

ASOCIATIA SUPORT MASTOCITOZA ROMANIA



ASPECTELE LEGALE IN BOLILE RARE- MASTOCITOZA

A. Bolile Rare-Mastocitoza

1.Ce sunt bolile rare?

2.Mastocitoza

a. Definitie

b.Singur în țara nimănu

c.Cu boala prin UE

B.Legislatie UE în Bolile Rare

1. Directiva 89/1988

a. Accesul la medicamente același pentru toți

b. Prețul ne omoară

2. Directiva 24/2011

a. Centrele de Expertiza de Boli Rare

b. Reteaua Transfrontaliera

3. Alte acte incidente

- a. mecanismul off label

C. Legislatia Naționala

1. Muriți sanatosi- HG 720/2008 & OCNAS 85/2013

2. OMS 861/2014& OMS 387/2015

3. OMS 540/2016-o lecție de abuz

Conferinta Ziua Bolilor Rare 2017

- **A. Bolile Rare-Mastocitoza**

1. Ce sunt bolile rare?

Bolile rare sunt afecțiuni cu o incidență de 5:10.000 de locuitori.

În UE sunt aproximativ 8000 de boli rare, cu afecțiuni care au câteva sute de mii de bolnavi, dar și cu câteva zeci sau cu asocieri de afecțiuni rare care abia depășesc 20-30 de bolnavi în toată UE

2. **Mastocitoza**

- a. Definiție

Mastocitoza este o boală cronică rară, reprezentată de un grup heterogen de forme clinice, caracterizate prin acumularea mastocitelor în diferite țesuturi, incluzând măduva osoasă, pielea, tractul gastrointestinal, ficatul și splina (mastocitoza sistemică). Această afecțiune este încadrată în grupa bolilor rare, având o incidență de 3 la 125.000 de oameni

Se situează la granița dintre mai multe specialități medicale, în special alergologie, dermatologie, hematologie și oncologie, boala este puțin cunoscută, iar diagnosticul se pune adesea tardiv.

b.Singur în țara nimănui

- boala recunoscuta ca boala ff rara de OMS, nu este recunsocuta și de Romania

Cromoglicatul de sodiu:

- medicamentul vital, da o speranța de viața de 70 de ani adulților și 60% șanse de vindecare copiilor,

- este adminstrat de peste 30 de ani în lume în mastocitoza, în Romania a fost produs pana în 1995, când a fost delistat pentru ca era prea ieftin

-are eficiența în 90% dintre cazuri,

- are indicatie de mastocitoza în 98 de tari, se adminsitreaza gratuit în toată UE și în lume

- nu are efecte secundare

- tratamentul pentru în un pentru toți cei 63 de bolnavi din Rommania costa 50000 de euro

- NU are APP pentru ca niciun producător nu dorește sa intre pe piața pentru 63 de bolnavi, pentru ca ANMD nu recunoaște RPC urile internaționale

- Este înlocuit cu citostatice gratuite, în valoare de 1.400.000 euro pe an, cu eficiența 10-20%, speranța de viața 4 ani

- Nu este inclusa în PNBR pentru ca nu are protocol, care nu este aprobat pentru ca nu este cromoglicatul în lista medicamentelor compensate

- Exista trialuri clinice pe citostatice în mastocitoza cu baza de selecție Romania(masitinib)

c. Cu mastocitoza prin UE

- Exista centre de expertiza în domeniul bolilor rare parte a rețelei europene de mastocitoza
- Sunt doua mari centre de referinta: Toledo și Charite Berlin
- Este boala rara inclusa în PNBR
- In Spania și UK are RPC- este gratuit cromoglicatul de sodiu
- În celelalte tari UE se administreaza gratuit, decontat de sistemul de asigurari de sănătate prin mecanismul off label
- exista asociatii naționale, în Romania exista Asociatia Suport Mastocitoza Romania (www.mastocitoza.ro, www.mastocitoza.com, Facebook Asociatia Suport Mastocitoza Romania): donatii de 18000 de euro în cromoglicat de sodiu, membra în grupuri guvernamentale de elaborare criteriilor de incadrare în grad de handicap, membra a organismelor internaționale, negociator cu autoritățile.

B.Legislație UE în Bolile Rare

-EURORDIS, <http://www.eurordis.org/>, rețeaua

- ONU a înființat un Comitet Internațional pentru Bolile Rare

1. Directiva 89/1988

Directiva Consiliului 89/105/CEE din 21 decembrie 1988 privind transparența măsurilor care reglementează stabilirea prețurilor medicamentelor de uz uman și includerea acestora în domeniul de aplicare al sistemelor naționale de asigurări de sănătate, menite să asigure libera circulație a bunurilor și serviciilor

a. Accesul la medicamente același pentru toți

- Articolele 1-5 din Directiva transparența măsurilor care reglementează stabilirea prețurilor medicamentelor

Criteriul pretului minim, descurajarea exporturilor paralele, alegerea celei mai bune alternative terapeutice disponibile care satisface nevoile medicale ale bolnavului =eficiența= calitatea vieții

-Articolul 6 includerea a noilor medicamente pe „lista medicamentelor cuprinse în sistemul de asigurări de sănătate” : statele membre UE au la dispoziție 90 de zile pentru includerea unui medicament în lista, cu o prelungire excepțională cu încă 90 de zile.

- În UE termenele de includere variază între 30 de zile (Germania, Belgia) și 120 de zile (Bulgaria).

- În România procesul de includere durează minim 500 de zile, ultimele situații nerezolvate având în jur de 3000 de zile de așteptare

b. Prețul neomoi

Prețul medicamentelor trebuie să fie corect, accesibil, iar un bolnav trebuie să aibă acces la medicamentul sau la cea mai bună alternativă de preț

Intervenția statului în prețul medicamentelor, prin APP, limitează drastic accesul bolnavului la medicamente

2. Directiva 24/2011

Directiva cooperării medicale transfrontaliere

a. Centrele de Expertiza de Boli Rare

- fiecare stat membru UE este obligat să aibă centre de expertiză în domeniul bolilor rare
- Centrele de expertiză din UE alcatuiesc o rețea specifică fiecărei boli rare
- Centrele de expertiză sunt indemnate să coopereze în vederea găsităii de soluții terapeutice optime
- EMA răspunde acestei nevoi prin includerea pe lista a medicamentelor orfane (România este singura țară din UE care nu are nomenclatorul EMA)- Human Recombinant Diaminoxidase, medicament orfan pentru mastocitoza, de zeci de ori mai scump decât cromoglicatul

b. Rețeaua Transfrontalieră

- Presupune cooperarea specialiștilor în domeniu, accesul bolnavilor de boli rare la întreaga rețea europeană de Boli rare, organizarea de congrese și reuniuni științifice

3. Alte acte incidente

- RECOMANDAREA CONSILIULUI din 8 iunie 2009 privind o acțiune în domeniul bolilor rare (2009/C 151/02)

- Opinia Parlamentului European nr. 2008/0218(CNS) – 08/06/2009

Opinia Comitetului Economic și Social al UE nr. COM(2008) 726

RAPORT AL COMISIEI CĂTRE PARLAMENTUL EUROPEAN, CONSILIU, COMITETUL ECONOMIC ȘI SOCIAL EUROPEAN ȘI COMITETUL REGIUNILOR, Bruxelles, 5.9.2014, COM(2014) 548

1. Cauza C-245/03 Merck, Sharp & Dohme vs Belgia

Curtea de Justiție a Uniunii Europene a statuat că termenul limită -90/180 zile- prevăzut de art. 6 alin. (1) Directivei 89/105/CEE din 21 decembrie 1988 este "un termen obligatoriu pe care autoritățile naționale nu au dreptul de a-l depăși (a mandatory time-limit which the national authorities are not entitled to exceed)."

2. Cauza C-296/03, Glaxosmithkline vs Belgia

Curtea de Justiție a Uniunii Europene a stabilit că acest termen este "un termen obligatoriu pe care autoritățile naționale nu au dreptul de a-l depăși.

3. Cauza C-424/99 Commission vs Austria

Curtea de Justiție a Uniunii Europene a statuat că Austria a încălcat dispozițiile art. 6 alin. (2) din Directiva 89/105/CEE din 21 decembrie 1988 deoarece solicitanții trebuie să aibă dreptul de a se adresa cu o plângere către organe judiciare autentice

a. mecanismul off label

- un medicament fără indicație pe prospect pentru boala X, indicație numită RPC, poate fi administrat în boala X prin asumarea responsabilității administrării lui de către medici sau o comisie de specialitate

- criteriile sunt: alternativa terapeutică cea mai bună, eficiența, cu cea mai înaltă calitate a vieții bolnavului, cel mai bun raport preț/eficiență

C. Legislatia Naționala

1. Muriți sanatosi- HG 720/2008 & OCNAS 85/2013

art 699 reglementeaza situația în care un medicament nu este inclus în lista de medicamente compensate, nu are APP, dar el rezolva o situație grava, critica și urgența de sănătate, atunci el poate obtine Autorizație de nevoi speciale ,pentru a fi accesibil bolnavului CONTRA COST

-cei care nu își permit sa palteasca, sunt nevoiți sa renunte de multe ori la viața

- este situație UNICA în UE

- se reglementeaza intrarea pe lista prin obligativitatea ca producătorul unui medicament sa ceara obtinerea APP, un doasar durează cca 2 ani.

2. OMS 861/2014& OMS 387/2015

- exonereaza de APP medicamentele pentru anumite afectiuni,daca exista recomandarea unei comisii de specialitate

- comisia de mastocitoza a recomandat includerea off label a cromoglicatului, ANMd a respins așa cum a respins RPC ul din 98 de tari, opiniile tuturor marilor specialisti în mastocitoza, a admis risipa a 1.350.000 euro/an, a refuzat să se alinieze directivelor europene

-ANMD a autorizat trialurile clinice

3. OMS 540/2016-o lecție de abuz

Ordinul Ministerului Sănătății privind certificarea Centrelor de Expertiza în Bolile Rare

-criteriile de certificare au fost elaborate de un grup competent de lucru, cu aprobarea omologilor din UE

-EURORDIS a acordat României șansa ca toate centrele acreditate în țară să fie incluse imediat în rețelele europene de profil

- 32 de centre și-au depus candidaturile în acest sens

-medicii desemnați au o competență certificată în UE

- cele 32 de centre au angajat a priori contracte și proiecte de finanțare

În mod absolut incredibil Ministerul sănătății blochează aplicarea ordinului, centrele nu sunt certificate întrucât s-a construit un colectiv de lucru care elaborează noi criterii sub atenta obłudă a unor specialiști internaționali.

- România încălca directiva 24/2011, nu poate argumenta de ce nu sunt certificate, pentru că ordinul de certificare nu e abrogat, Ministerul sănătății, elaborează alte criterii și refuză aplicarea ordinului.

Proiectele de finanțare sunt pierdute, rețele europene nu au primit încă o explicație

- - ONG urile afectate se coalizează în vederea unei acțiuni penale privind abuzul MS

CONCLUZII

Comunicarea Comisiei către Parlamentul European, Consiliu, Comitetul Economic si Social European si Comitetul Regiunilor se arata urmatoarele:

“Comisia propune ca statele membre să se bazeze pe **un demers comun**

pentru abordarea bolilor rare, întemeiat pe cele mai bune practici existente, prin adoptarea unei recomandări a Consiliului. Propunerea Comisie de recomandare a Consiliului care însoțește prezenta comunicare invită statele membre să instituie **strategii concentrate asupra următoarelor elemente**:

- instituirea unor **planuri de acțiune naționale și intersectoriale privind bolile rare**;
- asigurarea unor mecanisme adecvate pentru **definirea, codificarea și inventarierea bolilor rare**, precum și producerea de orientări de bună practică în scopul de a realiza un cadru pentru recunoașterea bolilor rare și schimbul de cunoștințe și expertiză;
- încurajarea cercetării privind bolile rare, inclusiv cooperarea și colaborarea transfrontaliere pentru maximizarea potențialului de resurse științifice în UE;
- **asigurarea accesului la asistență medicală de înaltă calitate, în special prin identificarea de centre de expertiză naționale și regionale și prin încurajarea participării acestora la rețelele de referință europene**;
- asigurarea unor mecanisme care să reunească expertiza națională în domeniul bolilor rare și să o regrupeze cu cea a altor țări europene;
- adoptarea de măsuri pentru a asigura responsabilizarea și implicarea pacienților și asociațiilor de pacienți;
- precum și asigurarea faptului că aceste acțiuni cuprind dispoziții corespunzătoare pentru garantarea durabilității lor în timp”