

A ritka betegségek kezelésére szolgáló árva gyógyszerek finanszírozása

Dr. Szegedi Márta

Országos Egészségbiztosítási Pénztár

Ártámogatási Főosztály

**18. Mukopoliszaccharidózis és társult betegségek
konferencia**

Gödöllő, 2012. szeptember 15.

- I. A ritka (árva) gyógyszerek meghatározása, jellemzői
- II. Az árva gyógyszerek finanszírozásának forrása – Az Egészségbiztosítási Alap és divíziói 2011-ben
- III. Az árva gyógyszerek finanszírozásának módjai
A ritka betegséggel élők gyógyszerellátása Magyarországon
 - Jelenleg elérhető árva gyógyszerek
 - Támogatási kategóriák
 - Rendhagyó finanszírozási mód - Egyedi méltányosság
 - Felvetődő problémák
 - Törekvések
- IV. Hunter szindróma (Mukopoliszaccharidózis II.)
 - Terápia: Elaprase
 - Kezelés eredményei
 - Támogatási összegek
- V. Mukopoliszaccharidózis I.
 - Terápia: Aldurazyme
 - Kezelésben részesülő betegek és állapotuk
 - Támogatási összegek
- VI. Költségvonzatok
 - Egyedi Méltányosság keretében a legmagasabb árú enzimpótló készítmények 2011 – ben
 - A gyógyszerkasszából egyes terápiás területek évenkénti átlagos finanszírozása egy betegre vonatkoztatva
- VII. Konklúzió
 - Nemzetközi vonatkozások
 - Összegzés - Prognózis



Ritka betegségek kezelésére szolgáló ún. árva gyógyszerek meghatározása

- A **Ritka betegség** meghatározása az Európai Bizottság szerint: az előfordulási gyakoriság (prevalencia) nem több, mint 5 eset/10.000 lakos.
- Kezelésükre szolgáló gyógyszerkészítmények az ún. **árva gyógyszerek** (ÁGy-ek) („orphan drug”-ok, OD-ok)
- Megkülönböztetett az ún. „ultra-orphan drug” kategória: az 1/50.000 főnél kisebb prevalenciájú, rendkívül ritka betegségek terápiás lehetőségét képező készítmények, mint pl.:

Mukopoliszaccharidózis kórképek és kezelésük

Enzimpótló terápián alapul - olyan enzimatiszus aktivitás helyreállítása, amely elegendő a felhalmozódott köztestermék lebontásához és a további felhalmozódás megakadályozásához



Ritka betegségek kezelésére szolgáló ún. árva gyógyszerek jellemzői

- Más innovatív gyógyszerekhez képest eltérő feltételekkel (klinikai vizsgálatokban érthetően kevesebb betegszám, stb.), gyakran kevésbé erős bizonyítékokkal, evidenciákkal igazoltan kerülnek törzskönyvezésre ill. támogatás-befogadásra
- *Költségvonzatuk általánosságban nagyságrendekkel meghaladja egyéb betegségek terápiájára szolgáló készítményekét:
Egy főre jutó terápiás költség (a terápia aktuális hosszára, ill. egy évre vonatkozóan) széles intervallumban szóródik:
2-165 millió Ft/fő*



Az árva gyógyszerek finanszírozásának forrása: Az Egészségbiztosítási Alap

- A magyar társadalombiztosítási támogatásrendszer egyik divíziója
- Magyarország éves költségvetéséről szóló törvényben meghatározott költségvetési kerettel bír
- Létrehozó, meghatározó szervek: az egészségügyért (Emberi Erőforrások Minisztériuma - EMMI), valamint az államháztartásért és költségvetési politikaért felelős minisztérium (Nemzetgazdasági Minisztérium - NGM)
- Gazdálkodó, végrehajtó központi szervezet:
Országos Egészségbiztosítási Pénztár (OEP)
 - finanszírozó kormányzati szervként jogszabályok alapján az ártámogatás indokoltságát hivatott megvizsgálni
 - ellenőrző, monitorozó tevékenység

Az Egészségbiztosítási Alap 2011-ben

Emberi Erőforrások Minisztériuma

Nemzetgazdasági Minisztérium

meghatározó, befolyásoló szerep

Egészségbiztosítási Alap összege

Összesen:

~ 1 461 milliárd Ft

Egyéb tételek

Otthoni szakápolás ~4 mrd Ft

Gondozóintézeti gondozás ~5 mrd Ft

Betegszállítás ~6 mrd Ft

Laboratóriumi ellátás ~21 mrd Ft

Művesekezelés ~23 mrd Ft

Fogászati ellátás ~23 mrd Ft

Mentés ~ 25 mrd Ft

Alapellátás ~99 mrd Ft

(Háziorvosi ellátás: Védőnő, anva- , gyermek- és ifjúságvédelem

Összevont (járó-, fekvőbeteg) szakellátás ~561 mrd Ft

„Finanszírozás”

~770 milliárd Ft

általá finanszírozott „tételek”:

Gyógyászati ellátás
(Gyógyfürdő) ~4 mrd Ft

Egyedi méltányosság ~6 mrd Ft

Közbeszerzés ~10 mrd Ft

/”Különkeretes készítmények”/

Gyógyászati segédeszközök ~45 mrd Ft

Gyógyszer ~344 mrd Ft

„Ártámogatás” ~410 milliárd Ft

~2x >



Az árva gyógyszerek finanszírozásának módjai

A ritka betegséggel élők gyógyszerellátása

Magyarországon

- Magyarországon hozzávetőlegesen **14 árva gyógyszer** különböző hatáserőssége és kisserelése részesült társadalombiztosítási támogatásban 2011-ben
- Több, mint **23 orphan termék** támogatott
- **A készítmények legnagyobb része teljes mértékben (100%) támogatott:**
 - Intézményi felhasználás keretében
 - Kiemelt, indikációhoz kötött támogatási kategóriában vény alapon: az indikációs területekre és a felírásra jogosultak körére vonatkozó előírásokat az illetékes szakterület képviselőinek hivatalos állásfoglalása alapján az ún. indikációs pontok fogalmazzák meg miniszteri rendeletben
 - Nagyobb részük eddigiekben egy rendhagyó támogatási mód - egyedi méltányosság - keretében lehet támogatott

- **Az egyedi méltányosság**
 - *Nem a társadalombiztosítási támogatási rendszer egy eleme;* mint például fekvőbeteg-ellátás keretében vagy járóbetegek számára finanszírozott támogatási kategóriák, hanem egy különálló, 'rendhagyó' támogatási mód
 - Bürokratikus eljárásrend: kérelmezés, döntéshozatal, monitorozás és ellenőrzés merev jogszabályi feltételrendszer alapján történik, orvos-szakmai szempontok érvényesülése nehézkes
- Számos gyógyszerkészítmény – többek között a nagy értékű enzimpótló gyógyszerek –, kórházban kerülnek felhasználásra, azonban járóbeteg ellátás keretében finanszírozódnak vény alapon
 - Közforgalmazásból adódó kockázat
 - Finanszírozási adatok nemzetközi összehasonlításának torzítása

- Megfelelő finanszírozási keret kialakítása:

A finanszírozás ott történjen, ahol a felhasználás → *Korrekt elszámolás, átláthatóság, tervezhetőség*

- Eljárások egyszerűsítése:

A kezelt betegek adatainak kezelőorvos által történő rögzítése → követhető a kórtörténet, a betegség lefolyása; rögzíthetőek az esetleges mellékhatások és társbetegségek

Adminisztratív terhek redukálása, egyszerűsítés, hogy a nagy értékű készítmények a betegek számára gyorsabban elérhetővé váljanak

➤ *Nemzetközi példa alapján betegregiszter létrehozása: a betegekre vonatkozó egészségügyi adatok szisztematikus gyűjtése, rendszerezése*

- Hazai és nemzetközi orvos-szakmai irányelvek alapján nemzetközi példára finanszírozási konstrukciók kialakítása → *A legmagasabb színvonalú terápia biztosítása*

Hunter-szindróma

Mukopoliszacharidózis II.(MPS-II.)

- Genetikai betegség, melyet enzimhiány vagy elégtelen működés okoz, melynek feladata a köztestermék /glikozaminoglikánok (GAG)/ lebontása
- A köztestermék fokozatosan felhalmozódik a sejtekben, ami szervmagnagyobbodáshoz, szöveti károsodáshoz és a szervrendszerek működési zavarához vezet
- Előfordulási gyakoriság (prevalencia):
1 : 140 000-156 000 élve születésre
- Magyarországon átlagosan 3 év alatt 2 új beteg születésére lehet számítani statisztikailag
- Jelenleg 7 beteget kezelnek hazánkban

Hunter-szindróma kezelése: Elaprase

Elaprase - Európai Gyógyszerügynökség (European Medicines Agency - EMA) értékelési beszámolója:

- Indikáció: Hunter-kór (Mucopolysaccharidosis II, MPS-II) hosszú távú kezelése
- Ún. *„kivételes forgalomba hozatali engedéllyel”* rendelkezik: *alkalmazására vonatkozóan – a betegség ritka előfordulása miatt – nem áll rendelkezésre teljes körű információ.* Az Európai Gyógyszerügynökség minden rendelkezésre bocsátott új információt évente felülvizsgál, és szükség esetén módosítja az alkalmazási előírást.
- *A betegség idegrendszeri megnyilvánulási formájának javulására nincs klinikai adat!*
A hatóanyag átjutása a vér-agy gáton nem bizonyított!



Elaprased kezelés eredményei I.

(Megjegyzés: **javuló paraméterek**, **romló paraméterek**)

Beteg neve	1. Beteg		2. Beteg		3. Beteg	
Életkor	11 éves		10 éves		19 éves	
Terápia kezdete	2007. júl.		2008. febr.		2008. márc.	
	Terápia előtt	Jelenleg	Terápia előtt	Jelenleg	Terápia előtt	Jelenleg
Fizikai fejlődés	norm.	elmaradt	norm.	elmaradt	norm.	nincs adat
Kardiológiai státusz	enyhe eltérések	kissé romlott, közepes fokú eltérések	kórjelző nincs	középsúlyos eltérések	szív nagyobb	jelenleg normális
Máj nagysága	nagyobb	norm.	jelentősen nagyobb	mérsékelt megnagyobbodás	norm.	norm.
Lép nagysága	nagyobb	norm.	nagyobb	norm.	nagyobb	norm.
Vizelet GAG ürítés	emelkedett	norm.	emelkedett	min. emelkedett	emelkedett	norm.
Járástávolság	218 m	nem kivitelezhető	280 m	258 m	nem lehetséges	segítséggel pár lépést tesz
Mozgásszervi státusz	izületi mozgások beszűkültek	járásképtelen	izületi mozgások beszűkültek	nehézkedő járás, mobilizáláshoz babakocsival való ellátás	súlyos mozgásképtelen	javult
Idegrendzseri érintettség	Értelmi fejlődés elmaradt. Agnyomásfokozódás miatt műtét. Képzelt vizsgálat alapján: továbbra is agnyomásfokozódásra utaló jelek. Figyelme egyre rövidebb ideig tartható fenn.		Hyperaktivitás, agresszió jelentkezett. Incontinentia.		Epilepszia. Értelmi és mozgásszervi fejlődés elmaradt. Incontinentia.	
Hallásvizsgálat	hallássérült	progresszió	jól hall	kétoldali hallásvesztés	nagyot hall	nincs adat
Életminőség értékelése	Első két évben javuló, majd romló. Fizikai fejlődése nem kielégítő. Étvágytalan, táplálás nehézkes.		A kezelés mellett fizikai teljesítőképessége fokozatosan nőtt, kooperációja eleinte sokat javult, az utóbbi évben állapota stagnált.		rossz	jelentős javulás
Megjegyzés	OSAS sy (obstruktív alvási apnoe sy.)		Légcsőszűkület miatt kanülbeültetés, éjszaka oxigénhasználatra szorul. Korábban gyakori légúti fertőzések, lázas állapotok átmenetileg ritkultak, majd ismét gyakoribbak - tüdőgyulladás előfordult.		Enzimpótló terápiát megelőzően csontvelő transzplantáció történt.	



Elaprased kezelés eredményei II.

(Megjegyzés: **javuló paraméterek**, **romló paraméterek**)

Beteg neve	4. Beteg		5. Beteg	
Életkor	8 éves		4 éves	
Terápia kezdete	2010. jún.		2011. máj.	
	Terápia előtt	Jelenleg	Terápia előtt	Jelenleg
Fizikai fejlődés	norm.	norm.	norm.	norm.
Kardiológiai státusz	dominánsan enyhe eltérések	romlott, újonnan megjelent ill. közepesúlyos eltérések	dominánsan enyhe eltérések	
Máj nagysága	nagyobb	enyhén javult	nagyobb	enyhén javult
Lép nagysága	norm.	norm.	nagyobb	norm.
Vizelet GAG ürítés	emelkedett	norm.	emelkedett	nincs adat
6 perces járástávolság	228 m	javult	nem kivitelezhető	280 m
Mozgásszervi státusz	izületi mozgások beszűkültek	javult	min. eltérés az ízületekben	változatlan
Idegrendzseri érintettség	értelmi fejlődés elmaradt		pszichomotoros fejlettsége korához képest elmaradt	
Szemészet	nincs kórjelző	látásromlás - szemüveg felírása	nincs	nincs
Hallásvizsgálat	ép hallás	hallókészüléket kapott	csökkent hallás, hallókészülék	változatlan
Életminőség értékelése	Terápia megkezdésekor javult, jelenleg stagnál.		Fizikai fejlődése norm. Általános állapot stagnál.	
Megjegyzés	Korábban gyakori középfül-, és arcüreg gyulladásai megszűntek, légúti infekciók csökkenő tendenciát mutatnak.		Társbetegségek: immunbetegségek (B-sejtes immunhiány, komplement deficiencia, antitesthiány - IVIG th.) Korábban gyakori középfül-, és arcüreg gyulladásai ritkábbak. Alvási apnoe, alváshoz légszinterápia. Asthma bronchiale.	



Elaprased kezelés eredményei III.

(Megjegyzés: **javuló paraméterek**, **romló paraméterek**)

Beteg neve	6. Beteg		7. Beteg	
Életkor	7 éves		7 éves	
Terápia kezdete	2011. máj.		2011. máj.	
	Terápia előtt	Jelenleg	Terápia előtt	Jelenleg
Fizikai fejlődés	norm.	nincs adat	enyhe eltérés	nincs adat
Kardiológiai státusz	dominánsan enyhe eltérések	javulás	enyhe eltérés	javulás
Máj nagysága	nagyobb	változatlan	nagyobb	mérséklődött
Lép nagysága	mérsékelten nagyobb	norm.	norm.	norm.
Vizelet GAG ürítés	emelkedett	nincs adat	emelkedett	nincs adat
Járástávolság	norm.	norm.	419 m	javulás
Mozgásszervi státusz	mozgásszervi panasz nincs		csípőízületi deformitások	javulás
Idegrendzseri érintettség	Fizikális vizsgálatok alapján érdemben kóros nem észlelhető.		Képalkotó és fizikális vizsg.-ok alapján kóros nem észlelhető.	
Szemészet	negatív	negatív	negatív	negatív
Hallásvizsgálat	normális	enyhe halláscsökkenés	normális	enyhe halláscsökkenés
Életminőség értékelése	Változatlanul jó. Általános állapot stagnál.		jó	jó
Megjegyzés	Értelmi fejlődés életkori átlagnak megfelelő. Szakorvosi vizsg.-ok: romlás nincs. Hasi UH és kardiológiai lelet a köztestermék felhalmozódásának csökkenését jelzi.		Szakorvosi vizsg.-ok: romlás nincs. Mozgásszervi státuszában javulás. Mérséklődött májmegnagyobbodás: köztestermék felhalmozódása javulást mutat.	

Elaprased támogatási összegek

ÉV	BETEG (ÉLETKOR)	KÉSZÍTMÉNY	TB TAMOGATÁS	ÉVES TB TAMOGATÁS
2008	3. Beteg (19 éves)	ELAPRASE	50 410 608 Ft	159 057 176 Ft
	1. Beteg (11 éves)	ELAPRASE	61 232 688 Ft	
	2. Beteg (10 éves)	ELAPRASE	47 413 880 Ft	
2009	3. Beteg (19 éves)	ELAPRASE	135 580 588 Ft	317 067 664 Ft
	1. Beteg (11 éves)	ELAPRASE	96 410 508 Ft	
	2. Beteg (10 éves)	ELAPRASE	85 076 568 Ft	
2010	3. Beteg (19 éves)	ELAPRASE	121 504 324 Ft	410 042 179 Ft
	1. Beteg (11 éves)	ELAPRASE	125 822 523 Ft	
	2. Beteg (10 éves)	ELAPRASE	101 956 652 Ft	
	4. Beteg (8 éves)	ELAPRASE	60 758 680 Ft	
2011	3. Beteg (19 éves)	ELAPRASE	165 251 052 Ft	502 704 952 Ft
	1. Beteg (11 éves)	ELAPRASE	68 931 174 Ft	
	2. Beteg (10 éves)	ELAPRASE	55 675 179 Ft	
	4. Beteg (8 éves)	ELAPRASE	77 636 398 Ft	
	6. Beteg (7 éves)	ELAPRASE	55 675 179 Ft	
	7. Beteg (7 éves)	ELAPRASE	37 116 786 Ft	
	5. Beteg (4 éves)	ELAPRASE	42 419 184 Ft	
2012	3. Beteg (19 éves)	ELAPRASE	40 665 518 Ft	140 527 347 Ft
	1. Beteg (11 éves)	ELAPRASE	17 674 660 Ft	
	2. Beteg (10 éves)	ELAPRASE	17 674 660 Ft	
	4. Beteg (8 éves)	ELAPRASE	17 674 660 Ft	
	6. Beteg (7 éves)	ELAPRASE	17 674 660 Ft	
	7. Beteg (7 éves)	ELAPRASE	12 372 262 Ft	
	5. Beteg (4 éves)	ELAPRASE	16 790 927 Ft	
				1 529 399 318 Ft

3. Beteg (19 éves)	513 412 090 Ft	2008-2012
1. Beteg (11 éves)	370 071 553 Ft	2008-2012
2. Beteg (10 éves)	307 796 939 Ft	2008-2012
	1 191 280 582 Ft	

Mukopoliszacharidózis I. (MPS-I.)

* **Legsúlyosabb forma**

Hurler-kór

- Korai jelek és tünetek csecsemő korban
- Fejlődésben elmaradás, súlyos értelmi fogyatékoság

Átmeneti forma

Hurler-Scheie szindróma

- Tünetek kezdete gyermekkorban
- Nincs vagy minimális értelmi fogyatékoság

Enyhe forma

Scheie-kór

- Tünetek kezdete serdülő v. fiatal felnőtt korban
- Normális intelligencia

- **Előfordulási gyakoriság (prevalencia): 0,025/10 000 főre becsült**
- **1 eset 100 000 élve születésre**
- **Hazánkban kb. 500 000 lakosra jut egy beteg, vagyis számítások szerint kb. 20 beteg élhet**
- **Tapasztalatok alapján: évi maximum 2-4 új eset**

*Forrás: Neufeld E, Muenzer J. The mucopolysaccharidoses. In: Scriver CR, Beaudet AL, Sly WS, Valle D, Childs B, Kinzler KW, Vogelstein B, eds. *The Metabolic and Molecular Basis of Inherited Disease*. 8 ed. New York. NY: McGraw-Hill; 2001:3421-52.



Mukopoliszacharidózis I. (MPS-I.) kezelése: Aldurazyme

Aldurazyme - Európai Gyógyszerügynökség értékelési beszámolója:

- **Indikáció:** Tartós enzimpótló kezelésre javasolt a bizonyítottan diagnosztizált mucopolysaccharidosis I. (MPS-I.) *nem neurológiai* megnyilvánulásának kezelésére
- *A betegség idegrendszeri megnyilvánulási formájának bármiféle javulására utaló klinikai adatok jelenleg nem állnak rendelkezésre!*
- *„Kivételes forgalomba hozatali engedéllyel” rendelkezik!*

A magyarországi támogatott kezelések 2005-ben kezdődtek

Jelenleg 5 diagnosztizált MPS I. beteg ismert hazánkban

Enzimpótló kezelést nem igényel:

- 2 transzplantált gondozott, rendszeresen kontrollált beteg
- 1 Hurler-beteg enzimpótló kezelésének megállítása orvos és szülő közös döntése alapján történt 6 hónapig tartó támogatott kezelés után



Támogatott Aldurazyme kezelésben részesülő betegek Magyarországon 2012-ben

1. Beteg (24 éves) /Hurler-Scheie sy./:

- 2005-től rendszeres enzimpótló kezelés
- *Új tünet nem jelent meg*
- *Szakorvosi ellenőrző vizsgálatok állapotában romlást nem mutatnak*
- Jelenleg középiskolában tanul

2. Beteg (52 éves) /Scheie sy/: 2006-tól enzimpótló kezelés

- Szívbillentyű-műtét történt, kardiológiai állapotában *romlás nincs*
- Két szemészeti műtét
- Egyebekben *szakorvosi ellenőrző vizsgálatok romlást nem mutatnak*
- Mozgása jelentősen javult
- *Enzimpótló kezelés mellett állapota stabilan egyensúlyban van*

Aldurazyme támogatási összegek

ÉV	BETEG (ÉLETKOR)	KÉSZÍTMÉNY	TB TAMOGATÁS	ÉVES TB TAMOGATÁS
2007	1. Beteg (24 éves)	ALDURAZYME	47 774 208 Ft	99 833 680 Ft
	3. Beteg (16 éves)	ALDURAZYME	26 126 520 Ft	
	4. Beteg (14 éves)	ALDURAZYME	25 932 952 Ft	
2008	2. Beteg (52 éves)	ALDURAZYME	74 631 200 Ft	158 043 096 Ft
	1. Beteg (24 éves)	ALDURAZYME	59 717 760 Ft	
	4. Beteg (14 éves)	ALDURAZYME	23 694 136 Ft	
2009	2. Beteg (52 éves)	ALDURAZYME	88 803 208 Ft	208 229 128 Ft
	1. Beteg (24 éves)	ALDURAZYME	83 604 864 Ft	
	4. Beteg (14 éves)	ALDURAZYME	35 821 056 Ft	
2010	2. Beteg (52 éves)	ALDURAZYME	73 876 968 Ft	154 835 280 Ft
	1. Beteg (24 éves)	ALDURAZYME	41 802 432 Ft	
	4. Beteg (14 éves)	ALDURAZYME	32 462 832 Ft	
	5. Beteg (3 éves)	ALDURAZYME	6 693 048 Ft	
2011	2. Beteg (52 éves)	ALDURAZYME	80 593 056 Ft	223 884 480 Ft
	1. Beteg (24 éves)	ALDURAZYME	85 097 808 Ft	
	4. Beteg (14 éves)	ALDURAZYME	53 731 584 Ft	
	5. Beteg (3 éves)	ALDURAZYME	4 462 032 Ft	
2012	2. Beteg (52 éves)	ALDURAZYME	26 864 352 Ft	44 779 680 Ft
	1. Beteg (24 éves)	ALDURAZYME	17 915 328 Ft	
				889 605 344 Ft

1. Beteg (24 éves)	335 912 400 Ft	2007-2012
2. Beteg (52 éves)	344 768 784 Ft	2008-2012



Egyedi Méltányosság keretében a legmagasabb árú enzimpótló készítmények 2011 – ben

Készítmény	Betegség	Egyedi támogatás Ft/fő/év	Beteg-szám	Éves TB támogatás összesen
ELAPRASE 2 MG/ML KONCENTRÁTUM OLDATOS INFÚZIÓHOZ	Hunter-kór (Mukopoliszachari-dózis II.)	165 251 052 Ft	7	502 704 952 Ft
MYOZYME 50 MG POR OLDATOS INFÚZIÓHOZ VALÓ KONCENTRÁTUMHOZ	Pompe-kór	153 968 976 Ft	9	977 278 613 Ft
ALDURAZYME 100 E/ML KONCENTRÁTUM OLDATOS INFÚZIÓHOZ	Mukopoliszachari-dózis I.	85 097 808Ft	4	223 884 480 Ft
CEREZYME 400E, VPRIV 400E POR OLDATOS INFÚZIÓHOZ	Gaucher-kór	135 710 432 Ft, 75 909 792 Ft	24	1 701 460 920 Ft



A gyógyszerkasszából egyes terápiás területek évenkénti átlagos finanszírozása egy betegre vonatkoztatva

Terápiás terület	Legolcsóbb terápia (Ft/fő/év)	Legköltségesebb terápia (Ft/fő/év)	Átlagos támogatás (Ft/fő/év)
Szív-, érrendszeri betegségek	~2 000	~80 000	~11 000
(Haemato-,) Onkológia /Egyedi támogatások kivételével/	~5 000	~5 000 000	~600 000
Krónikus obstruktív tüdőbetegségek (COPD)	~4 000	~2 000 000	~29 000
Diabétesz	~3 000	~99 000	~25 000

Uniós politikai irányelvek az árva gyógyszerek vonatkozásában:

- EUROPLAN keretében Nemzeti Terv létrehozása
- “Clinical Added Value of Orphan Medicinal Products” (CAVOMP)
 - A többszereplős projekt - EUCERD, EMA munkacsoport, technológia-értékelési, egészségbiztosítói képviselők
 - Kielégítetlen terápiás igény feltérképezése
 - Konklúzió: *egységes EU-szintű értékelési folyamat kialakítása, a rendkívül magas költségigényű (ultra) orphan drug-ok hozzáadott terápiás értékének objektivizálása*
- Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products (MoCA)
 - Uniós szinten meghatározásra kerülnek az árva gyógyszerek törzskönyvezési, értékelési eljárása és kritérium-rendszere
 - *Uniós szintű kockázatvállalás kezdeményezése*: Egy megfelelt OD-ra vonatkozó árazási mátrix kialakítása: a hozzáadott terápiás érték ismeretében valamennyi tagállam egészségbiztosítóinak teherviselési képessége tükrében jelölhetők ki az árak

Árva Gyógyszerek Összegzés - Prognózis

- *Rendkívül magas költségvonzat: 2-165 millió Ft/fő/év*
Elaprased és Aldurazyme TB támogatás 2011-ben össz.: 726.589.432,- Ft
- *Kevésbé erős evidenciákkal igazoltan kerülnek törzskönyvezésre ill. támogatás-befogadásra → Folyamatos monitorozás*
- *Finanszírozásuk racionalizálása érdekében vezérelvek:*
 - *Átláthatóság, egyszerűsítés → Azon betegek, akik számára indikált a terápia, mihamarabb hozzájuthassanak a kezeléshez*
 - *A legmagasabb színvonalú terápia biztosítása → Hazai és nemzetközi szakmai irányelvek alapján finanszírozási konstrukciók kialakítása: A terápia kezdete, folytatása, leállítása orvos-szakmailag meghatározott, konkrét kritériumrendszer alapján.*
Minden egyes esetben testületi döntéshozatal: orvos-szakmai, finanszírozói, betegszervezetek képviselői által.
- *Nemzetközi projekteken aktív részvétel és tapasztalatszerzés*

- 9/1993. (IV. 2.) NM rendelet az egészségügyi szakellátás társadalombiztosítási finanszírozásának egyes kérdéseiről
- 1997. évi CLIV. törvény az egészségügyről
- 1997. évi LXXXIII. törvény a kötelező egészségbiztosítás ellátásairól a végrehajtásáról szóló 217/1997. (XII. 1.) Korm. rendelettel egységes szerkezetben
- 1997. évi XLVII. törvény az egészségügyi és a hozzájuk kapcsolódó személyes adatok kezeléséről és védelméről
- 51/1997. (XII. 18.) NM rendelet a kötelező egészségbiztosítás keretében igénybe vehető betegségek megelőzését és korai felismerését szolgáló egészségügyi szolgáltatásokról és a szűrővizsgálatok igazolásáról
- 6/1998. (III. 11.) NM rendelet az egészségügyi ellátásban használt szakmai kódrendszerek és finanszírozási paraméterek karbantartásának jogi szabályozásáról
- 43/1999. (III. 3.) Korm. rendelet az egészségügyi szolgáltatások Egészségbiztosítási Alapból történő finanszírozásának részletes szabályairól
- 60/2003. (X. 20.) ESZCSM rendelet az egészségügyi szolgáltatások nyújtásához szükséges szakmai minimumfeltételekről
- 2004. évi CXL. számú törvény a közigazgatási hatósági eljárás és szolgáltatás általános szabályairól
- 2/2004. (XI. 17.) EüM rendelet az egészségügyi szolgáltatók és működési engedélyük nyilvántartásáról, valamint az egészségügyi szakmai jegyzékről
- 32/2004. (IV. 26.) ESZCSM rendelet a törzskönyvezett gyógyszerek és a különleges táplálkozási igényt kielégítő tápszerek társadalombiztosítási támogatásba való befogadásának szempontjairól és a befogadás vagy a támogatás megváltoztatásáról
- 44/2004. (IV.28.) ESzCsM rendelet az emberi felhasználásra kerülő gyógyszerek rendelkezéséről és kiadásáról
- 2005. évi XCV. törvény azz emberi alkalmazásra kerülő gyógyszerekről és egyéb, a gyógyszerpiacot szabályozó törvények módosításáról
- 2006. évi CXXXII. Törvény az egészségügyi ellátórendszer fejlesztéséről
- 2006. évi XCVIII. Törvény a biztonságos és gazdaságos gyógyszer- és gyógyászati segédeszköz-ellátás, valamint gyógyszerforgalmazás általános szabályairól
- 14/2007. (III.14.) EüM rendelet a gyógyászati segédeszközök társadalombiztosítási támogatásba történő befogadásáról, támogatással történő rendelkezéséről, forgalmazásáról, javításáról, kölcsönzéséről
- Az Országos Egészségbiztosítási Pénztár főigazgatójának 28/2008 (Eb.K.10) sz. OEP utasítása a gyógyszerek, gyógyászati segédeszközök és gyógyászati ellátások járóbeteg ellátás keretében nyújtott méltányossági alapú ártámogatásáról és a méltányosságból igénybe vehető egészségügyi szolgáltatásokról
- 337/2008. (XII. 30.) Korm. rendelet az egészségügyi ellátórendszer fejlesztéséről szóló 2006. évi CXXXII. törvény végrehajtásáról
- 2/2010. (I. 27.) EüM tájékoztató a 32/2004. (IV. 26.) ESzCsM rendelet 2–3. számú mellékletének indikációs pontjaiban feltüntetett kijelölt intézmények, illetve szakorvosok listájáról
- 180/2010. (V. 13.) Korm. rendelet az egészségügyi technológiák egészségbiztosítási finanszírozásba történő befogadásának alapelveiről, feltételrendszeréről és részletes szabályairól, valamint a már befogadott technológiák körének felülvizsgálatáról és módosításáról
- 319/2010 (XII. 27.) Korm. rendelet az egészségbiztosítási szervekről

Köszönöm a megtisztelő figyelmet!