

Zápis so stretnutia patientskych organizácii s farmaceutickou firmou ROCHE

Kedy a kde: 28.10.2020, 13 ,30 – 15,50 hod. online by zoom

Zúčastnení:

Roche:

- Darius Richter- Patient Associations Partner
- Martin Fučík- Licence to Operate Lead
- Ján Malo- Medical Lab Lead
- Martina Babiaková- Medical Manager
- Zuzana Vargová- Market Access Manager
- Alena Füssyová - Medical Manager

Organizácia muskulárnych dystrofií v SR

- Andrea Madunová - predsedníčka OMD v SR
- Alena Juričková – SMA2 pacient, OMD v SR
- Peta Halmešová - SMA1 pacient 23 rokov
- Veronika Štefániková – matka SMA1 pacienta
- Marcela Badová - matka SMA1 pacienta 1,5 roka
- Kristína Curgali matka SMA2 pacienta 3,5 roka

Slovenská aliancia zriedkavých chorôb

- Tatiana Foltánová -

Cieľ stretnutia:

Informovať patientske organizácie o možnostiach Compassionate use programu

Stretnutie iniciovali zástupcovia patientskych organizácií na základe dopytu svojich členov, ktorí majú informácie, že takýto program prebieha v susedných krajinách. Program stretnutia bol dopredu známy a je prílohou tohto zápisu. Zástupcovia patientskej organizácie zdieľali s firmou Roche súbor otázok, tak ako ich vyzbierali od svojich členov. Tieto boli predmetom diskusie.

Úvodom stretnutia Darius Richter a Tatiana Foltánová všetkých privítali a predstavili zúčastnených. Ján Malo - Medical Lab Lead predstavil spoločnosť Roche ako švajčiarsku rodinnú firmu v ktorej centre záujmu stojí pacient. Následne sa všetci zúčastnení venovali predmetu stretnutia.

Medical Manager Alena Füssyová hneď na začiatku svojej prezentácie zdôraznila, že cieľom stretnutia nie je informovať pacientov o lieku, liečbe nakoľko toto je výlučne v rukách odborníkov. Tiež zdôraznila, že vývoj liekov a liečba pacientov sú náplňou a motiváciou firmy Roche, môžu však prebiehať len v rámci legislatívneho rámca krajiny, v ktorej pacienti žijú. S týmto korešpondovala aj jej prezentácia. Venovala sa predovšetkým legislatívnym

možnostiam Compassionate use programu. Ide o program skorého prístupu k liekom pre pacientov, u ktorých je vysoká medicínska potreba liečby a registrácie lieku resp. jeho uvedenia na slovenský trh by sa vzhľadom na závažnosť klinického stavu nemuseli dočkať. Compassionate use program je určený pre lieky, ktoré ešte nie sú registrované v krajine kde pacient žije, avšak sú registrované aspoň v jednej krajine. Ide teda o liečbu neregistrovaným liekom, za ktorú podľa slovenskej legislatívy nesie plnú zodpovednosť indikujúci lekár. Možnosť Compassionate use programu je limitovaná registráciou lieku. Ako náhle bude liek registrovaný v Európe nebude možné zaraďovať nových pacientov do Compassionate use programu. Z prezentácie vyplynulo, že Compassionate use program nie je jednoznačne definovaný v slovenskej legislatíve. Sú tu niektoré bariéry, ktoré jeho realizácii na Slovensku bránia, kam patrí aj nemožnosť liečby pacientov na Slovensku klinickými baleniami po registrácii lieku v EÚ. Firma Roche v spolupráci s MZ SR hľadá možnosti ako túto situáciu vyriešiť. Slovenská aliancia zriedkavých chorôb tu upozornila na možnosť spolupráce s Asociáciou inovatívneho farmaceutického priemyslu, ktorá sa tejto problematike venuje a aktívne ju komunikuje s kompetentnými autoritami. Synergia v týchto aktivitách by mohla byť úspechom.

Na základe žiadosti firma Roche zdieľala tiež informácie o tom ako tento program v liečbe SMA prebieha v susedných krajinách a aké sú jeho zaraďovacie kritériá. V zahraničí sú v tomto programe tak detskí ako aj dospelí pacienti s geneticky potvrdenou diagnózou SMA 1 a SMA 2, čo korešponduje s informáciami, ktoré majú pacienti od pacientov v zahraničí. Obmedzením programov v zahraničí nie je ani umelá pľúcna ventilácia či dospelý vek.

Alena Füssyová zdôraznila, že zaraďovacie kritériá si každá krajina upraví na základe rozhodnutia konzília odborníkov, tak aby rešpektovali pravidlá Compassionate use programu. Firma Roche je v úzkom kontakte s konzíliom odborníkov a je pripravená v prípade, že sa program schváli začať v tejto veci konať.

Nasledujúce odpovede na ciele otázky od zástupcov patientskych organizácii boli zdieľané. Cieľom programu nie je zbierať dáta o účinnosti ani o bezpečnosti, nebudú sa tiež zbierať patients reported outcomes. Benefit liečby je podmienkou pokračovania liečby v programe, hodnotenie účinnosti bude založené na hodnotiacich škálach, ktoré boli použité na sledovanie účinnosti v pivotných klinických štúdiách a hodnotenie bude vykonávať odborník, zodpovedný za zaradenie a liečenie pacienta v rámci programu.. Ukončenie programu, môže iniciovať aj

samotný pacient. Ďalšími dôvodmi ukončenia programu môže byť závažný vedľajší účinok alebo non compliance. Program môže ukončiť aj firma.

Ján Malo však zdôraznil, že zámerom firmy je v prípade spustenia programu zabezpečiť liečbu pre pacientov zaradených do programu až do času, kým bude liek riadne dostupný v SR. Túto informáciu potvrdila aj Zuzana Vargová, zdôraznila však, že žiadosť lieku o zaradenie do zoznamu kategorizovaných liekov je možné v SR podať až keď bude mať liek určenú cenu v 5 Európskych krajinách. V susedných krajinách už program prebieha. Tatiana Foltánová dala na zváženie, či by nebolo zaujímavé zbierať patient reported outcome, ktorý by sa následne mohol byť cenný pri vstupe registrovaného lieku na trh.

Počas prezentácie a následne aj v diskusii opakovane odznelo, že o zaradení do programu rozhoduje výlučne ošetrojúci lekár, ktorého žiadosť musí následne schváliť MZ SR. Lekár osloví pacientov resp ich rodiny, či majú záujem programu sa zúčastniť. Detailne im vysvetlí prínosy programu ako aj jeho potenciálne riziká. Súčasťou zaradenia do programu bude tiež informovaný súhlas, ktorý si pacient/zákonný zástupca bude mať čas detailne preštudovať a spýtať sa na nejasnosti. To ako bude program detailne prebiehať, ani ako dlho bude trvať sa v súčasnosti nevie, nakoľko nie je jasné, či sa ho podarí spustiť. Počet pacientov nie je vopred definovaný a bude sa odvíjať od nenaplnenej medicínskej potreby jednotlivých pacientov, tak ako ich identifikujú lekári a potvrdí MZ SR. Pacienti sa budú zaraďovať postupne, pričom posledného pacienta je možné zaradiť k dátumu registrácie EMA. Podľa súčasných informácií EMA je to apríl 2021.

Pre pacientov resp rodiny, je však dôležité, aby boli v kontakte so svojím lekárom. V prípade detských pacientov so špecialistom z jedného z troch pracovísk univerzitných/fakultných detských nemocníc resp NÚDCH v Bratislave. V prípade dospelých pacientov je situácia komplikovanejšia. Liečia sa najmä u spádových neurológov, ktorí nemusia mať skúsenosti s klinickým výskumom v SR. Mnohí vzhľadom na vek nemajú geneticky potvrdenú diagnózu. Ako postupovať v otázke dospelých pacientov sa dorieši. Roche bude hľadať riešenie, ktoré pracovisko/odborníka kontaktovať v prípade potenciálneho zaradenia dospelých pacientov do programu. Následne zozdieľa túto informáciu s OMD v SR, s cieľom, aby sa dostala k členom a aby sa aj v tejto skupine zabezpečil rovnocenný prístup k programu. Program nemá vekové obmedzenie avšak aj dospelí pacienti musia spĺňať vopred definované podmienky.

Roche zabezpečí, aby všetci lekári ako aj nemocniční lekárnici zapojení do programu boli špeciálne vyškolení o tom ako s liekom pracovať, resp. čo robiť v prípade vedľajších účinkov.

Pacient obdrží informácie o lieku, jeho skladovaní, dávkovaní od lekára a lekárnika, ale aj v písomnej forme v slovenskom jazyku.

Otázky tiež smerovali k tomu, či liečba iným liekom indikovaným na SMA automaticky vyraduje pacienta so zaradenia do programu. V prípade súčasnej liečby iným liekom je to bezpredmetné. V prípade liečby iným liekom v minulosti to súvisí s nenaplnenou medicínskou potrebou a klinickými štúdiami. Pacienti zaradení do programu musia zodpovedať skúsenostiam z klinických štúdií.

Pacienti sa tiež zaujímali o možnosť zaradenia do Compassionate use programu v inej krajine. Firma Roche nemá aktuálne informácie, že by sa tak doteraz stalo. Je tu tiež legislatívna bariéra zabezpečenia liečby v čase od registrácie lieku EMA po vstup na SK trh.

Zúčastnení sa dohodli na transparentnej pravidelnej komunikácii medzi Roche a patientskou organizáciou raz mesačne, resp. vždy, keď dôjde k zásadnému posunu. Toto je veľký krok vpred, nakoľko záujem riešiť tento problém iniciovali zástupcovia pacientov ešte pred začiatkom korona krízy, koncom roka 2019, resp. začiatkom roka 2020. Zástupcovia OMD v SR ak aj SAZCH si preto veľmi vážia snahu firmy ROCHE a dohodli sa na súčinnosti ohľadom komunikácie k pacientom tak, aby sa predišlo zbytočným nejasnostiam a nedorozumeniam. Priebežne budú zbierať otázky od pacientov a zdieľať ich s firmou Roche.