupinách.

**PRIPOMIENKA K: §2 PÍSMENO A)**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb navrhuje po konzultácii so zástupcami pacientov s dedičnými metabolickými chorobami:

preformulovať, alebo upresniť/doplniť

a) dietetickou potravinou požívajúca indikovaná lekárom, určená na osobitné výživové alebo medicínske účely, ktorá má špeciál-

ne zloženie, je upravená alebo vytvorená na diétny režim pacientov vrátane dojčiat a detí s obmedzenou, poškodenou alebo narušenou schopnosťou prijímať, stráviť, vstrebávať, metabolizovať alebo vylučovať bežné potraviny, živiny alebo metabolity alebo pacientov, ktorých iné stanovené výživové a liečebné potreby nemožno dosiahnuť úpravou bežnej stravy; pod stravou sa rozumie zostava jedál a pokrmov na zabezpečenie výživy v inej ako pevnej dávkovanej forme ako sú kapsula, pastilka, tableta ani a v inej forme ako u liekov

Odôvodnenie:

Pevné dávkované formy dietetických potravín, ako sú pastilky, tablety, kapsule a iné liekové formy, napríklad dávkované práškové formy uľahčujú pacientom používanie prípravku a zvyšujú compliance pacienta. Tieto formy predstavujú pre pacienta presnú dávku bielkovín a aminokyselín, čím im umožňujú jednoduchšiu konzumáciu oproti štandardným práškovým formám. Príjem presne stanoveného množstva aminokyselín je pre pacientov s vrodenými metabolickými poruchami, ktorí musia diétny režim dodržiavať celý život, najdôležitejšie kritérium liečenia.

**PRIPOMIENKA K: § 88, ODSEK 13**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb po konzultácii so zástupcami pacientov s dedičnými metabolickými chorobami upozorňuje, že v prípade zachovania plného znenia odseku 13 môže dôjsť k obmedzeniu dostupnosti dietetík pre pacientov so zriedkavými dedičnými metabolickými poruchami.

znenie odseku 13:

Zdravotná poisťovňa môže uhradiť liek, zdravotnícku pomôcku alebo dietetickú potravinu podľa odseku 7 vo výške

- a) 90 % zo sumy uvedenej v žiadosti ak ide o liek, zdravotnícku pomôcku alebo dietetickú potravinu, ak od prvého predaja lieku, zdravotníckej pomôcky alebo dietetickej potraviny v Slovenskej republike uplynulo najviac 12 kalendárnych mesiacov,
- b) 80 % zo sumy uvedenej v žiadosti ak ide o liek, zdravotnícku pomôcku alebo dietetickú potravinu, ak od prvého predaja lieku, zdravotníckej pomôcky alebo dietetickej potraviny v Slovenskej republike uplynulo

najviac 24 kalendárnych mesiacov, c) 70 % zo sumy uvedenej v žiadosti ak ide o liek, zdravotnícku pomôcku alebo dieticckú potravinu, ak od prvého predaja lieku, zdravotníckej pomôcky alebo dietetickej potraviny v Slovenskej republike uplynulo viac ako 24 kalendárnych mesiacov.

Odôvodnenie:

1. Dieteticcké potraviny, ktoré vyžadujú mimoriadne schválenie sú najmä prípravky pre pacientov so zriedkavými metabolickými ochoreniami. U týchto pacientov je compliance prvým najdôležitejším parametrom pre užívanie. Obmedzenie výšky úhrady zdravotnej poisťovne na základe toho, ako dlho je dieteticcká potravina na trhu v SR by mohlo byť veľkým znevýhodnením.
2. Dieťa s vrodenou metabolickou poruchou vyžaduje 24-hodinovú starostlivosť jedného z rodičov. Tým pádom je rodina odkázaná iba na jeden finančný príjem, čo výrazne obmedzuje možnosť zaplatiť vysoké doplatky, ktoré by týmto návrhom pacientovi vznikli. Týmto vzniká riziko nedostupnosti adekvátnej liečby pre takýchto pacientov.

#### **PRIPOMIENKA K: § 88, ODSEK 11**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb po konzultácii so zástupcami pacientov s dedičnými metabolickými chorobami navrhuje vyškrtnúť:

Poskytovateľ, ktorý podľa odseku 9 žiada od zdravotnej poisťovne úhradu liekov, zdravotníckych pomôcok alebo dieteticckých potravín uvedených v odseku 7 je povinný uhradiť schválený a poskytnutý liek, zdravotnícku pomôcku alebo dieteticckú potravinu vo výške 5 % zo sumy uvedenej v žiadosti

Odôvodnenie:

Vyžadovanie uhradenia poplatku za mimoriadnu žiadosť o úhradu dietetickej potraviny, ktorá nie je kategorizovaná, od poskytovateľa zdravotnej starostlivosti môže v konečnom dôsledku znamenať nechotu poskytovateľov zdravotnej starostlivosti žiadať úhradu za nekategorizované dieteticcké potraviny a tým nedostupnosť dietetickej potraviny pre pacienta. Jedná sa najmä

o prípravky na zriedkavé metabolické ochorenia (homocystinúria, neketotická hyperglycinémia, a iné), ktoré výrobcovia nie sú ochotní kategorizovať vzhľadom na veľmi nízku incidenciu ochorenia. Tieto dieteticcké potraviny musia pacienti užívať celoživotne, nakoľko ochorenie sa nedá vyliečiť. Zavedenie poplatku pre poskytovateľa bude znamenať ukončenie terapie – následne invalidizáciu.

#### **PRIPOMIENKA K: § 6**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb po konzultácii s pacientami s cystickou fibrózou chce upozorniť na aktuálny nedostatok liekov, ktoré sú v ostatných Európskych krajinách štandardom v liečbe CF, najmä inhalačný levofloxacin a aztreonam. Zároveň v poslednom období držiteľ registrácie stiahol z trhu jeden z inhalačných tobramycinov, ktorý bol značnou časťou patientskej populácie lepšie tolerovaný, mal menšie nežiaduce účinky ako druhý produkt, ktorý je zatiaľ na trhu.

#### **PRIPOMIENKA K: § 2**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb navrhuje:

§ 2 doplniť písmenom v), ktoré znie:

v) liekom na ojedinelé ochorenia je liek zaradený do registra spoločenstva pre lieky na ojedinelé ochorenia podľa osobitného predpisu.1d

Poznámky pod čiarou k odkazom 1a až 1d znejú:

1d Nariadenie Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000 zo 16. decembra 1999 o liekoch na ojedinelé ochorenia (Mimoriadne vydanie Ú. v. EÚ, kap. 15/zv. 5; Ú. v. ES L 18, 22.1. 2000) v znení neskorších predpisov.

#### **PRIPOMIENKA K: § 7 ODS. 2, BOD 3.**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb navrhuje:

§ 7 ods. 2 bod. 3 upraviť nasledovne: 3. je liekom na ojedinelé ochorenia.

Definíciu lieku na ojedinelé ochorenia navrhuje doplniť do § 2 ako písmeno v) – Liekom na ojedinelé ochorenia je liek zaradený do registra spoločenstva pre lieky na ojedinelé ochorenia podľa Nariadenia Európskeho parlamentu a Rady (ES) č.

141/2000 zo 16. decembra 1999 o liekoch na ojedinelé ochorenia.

V osobitnej dôvodovej správe k návrhu ministerstva pri tomto bode uvádza: „Ďalším nástrojom na zvýšenie dostupnosti liekov na liečbu ochorení s nízkou prevalenciou výskytu je zníženie limitu na 1:50 000 a tým sa rozširujú možnosti zdravotnej starostlivosti“. Považujeme za potrebné poukázať na skutočnosť, že európska legislatíva nepozná termín „ochorenia s nízkou prevalenciou“, na označenie zriedkavých (orphan) ochorení sa používa termín „ojedinelé ochorenia“. Taktiež nie je známe, na základe čoho bol limit prevalencie určený práve na 1:50 000 (resp. 1:100 000 podľa platného znenia zákona). Ak je cieľom navrhovanej úpravy skutočne rozšírenie možností zdravotnej starostlivosti pre pacientov s ojedinelými ochoreniami, odporúčame navrhovaný limit zosúladiť s Nariadením Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000, podľa ktorého ide o ochorenia s prevalenciou 1:2000.

#### **PRIPOMIENKA K: § 88 ODS. 11**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb navrhuje upraviť nasledovne: (11) Poskytovateľ, ktorý podľa odseku 9 žiada od zdravotnej poisťovne úhradu liekov, zdravotníckych pomôcok alebo dieteticckých potravín uvedených v odseku 7, s výnimkou liekov na ojedinelé ochorenia, je povinný uhradiť schválený a poskytnutý liek, zdravotnícku pomôcku alebo dieteticckú potravinu vo výške 5 % zo sumy uvedenej v žiadosti.

#### **PRIPOMIENKA K: § 8 ODS. 1, PÍSM. B), BOD 15**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb navrhuje: Ustanovenie § 8 ods. 1, písm. b), bod 15 doplniť nad rámec návrhu nasledovne: označenie originálneho lieku, generického lieku, biologicky podobného lieku alebo lieku na ojedinelé ochorenia.

#### **PRIPOMIENKA K: § 88 ODS. 13**

Dátum vytvorenia: 25.07.2017

Pripomienka: Slovenská aliancia zriedkavých chorôb navrhuje úpravu § 88 ods. 13 nasledovne: Za písm. c) navrhuje vložiť písmeno d), ktoré znie: d) 100 % zo sumy uvedenej v žiadosti, ak ide o liek na ojedinelé ochorenia.

## K CENTRUM – PORADENSKO KONSULTAČNÉ CENTRUM

20. 8. 2017

Väčšina (cca 95 %) zriedkavých chorôb je neliečiteľná. O to väčšia je potreba rehabilitácie a cielenej podpory psychomotorického, kognitívneho, zmyslového a emocionálneho vývoja. Práve tejto sa venuje aj poradensko-konzultačné centrum K Centrum. Nachádza sa na Ďumbierskej 10/a v Bratislave a vedie ho občianske združenie „Naše motýlinky“.



## KAMPAŇ NA DOSTUPNOSŤ ZDRAVOTNEJ A SOCIÁLNEJ STAROSTLIVOSTI, LIEKOV A ZDRAVOTNÍCKYCH POMÔCOK PRE ĽUDÍ SO ZCH

19. 9. 2017

EURORDIS začal sériu iniciatív na riešenie niektorých problémov súvisiacich so zriedkavými chorobami, ktoré sú súčasťou iných opatrení na európskej alebo medzinárodnej úrovni. Jednou z nich je nasledovná kampaň na zvýšenie dostupnosti liekov a zdravotníckych pomôcok.

Účelom kampane EURORDIS, ktorá bola inšpirovaná kampaňou Médecins Sans Frontières, spustenou v roku 1999, je presadzovať lepší prístup k liekom, diagnostickým testom a zdravotníckym pomôckam pre ľudí, ktorí žijú so zriedkavou chorobou.



# EURORDIS

RARE DISEASES EUROPE

Otázky pre zúčastnených pacientov zneli:

1. S akými problémami sa stretávate pri zriedkavých chorobách na Slovensku?
2. V ktorej oblasti starostlivosti vidíte najväčšie rezervy resp. problémy? Ako sú na tom ostatné štáty?

## WORKSHOP PRE PACIENTSKÉ ORGANIZÁCIE 7. 10. 2017

2. 10. 2017

Workshop pripravený špeciálne pre zástupcov patientských organizácií s názvom Úspešná patientska organizácia = Silnejší hlas pacienta. Jedinečná príležitosť stretnúť sa so zástupcami rozličných patientských skupín, odborníkmi na prezentované témy a zástupcami poisťovní. Workshop sa uskutočnil v Bratislave, 7. októbra 2017, od 8.30 do 16.30 hod.

## ZÁPIS ZO STRETNUTIA FIRMY BIOGEN SO ZÁSTUPCAMI PACIENTOV SO SPINÁLNOU SVALOVOU ATROFIU (SMA)

5. 10. 2017

Doposiaľ neliečiteľná diagnóza sa stáva liečiteľnou. Zmenou však musí prejsť pochopenie spoločnosti odbornej i laickej verejnosti. Biogen je pripravený podporiť aktivity s rozširovaním povedomia a multidisciplinárneho prístupu k SMA. Doktorka Štefanová informovala o SMA Europe Conference v Krakove, v januári budúceho roka, kde budú mať možnosť nielen neuroológovia, ale aj rehabilitační lekári vyškoliť sa v používaní funkčnej motorickej stupnice Hammersmith pre pacientov s SMA, ktorá je potrebná pre hodnotenie ochorenia. Na záver sa zúčastnení dohodli, že sa opätovne stretnú budúci mesiac, pravdepodobne druhý novembrový týždeň, aby aktualizovali situáciu. Dovtedy sa každá zo zúčastnených strán bude snažiť pracovať vo svojej oblasti, tak aby proces zbytočne nestagnoval. Pre transparentnosť postupu, budú z každého stretnutia pacientov so zástupcami priemyslu vyhotovované zápisy.

## EKONOMICKÉ VÝZVY ORPHAN LIEKOV – VYBRANÉ SKÚSENOSTI Z EURÓPY

nie je žiadnym tajomstvom, že zaužívané metódy hodnotenia zdravotníckych technológií (HTA – Health Technology Assessment) používané pre choroby častejšieho výskytu väčšinou nepreukážu nákladovú efektivitu orphan liekov (OMP – orphan Medicinal Products). HTA agentúry sa často kritizujú za svoj prístup k OMP, pri ktorých by sa očakávalo viac zhovievavosti. Aj preto sú HTA agentúry nútené prehodnotiť svoje postupy a byť transparentnejšie. V tejto oblasti sa súčasne realizoval výskum, ktorého cieľom bolo identifikovať problémy, s ktorými sa HTA agentúry v rámci svojich štandardných postupov konfrontujú. Na Slovensku sú skúsenosti s ekonomickým hodnotením OMP špecifickými metódami HTA doposiaľ minimálne, aj preto v tomto príspevku prinášame niekoľko príkladov správnej praxe z Európy.

## INDIKOVANÝM A SPRÁVNÝM UŽÍVANÍM ANTIBIOTÍK POMÁHAME V BOJI PROTI ANTIMIKROBIÁLNEJ REZISTENCII

Alarmujúci nárast počtu rezistentných baktérií predstavuje významný zdravotný a svetový problém. Efektívna liečba infekčných ochorení, resp. riešenie antimikrobiálnej rezistencie, patria medzi priority Európskej liekovej agentúry. Antimikrobiálna rezistencia znamená, ak sa baktéria zmení na čiastočne alebo úplne rezistentnú voči liečbe, ktorá u nej v minulosti bola účinná. Pacienti so zriedkavými chorobami sú ešte viac vystavení riziku rezistentných baktérií, či už ide o infekcie v populácii ako aj o infekcie získané v zdravotníckych zariadeniach. Aj preto sa celá komunita ľudí so zriedkavými chorobami, ich rodín a podporovateľov zastáva racionalneho užívania antibiotík.

## KONFERENCIA AOPP

24. 11. 2017

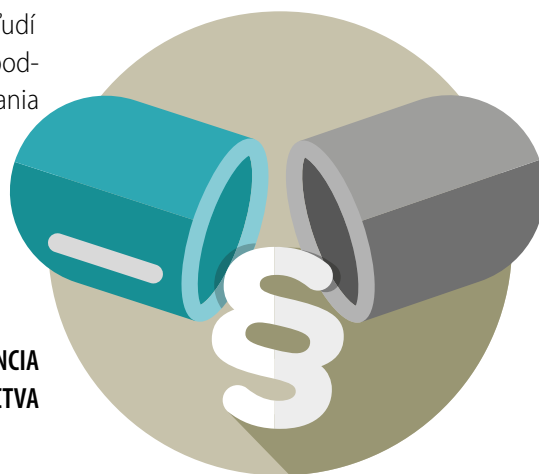
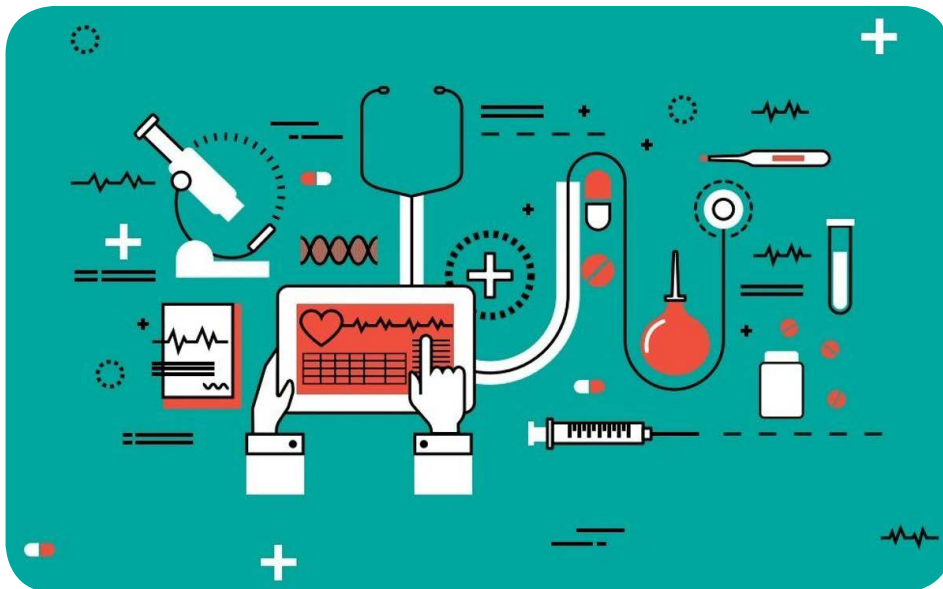
**PRVÁ NÁRODNÁ PACIENTSKA KONFERENCIA AOPP POD ZÁŠTITOU MINISTRA ZDRAVOTNÍCTVA SR, JUDR. ING. TOMÁŠA DRUCKERA**



# AOPP

Asociácia na ochranu práv pacientov SR, o. z.

Ústrednou témou podujatia bola novela zákona 363/2011 Z. z. a jej dopad na dostupnosť liekov. Rešpekt a poďakovanie patria organizátorom, podarilo sa im postaviť naozaj zaujímavý diskusný panel. Pohľad na novelu prezentovali všetci kľúčoví hráči MZ SR ako aj poisťovne. Zástupca MZ SR zdôraznil otvorený pohľad novely voči inováciám ako aj posunutie prevalence na hranicu 1:50 000. Až v prípade, že sa choroby budú vyskytovať častejšie, výrobca bude musieť dokázať nákladovú efektívnosť. Efektívnejšie vynakladanie finančných prostriedkov má priniesť aj zdieľanie nákladov výrobcami resp. držiteľom registrácie. Novela vytvára tiež priestor pre pacientov, ktorí budú môcť vyjadriť svoj pohľad na liečbu, či používanie zdravotníckych pomôcok.



## PRACOVNÉ STRETNUTIE ALIANCIE ZCH 12. 12. 2017

17. 12. 2017

Koncom roka 2017, dňa 12.12.2017 sme sa stretli v komornom prostredí v priestoroch budovy Úradu pre dohľad nad zdravotnou starostlivosťou, aby sme pracovne prebrali agendu, ktorá nás bude v nasledujúcich mesiacoch zamestnávať. Na pracovnom stretnutí sa zúčastnil aj zástupca nového člena Aliancie ZCH, pán Štefan Grajcár, ktorý do nášho prostredia priniesol nový pohľad.

### Okruhy tém, ktorým sme sa na stretnutí venovali:

1. Centrá expertízy
2. Téma Dňa Zriedkavých chorôb 2018
3. Detaily práce v komisii pre ZCH
4. Eurordis Photo Award 2018 (fotografie do ďalšej súťaže, systém dobrého lajkovania fotiek, ale aj profesionálne kritériá súťaže)

5. Preplácanie liekov
6. AOPP konferencia – téma Liek s rozumom, otvorenie zákona o lieku, výnimky vs. kategorizácia, téma spoluúčasti pacient
7. Pripomienkovanie zákona SAZCH
8. Liek od Biogen Idec (liek schválený iba na výnimku)
9. Minorit (zmena vydávania časopisu, zrušenie ISSN čísla – iba newsletterová forma, články nebudú v pdf, ale na webe [www.sazch.sk](http://www.sazch.sk))
10. Deň zriedkavých chorôb ( príprava na organizáciu eventu, patientske príbehy, pozitívny rozmer medializácie – zvyšovanie povedomia o ZCH, medializácia prináša nových pacientov k diagnostike a k združeniu)
11. Časopis v angličtine (články v angličtine, odborné vedecké články z oblasti zriedkavých chorôb)
12. Vzťahy s médiami

## SCHVÁLENIE ZÁKONA 363/2011 Z.Z.

3. 12. 2017

V posledný novembrový deň schválil parlament dlho očakávanú novelu zákona 363/2011 Z. z. Pacientom má priniesť jednoduchý prístup k moderným, inovatívnym liekom v rámci verejného zdravotného poistenia, bez potreby žiadať o výnimku. Pre pacientov so zriedkavými chorobami sa zmení aj definícia zriedkavosti z 1:100 000 na 1:50 000. Spoluúčasť lekára na liečbe v prípade zriedkavých chorôb je tiež menej pravdepodobná, keďže sa vzťahuje len na

off label používanie – užívanie mimo schválenej indikácie. Indikácia orphan liekov je vo väčšine prípadov presne definovaná. Na druhej strane väčšina zriedkavých chorôb je neliečiteľná a v mnohých prípadoch sa pacienti so zriedkavými chorobami liečia liekmi, ktoré nie sú určené na ich liečbu. V prípade, že sa liek na zriedkavú chorobu nedostane do systému úhrad z verejného poistenia z dôvodu nepreukázanej nákladovej efektívnosti, spoluúčasť lekára sa na liečbu nebude vzťahovať. Pozitívom pre všetkých pacientov nielen tých so zriedkavými chorobami je rozšírenie limitu spoluúčasti. Tento sa nebude vzťahovať okrem liekov aj na zdravotnícke pomôcky a diétnické potraviny.

**Čítajte ďalej**

### **ABY LIEKY NA ZRIEDKAVÉ CHOROBY BOLI CENOVU DOSTUPNÉ**

Počet liekov na zriedkavé choroby pribúda. Aktuálne má orphan štatút 99 liekov, pričom viacerým už uplynula 10, resp. 10 + 2 ročná patentová ochrana. Koncom roku 2015 malo 89 liekov centralizovanú registráciu – orphan a ďalších 123 bolo registrovaných na liečbu zriedkavých chorôb bez orphan štatútu. Každý osemnásty registrovaný liek bol orphan liekom. Podpora výskumu a vývoja orphan liekov prebieha aj vďaka aktivitám medzinárodného výskumného konzorcia, ktoré vzniklo v apríli 2011. Vedecký pokrok prináša pacientom s rôznymi zriedkavými chorobami väčšiu nádej, že ich zriedkavá choroba bude lieči-

teľná. Tento obrovský úspech vo vývoji však naráža na bariéru vysokej ceny, nákladov pre zdravotné poisťovne, systémy, ale aj celú spoločnosť. Len malý počet pacientov s rôznymi zriedkavými chorobami sa lieči liekom a aj toto je jeden z dôvodov, prečo výrobcovia liekov kompenzujú malú cieľovú populáciu vyššou cenou. Napríklad, belgická štúdia vyčíslila medián celoživotných nákladov na liečbu hemofilika vo výške 6 miliónov eur. Štúdia publikovaná v roku 2011 ukázala, že lieky registrované ako orphan mali vyšší medián ceny oproti liekom registrovaným štandardným postupom, avšak používaným na zriedkavé choroby. Medián dennej definovanej dávky ceny lieku registrovaného ako orphan.

V súčasnosti európska skupina farmakoekonomov spracováva prioritné kritériá pre farmakoekonomické hodnotenie na európskej úrovni. Súčasťou tohto procesu sú aj pacienti, ktorí taktiež formulujú svoje priority. Aktuálne sa diskutuje o nasledovných:

- veľká medicínska potreba;
- dopad, záťaž choroby;
- zdravotný dopad;
- očakávaný pridaný medicínsky benefit;
- vysoko rizikové technológie;
- neexistujúce hodnotenie medicínskych technológií;
- použité v nemocniciach;
- ultra orphan, orphan;
- inovatívnosť;
- politický a sociálny tlak;
- vysoký počet pacientov.



Ing. Beáta Ramljaková  
e-mail: [ramljakova@sazch.sk](mailto:ramljakova@sazch.sk)

PharmDr. Tatiana Foltánová, PhD.  
e-mail: [foltanova@sazch.sk](mailto:foltanova@sazch.sk)

[www.zriedkave-choroby.sk](http://www.zriedkave-choroby.sk)  
[www.sazch.sk](http://www.sazch.sk)



Slovenská  
Aliancia  
Zriedkavých  
Chorôb



# FINANČNÁ SPRÁVA 2017

## Slovenská aliancia zriedkavých chorôb/Slovak RD Alliance

Účtovníctvo Slovenskej aliancie zriedkavých chorôb sa vedie v súlade so zákonom č. 431/2002 Z.z. o účtovníctve v znení neskorších predpisov a Opatrení MF SR č. 24342/2007-74, ktorým sa ustanovujú podrobnosti o postupoch účtovania a účtovnej osnove pre účtovné jednotky, ktoré nie sú založené alebo zriadené na účel podnikania v znení neskorších predpisov. Účtovná závierka sa zostavuje v zmysle Opatrenia MF SR č. 25682/2007-74.

Náklady	nezdaňovaná čin.	zdaňovaná čin.	spolu
Mzdové náklady	1 296,00 €		1 296,00 €
Cestovné	281,31 €		281,31 €
Poskytnuté príspevky iným účtovným jednotkám	75,00 €		75,00 €
Ostatné služby	9 881,63 €		9 881,63 €
Iné ostatné náklady	181,40 €		181,40 €
Zákonné sociálne poistenie a zdravotné poistenie	13,56 €		13,56 €
			- €
<b>Spolu náklady</b>	<b>11 728,90 €</b>	<b>- €</b>	<b>11 728,90 €</b>

Výnosy	nezdaňovaná čin.	zdaňovaná čin.	spolu
			- €
Úroky		4,60 €	4,60 €
Osobitné výnosy	1 500,00 €		1 500,00 €
Prijaté príspevky od org.	8 663,59 €		8 663,59 €
Prijaté členské príspevky	220,00 €		220,00 €
Podiel zaplatenej dane	1 341,49 €		1 341,49 €
<b>Spolu výnosy</b>	<b>11 725,08 €</b>	<b>4,60 €</b>	<b>11 729,68 €</b>
Rozdiel výnosov a nákladov	-	-	-

Časové rozlíšenie do roku 2015	EUR
Osobitné výnosy	2 000,00 €
Prijaté príspevky od org.	9494,4
Podiel zaplatenej dane	1695,64
<b>Spolu</b>	<b>13 190,04 €</b>

Majetok	EUR
<b>Aktíva</b>	
<b>Obežný majetok spolu</b>	<b>8 357,09 €</b>
Krátkodobé pohľadávky	104,60 €
Finančné účty	8 252,49 €
Pokladňa	894,89 €
Bankové účty	7 357,60 €
<b>Majetok spolu</b>	<b>8 357,09 €</b>
<b>Pasíva</b>	
Cudzie zdroje spolu	134,13 €
Krátkodobé záväzky	134,13 €
Záväzky z obchodného styku	25,00 €
Záväzky voči zamestnancom	108,00 €
Zúčtovanie so sociálnou poisťovňou	1,13 €

Časové rozlíšenie spolu	8 222,96 €
Výdavky budúcich období	-
Výnosy budúcich období	8 222,96 €
Vlastné a cudzie zdroje spolu	8 357,09 €