

PROBLÉMY ZDRAVIA

nepoznajú hranice

Odznalo na najväčšej európskej konferencii zameranej na zriedkavé choroby. V dňoch 14. – 15. mája sa uskutočnila 10. Európska konferencia zriedkavých chorôb (ECDR 2020), ktorá mala pre pandémiu a súvisiace opatrenia podobu online videokonferencie. Tak, ako v prípade COVID-19, znásobenie úsilia v EÚ má v prípade zriedkavých chorôb jasnú dvojnásobnú pridanú hodnotu. Po prvé, zlepšiť zdravie 30 miliónov ľudí so zriedkavými chorobami v Európe. Po druhé, minimalizovať vplyv a maximalizovať hospodársky výnos jednotlivých členských štátov Európskej únie.

Podobne, ako sme informovali v aprílovom čísle Lekárnických listov, aj tu odborníci, ale aj zástupcovia pacientov konštatovali, že ľudia žijúci so zriedkavými chorobami žijú roky s obmedzeniami a stereotypmi, ktoré väčšina verejnosti spoznala až vďaka koronavírusu. Koronavírus zhoršuje zdravotné, sociálne a hospodárske podmienky z krátkodobého aj dlhodobého hľadiska. Práve skúsenosti a potreby spojenia národných kapacít v oblasti zriedkavých chorôb pomáhajú zabezpečiť zdravie, rovnosť a solidaritu pre každého občana. Celé podujatie bolo rozdelené do šiestich skupín. Všetci sme sa spolu stretli vo virtuálnom priestore. Na podujatí nechýbalo ani Slovensko. V práci autorského kolektívu T. Foltánovej a G. Hrkovej sme prispeli k aktuálnej téme nerovnocenného prístupu k liečbe prácou *How accessible are orphan medicinal products in Slovakia? (Ako prístupné sú orphan lieky na Slovensku?)*.

Budúcnosť diagnostiky: nádeje, služby a výzvy

Téma diagnostiky hneď úvodom poukázala na potrebné rozdelenie pacientov na tých, ktorí svoju diagnózu poznajú a vyžadujú adresnejšie smerovanie k odborníkom, napr. aj pomocou Špecializovaných pracovísk pre zriedkavé choroby, resp. Európskych referenčných sietí, a druhú skupinu pacientov, ktorí svoju diagnózu nepoznajú. Samostatnou skupinou v liečbe je novorodenecký skrining. Slovensko aktuálne skrininguje 20 zriedkavých chorôb. Táto problematika je však veľmi dynamická, najmä so vzrastajúcim počtom liečebných možností. Veľmi aktuálnou témou je skrining spinálnej svalovej atrofie.

Naše hodnoty, práva, budúcnosť: posun paradigmy v prospech inklúzie

V druhej téme sme sa sústredili na legislatívny rámec rovnocenného prístupu k zdravotnej starostlivosti a jeho posilnenie za podpory Organizácie spojených národov, resp. Svetovej zdravotníckej organizácie. Kľúčový je článok 5 Deklarácie ľudských práv – o rovnocennom a nediskriminujúcom prístupe k zdravotnej starostlivosti, resp. 10 cieľov udržateľného rozvoja. Legislatívne základy sú aj súčasťou Európskej charty a Európskej stratégie zdravotného postihnúť. Aj Európske referenčné siete (ERN) vznikli za účelom rovnocenného prístupu k zdravotnej starostlivosti.

Sharem Care, Cure: zmena starostlivosti o zriedkavé choroby v roku 2030

Práve Európskym referenčným sieťam sa venoval aj samostatný blok. V rámci neho sa diskutovalo o hesle ERN Share Care Cure, o existencii ERN v roku 2030, teda o vízii poskytovania zdravotnej starostlivosti v roku 2030. Projekt Rare2030 nám už dnes umožňuje rozhodnúť o budúcnosti, o tom, ako chceme aby vyzerala starostlivosť o ľudí so zriedkavými chorobami v roku 2030. Z rôznych scenárov sa zdá, že občania Európskej únie chcú aj naďalej zachovať princíp solidarity. ERN sú veľmi silným nástrojom ako to dosiahnuť. Fungujú práve na verejnom poskytovaní zdravotnej starostlivosti a solidarite. Na druhej strane, ak členské štáty nepodporia napredovanie Európskych referenčných sietí a nevytvoria im priestor vo svojom zdravotnom systéme, nenastavia si postupné kroky implementácie a monitoringu aktivít, môžu o všetky tieto výhody prísť. Pred touto úlohou stojí aj Slovensko. ERN sú relatívne tvrdo skúšané rôznymi admi-

nistratívnymi prekážkami, napriek tomu aj po troch rokoch existencie ich koordinátori nestratili motiváciu. Prinášajú prvé praktické skúsenosti z informatizácie zdravotníctva, telemedicíny, využitia umelej inteligencie. Mnohé krajiny ich identifikovali ako „elitné kluby“ v tom najlepšom slova zmysle, výkladnú skriňu toho najlepšie fungujúceho, najprogressívnejšieho, ale aj najodvážnejšieho v zdravotníctve – kde dochádza k vzácnemu spojeniu výskumu a praxe za pomoci a v prospech pacienta, kde sa deje reálny pokrok. Práve v týchto krajinách už vznikli koordináčne centrá pre zriedkavé choroby, napriek tomu, že ich vytvorenie je zatiaľ plne v kompetencii členských štátov.

Keď terapie naplňajú potreby: zabezpečenie pro-pacientskeho prístupu vo vývoji nových terapií

Prostredníctvom online konferencie sme sa rozprávali aj o vzniku nových liekov, ktoré flexibilne reagujú na potreby pacientov, samozrejme za podmienok, že pacienti sa vzdelávajú a poznajú procesy. V tejto sekcii zazneli silné myšlienky o posune od vylúčenia k inklúzii. Vylúčenie v tomto prípade znamená nedostatočný prístup k starostlivosti, liečbe, ale aj informáciám. Taká je situácia aj na Slovensku. Napriek rôznym legislatívnym zmenám, lieky na zriedkavé choroby pre mnohých pacientov chýbajú, prichádzajú z niekoľkoročným omeškaním, či až po strate patentovej ochrany. Slovenskí pacienti sa minimálne zapájajú do klinických štúdií či sa liečia off label. Hlas pacienta v tejto veci je dlhodobo podceňovaný a prehliadaný. Poučiť sa môžeme najmä s liečby zriedkavých rakovín v Európe, ale aj na národnej úrovni, kde máme veľa príkladov dobrej praxe.

Poznáme viac ako 6000 zriedkavých chorôb. Žiadna krajina nemá dostatok odborníkov, aby sa dokázala postarať o všetkých pacientov, ktorí nimi trpia. Aj preto vznikla spoločná Európska iniciatíva v oblasti zriedkavých chorôb. Prináša inovácie, prepája a prispôsobuje výskum a vývoj reálnym potrebám praxe. Je však na každom členskom štáte, ako bude aktívny. Čím aktívnejšie krajiny sú, tým viac získavajú. Naopak rezervovaný prístup k starostlivosti o pacientov so zriedkavými chorobami je na škodu nielen pre pacientov a ich rodiny, ale aj odborníkov, ktorí ak nemôžu liečiť podľa aktuálneho vedeckého poznania, postupne strácajú motiváciu a v neposlednom rade pre celú spoločnosť, ktorá žije vo falošnej nevedomosti.

v tejto oblasti je práve susedná Česká republika. Predsedať Európskej únii bude v roku 2022 a v agende nebudú chýbať zriedkavé choroby a rovnocenný prístup k zdravotnej starostlivosti.

Témami budú aj:

- ♦ investície do spoločného výskumu, vývoja a inovácie
- ♦ ciele riešenie nenaplnených medicínskych potrieb
- ♦ rozšírenie a konsolidácia európskych referenčných sietí
- ♦ štruktúrovaný prístup EÚ na zabezpečenie udržateľného prístupu k liekom na zriedkavé choroby a bunkovým, resp. génovým terapiám

Nedostatočná koordinácia škodí nielen zdraviu ľudí so zriedkavými chorobami, ale má negatívny dopad aj na hospodárstvo. Ana Rath, riaditeľka Orphanetu (Databázy zriedkavých chorôb), zdôraznila: „Teraz má EÚ viac ako kedykoľvek predtým zásadnú úlohu pri zlepšovaní zdravia svojich občanov. ECRD 2020 sa zamerala na to, ako vytvárať politiky a služby v nasledujúcom desaťročí, ktoré zlepšia cestu životom so zriedkavými chorobami pre pacientov a ich rodiny. Odolnosť, odvaha a odhodlanie ľudí so zriedkavými chorobami, ich rodín a zdravotníckych pracovníkov nebudú stačiť na prekonanie nových výziev v dôsledku pandémie. Právomoci EÚ a členských štátov pri spoločnom konaní by sa mali používať na kolektívne vyjednávanie a vytváranie investícií. Spolupráca EÚ v oblasti výskumu, zdravotníckych technológií a zdravotnej starostlivosti sú životne dôležité, nakoľko problémy zdravia nepoznajú hranice.“

PharmDr. Tatiana Foltánová, PhD.
Katedra farmakológie a toxikológie
FaF UK v Bratislave

Ako zabezpečiť nové terapie podľa 3A - Accessible, Available, Affordable

Nové terapie podľa 3A – Accessible, Available, Affordable (dostupné, prístupné a finančne akceptovateľné) sú veľkou motiváciou pre každú krajinu. Napriek tomu, že na svete žije skoro 6 miliónov ľudí so zriedkavými chorobami, ich prístup k zdraviu je neporovnateľný s ostatnou populáciou. Tretina z nich nemá v súvislosti so svojím zriedkavým ochorením prístup k základnej zdravotnej starostlivosti. Liečba existuje len pre 390 z 6172 existujúcich zriedkavých chorôb a v mnohých krajinách i na Slovensku je pre pacientov nedostupná. Medzi regulátormi, hodnotiteľmi zdravotníckych technológií a výrobcami prevládá obrovská nedôvera. Vyriešiť ju môže iba vzdelávanie a vzájomné poz-

návanie bez predsudkov. Pozitívnym príkladom v tejto oblasti je European Joint Action on rare diseases.

Digitálna revolúcia

Nové technológie, umelá inteligencia, rozhodnutia postavené na dátach z reálnej praxe to je cesta do budúcnosti. Je v záujme každého štátu aj Slovenska aby začal postupne a systematicky pracovať na etických a legálnych prekážkach využitia zdravotníckych informácií v prospech spoločnosti.

Jedným zo záverov podujatia je spoločný apel na jednotlivé štáty aby zvýšili úsilie v oblasti vzájomnej spolupráce na príslušných politikách EÚ, ktoré posilnia systémy zdravotnej starostlivosti. Nádejou pre Slovensko