

ASOCIATIA SUPORT MASTOCITOZA ROMANIA
ACCESUL LA CROMOGLICAT ÎN MASTOCITOZA



CUPRINS

A. Mastocitoza

1. Definitie și clasificare

2. Criterii de diagnostic

3. Mastocitoza în UE

B. Legislație 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. Legislația Națională

1. HG 720/2008 & OCNAS 85/2013

2. OMS 861/2014 & OMS 387/2015

D Concluzii

A. MASTOCITOZA

Definitie și clasificare

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

CLASIFICAREA OMS A MASTOCITIZELOR:

1. Mastocitoza cutanată (CM):

Urticaria pigmentosa (UP)

Mastocitoza cutanată difuză (DCM)

Mastocitom cutanat solitar.

2. Mastocitoza sistemică indolentă (cu leziune cutanată) (ISM) – îndeplinește criteriile de SM, fără semne C, fără semne de boală clonală hematopoietică non-mastocitară asociată. Cuprinde următoarele entități provizorii:

Smoldering SM – ISM cu 2 sau mai multe semne B, și fără semne C

3. Mastocitoza izolată în măduva osoasă – ISM cu afectarea măduvei osoase, dar fără afectare cutanată.

5. **Mastocitoza sistemică agresivă (ASM)** – îndeplinește criteriile pentru SM. Prezintă unul sau mai multe semne C. Fără semne de leucemie cu mastocite.

Mastocitoza limfadenopatică cu eozinofilie

Leucemia cu mastocite (MCL) – îndeplinește criteriile de SM, biopsia osteomedulară descrie infiltrare difuză, de regulă compactă, cu mastocite imature atipice. Aspiratul medular descrie $\geq 20\%$ mastocite. În MCL tipică există mastocite $\geq 10\%$ în sângele periferic. Varianta rară: MCL aleucemică.

Sarcomul cu mastocite (MCS). Tumoră mastocitară unifocală. Fără semne de SM. Aspect de proliferare distructivă. Citologie cu grad înalt

2. CRITERII DE DIAGNOSTIC

Criteriul major de diagnostic pentru mastocitoza sistemică:

Infiltrate multifocale dense de mastocite în măduva osoasă și/sau în alte organe extracutanate (> 15 mastocite în agregat).

Criteriile minore de diagnostic pentru mastocitoza sistemică:

Mastocite cu anomalii morfologice în măduva osoasă sau în alte organe extracutanate (> 25%);

Mutații activatoare ale c-kit la nivelul mastocitelor

- 3. Mastocitoza în 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) Membra a EURORDIS, The Mastocytosis Society: donatii de 22000 de euro în cromoglicat de sodiu,250 de cutii de crema cu cromoglicat, membra în grupuri guvernamentale de elaborare a criteriilor de incadrare în grad de handicap, membra a organismelor internaționale, negociator cu autoritățile, are drept de autor și a distribuit Protocolul internațional de Urgența în Mastocitoza, Brosura pentru pacienți și aparținători, carnetul internațional de mastocitoza, brățara medicala de urgența, contracte de colaborare cu spitalele.

B.Legislatie UE în Bolile Rare

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

- ONU a infiintat 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 =eficienta= calitatea vietii

-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 exceptionala cu încă 90 de zile.

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

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

b. Prețul ne omoară

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

Interventia statului în prețul medicamentelor, prin APP, limiteaza 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 expertiza în domeniul bolilor rare
- Centrele de expertiza din UE alcatuiesc o rețea specifică fiecărei boli rare
- Centrele de expertiza sunt indemnate să coopereze în vederea găsirii 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. Reteaua Transfrontaliera

- Presupune cooperarea specialistilor 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

. Legislația Națională

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

art 699 reglementează situația în care un medicament nu este inclus în lista de medicamente compensate, nu are APP, dar el rezolvă o situație gravă, critică și urgentă de sănătate, atunci el poate obține Autorizație de nevoi speciale ,pentru a fi accesibil bolnavului CONTRA COST

-cei care nu își permit să plătească, sunt nevoiți să renunțe de multe ori la viața

- este situație UNICA în UE

- se reglementează intrarea pe lista prin obligativitatea ca producătorul unui medicament să ceară obținerea APP, un dosar durează cca 2 ani.

2. OMS 861/2014 & OMS 387/2015

- exonerează de APP medicamentele pentru anumite afecțiuni, dacă există recomandarea unei comisii de specialitate

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

-ANMD a autorizat trialurile clinice

CONCLUZII

Comunicarea Comisiei către Parlamentul European, Consiliu, Comitetul Economic și Social European și Comitetul Regiunilor se arată următoarele:

“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 Comisiei 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 regroupeze 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”