

Hangsúlyeltolódások a hazai gyógyszerek finanszírozásában

A ritka betegségek kezelésére szolgáló árva gyógyszerek támogatása. Enzimpótló kezelések finanszírozása hazánkban

Szegedi Márta dr.¹ ■ Molnár Mária Judit dr.²
Boncz Imre dr.³ ■ Kosztolányi György dr.⁴

¹Emberi Erőforrások Minisztériuma, Egészségügyért Felelős Államtitkárság, Budapest

²Semmelweis Egyetem, Általános Orvostudományi Kar, Genomikai Medicina és Ritka Betegségek Intézete, Budapest

³Pécsi Tudományegyetem, Egészségtudományi Kar, Egészségbiztosítási Intézet, Pécs

⁴Pécsi Tudományegyetem, Általános Orvostudományi Kar, Orvosi Genetikai Intézet, Pécs

A szerzők a ritka betegségben szenvedők érdekeit szem előtt tartva a gyógyszerár-támogatás és ezáltal a gyógyszerfelhasználás racionalizálása, átláthatóbbá, tervezhetőbbé tétele céljából elemezték az árva gyógyszerek finanszírozására vonatkozó 2012. évi hazai egészségbiztosítói adatokat. A legtöbb árva gyógyszer 2012-ben egyedi méltányosság keretében lehetett finanszírozott kezelés, amely támogatási lehetőség kapcsán számos, meglehetősen súlyos probléma adódott, különös tekintettel a nagy értékű enzimpótló kezelésekre. A rendkívül nagy költségvonzattal bíró árva gyógyszerek finanszírozásának átalakítása Magyarországon sürgetővé vált. A megállapítások alapján a szerzők javaslatot fogalmaznak meg az egészségügyi ellátás szakmai, gazdasági és etikai szempontból sajátos területe, a nemzetközileg egyre nagyobb figyelemmel kísért ritka betegségek érintettjeinek gyógyszerellátására. Elsődleges cél, hogy az enzimpótló orphan gyógyszerek hozzáférését megfelelő támogatási formában lehessen biztosítani azon ritka betegségben szenvedőknek, akik számára kielégítetlen terápiás szükségletet jelent az adott kezelés. A szerzők hangsúlyozzák, hogy ebben a szakmai, gazdasági, etikai szempontból rendkívül kényes kérdésben elkerülhetetlen az érintett szakemberek (kezelést végző klinikusok, finanszírozási szakemberek, betegszervezeti delegáltak) együttműködése. *Orv. Hetil.*, 2014, 155(44), 1735–1741.

Kulcsszavak: árva gyógyszer, enzimpótló terápia, ritka betegség, finanszírozás, racionalizálás.

Focus shifts in the Hungarian reimbursement system

Funding of orphan medicinal products for rare disease patients in Hungary: Financing of orphan medicines

Focusing on the benefits of patients with rare disease the authors analysed the aspects of orphan medicines financed in the frame of the Hungarian social insurance system in 2012 in order to make the consumption more rational, transparent and predictable. Most of the orphan drugs were financed in the frame of compassionate use by the reimbursement system. Consequently, a great deal of crucial problems occurred in relation to the unconventional subsidized method, especially in the case of the highest cost enzyme replacement therapies. On the base of the findings, proposals of the authors are presented for access to orphan drugs, fitting to the specific professional, economical and ethical aspects of this unique field of the health care system. The primary goal is to provide a suitable subsidized method for the treatment of rare disease patients with unmet medical needs. The financial modification of orphans became indispensable in Hungary. Professionals from numerous fields dealing with rare disease patients' care expressed agreement on the issue. Transforming the orphan medicines' financial structure has been initiated according to internationally shared principles.

Keywords: orphan drug, enzyme replacement therapies, rare disease, financing, rationalization

Szegedi, M., Molnár M. J., Boncz, I., Kosztolányi, Gy. [Focus shifts in the Hungarian reimbursement system. Funding of orphan medicinal products for rare disease patients in Hungary: Financing of orphan medicines]. *Orv. Hetil.*, 2014, 155(44), 1735–1741.

(Beérkezett: 2014. július 1.; elfogadva: 2014. szeptember 8.)

Rövidítések

ÁGY = árva gyógyszer; EMA = (European Medicines Agency) Európai Gyógyszerügyi Hatóság; EMMI = Emberi Erőforrások Minisztériuma; ENSZ = Egyesült Nemzetek Szervezete; EPAR = (European Public Assessment Report) Európai Nyilvános Értékelési Beszámoló; ERT = (enzyme replacement therapy) enzimpótló terápia; OD = (orphan drug) árva gyógyszer; OEP = Országos Egészségbiztosítási Pénztár; RB = ritka betegség; TB = társadalombiztosítás; WHO = (World Health Organization) Egészségügyi Világszervezet

A fejlett országok – köztük hazánk – társadalma öregedő társadalom. Az innovatív egészségügyi technológiáknak köszönhetően az átlagéletkor növekszik, azonban az aktív dolgozók/társadalombiztosítást igénybe vevők számának aránya csökken. Magyarországon hivatalos adatok alapján 2012-ben 3,9 millió állampolgár fizetett társadalombiztosítási járulékot; ellenben 9,5 millió fő vehette igénybe az egészségügyi ellátórendszer szolgáltatásait [1].

A finanszírozó – az Országos Egészségbiztosítási Pénztár – a fokozódó egészségügyi kiadásokra reagálva a költségek racionalizálására törekszik. Célja: a rendelkezésre álló, limitált erőforrásokból a társadalom egészségtőkéjének maximalizálása – ez a legfejlettebb európai államok egészségügyi rendszerének jellemzője.

Az új technológiák költség/haszon aránya nő: az egyre komplexebb molekulák létrehozására irányuló kutatási-fejlesztési költség meredeken emelkedik, ugyanakkor a termékkel kezelhető potenciális betegek száma csökken. Ilyen feltételek közt a folyamatos innováció kényszere alatt a gyógyszeripari vállalatok kétféle stratégiát követhetnek:

1. a nagy gyakoriságú „népbetegségek” alcsoportokra történő tagolása (individualizált medicina),
2. kielégítetlen egészségügyi szükségletek („unmet medical needs”) feltérképezése.

A két trend a *ritka betegségek* kezelése tekintetében nem áll messze egymástól. A „népbetegségekből” egy-egy ritka kórkép lehasítása terápiás hiatusok létrejöttét eredményezi, így egymástól elkülönülten új szükségletek jelennek meg.

A ritka betegségek meghatározása az Európai Bizottság értelmezésében epidemiológiai adatokra épül: olyan betegség, amelynek előfordulási gyakorisága (prevalenciája) nem több mint 5 eset/10000 lakos. E meghatározás

gyengesége, hogy figyelmen kívül hagyja az adott kórkép súlyosságát, kezelhetőségét. Az orvostudomány eddigi ismeretei szerint hozzávetőlegesen 7000 ritka betegségről tudunk [2], amely kör az orvosi kutatásoknak köszönhetően folyamatosan bővül. Az elkövetkezendőkben egyre több ritka kórkép azonosítására és következképpen terápiás lehetőség megjelenésére számíthatunk.

Az árva gyógyszerek (angolul: orphan drugs – ODs) a ritka betegségek kezelésére szolgáló gyógyszerkészítmények. Az Európai Gyógyszerügyi Hatóság (EMA) az alábbi kritériumok közül több teljesülése esetén határozza meg az „árva gyógyszer megjelölés” jogosultságát [3]:

- életet veszélyeztető vagy tartós fogyatékkal járó olyan betegség kezelésére, megelőzésére vagy diagnosztizálására szolgál, amelynek az Európai Unión belül előfordulási gyakorisága (prevalenciája) nem több mint 5/10 000 fő;
- nem valószínűsíthető, hogy a gyógyszer értékesítése elegendő térítésül szolgál a kifejlesztéséhez szükséges befektetés fedezetére;
- eddig még nincs az állapot kezelésére, megelőzésére, diagnosztizálására kielégítő, az érintettek számára engedélyezhető eljárás, vagy ha már létezik módszer, akkor az árvának minősítendő gyógyszer szignifikáns haszonnal jár a betegségben szenvedők számára.

Fontos megjegyezni, hogy az árva gyógyszerek ritka betegség kezelésére szolgáló készítmények, de a ritka kórképek nem mindig és nem kizárólag orphan készítményekkel kezelhetők.

A ritka betegségek problémaköre az elmúlt évtizedben az egészségügyi ellátás egyik prioritásává vált [4]. Jelen publikáció az árva gyógyszerek, különös tekintettel azok egyik alcsoportja, az enzimpótló kezelések (enzyme replacement therapy – ERT) finanszírozását mutatja be a magyar társadalombiztosítás 2012-es adatainak elemzésével. A veleszületett, genetikailag meghatározott enzimhiány okozta betegségek kezelésére az elmúlt években több ígéretes lehetőség jelent meg. A kezelés azonban rendkívül drága, a kisszámú érintett ellátása a közfinanszírozást jelentős mértékben terheli, ugyanakkor alternatív lehetőség nem ismert. Így nemcsak szakmai, gazdaságossági, hanem súlyos etikai kérdések is felmerülnek. Mindezek alapján a fenti kérdések elemzésére az enzimpótló kezelések megfelelő modellnek ígérkez-

tek. Az elemzés egy nagy ívű munka részét képezi, amelynek célja, hogy a rendkívül magas költségvonzattal járó árva gyógyszerek hozzáférést egy átlátható, tervezhető támogatási formában lehessen biztosítani, ami tekintettel van a ritka betegségben szenvedők érdekeire és a közfinanszírozás limitált forrásaira egyaránt.

Módszer

Az Orphanet portálon közzétett, 2012-ben európai forgalomba hozatali engedéllyel rendelkező árva gyógyszerek listáját vettük alapul [5, 6]. Az OEP publikus gyógyszer-törzsből kiválogattuk a Magyarországon 2012-ben a társadalombiztosítás keretében támogatott árva gyógyszereket, valamint lekértük a hétköznapi értelemben nem támogatott, de egyedi méltányossági eljárás keretében támogatásban részesülhetett, ritka kórkepek kezelésére indikált készítmények listáját [7, 8]. Megvizsgáltuk a gyógyszerek támogatási módját, támogatástípusonként kategorizáltuk a készítményeket. Az OEP adatbázisából kiválogattuk az enzimpótló készítményeket, amelyekre vonatkozóan támogatástípusok alapján termékenként szemléltettük az összes betegszámot és összköltségvonzatokat, valamint az egy támogatási kategórián belül szummáztuk a készítményenkénti összesített betegszámokat és a támogatási összköltségeket. Eredményeinket táblázatokba foglaltuk.

A Magyarországon legmagasabb költségvonzattal jellemezhető, ritka betegségek kezelésére szolgáló gyógyszerek társadalombiztosítási támogatása vonatkozásában problémaanalízist végeztünk.

Eredmények

Magyarországon az egy főre jutó árva gyógyszerek költsége (a terápia aktuális hosszára, illetve egy évre vonatkozóan) széles intervallumban, hozzávetőlegesen 530 ezer–165 millió Ft/fő között szóródott a 2012. évi költségadatokat alapján.

2012-ben 33 árva gyógyszernek minősített készítmény volt elérhető társadalombiztosítás keretében, egyes készítmények (8 darab) indikációtól függően több támogatási módon is támogatottak voltak. Fontos megjegyezni, hogy a Gaucher-kór kezelésére törzskönyvezett Cerezyme, valamint a Fabry-kór kezelésére indikált Fabrazyme és Replagal készítmények ritka betegségek kezelésére rendelkeznek forgalomba hozatali engedéllyel, de nem árva gyógyszerek minősített produktumok!

E három termékkel együttvéve aktuálisan 36 ritka betegség kezelésére indikált készítményt vizsgáltunk.

A társadalombiztosítási támogatás fő formája járóbeteg-ellátás keretében *ártámogatási kategóriában*, vényalapon történt. Ennek keretében 5 készítmény kiemelt (EÜ100%), míg 1 termék emelt, indikációhoz kötötten (EÜ90%) került támogatásra, azonban legnagyobb részük (19 gyógyszer) eddigiekben egy rendhagyó támogatási lehetőség által, úgynevezett *ártámogatás-alapú egye-*

di méltányosság keretében részesülhetett támogatásban. 8 készítmény a „klasszikus” *ártámogatás és ártámogatás-alapú egyedi méltányosság* keretében is támogatott volt *indikációtól függetlenül*. Az indikációs területekre, a felírással jogosultak körére (munkahely, szakképesítés, jogosultság) vonatkozó előírásokat, illetve a kijelölt intézmények listáját hatályos miniszteri rendeletben az úgynevezett indikációs pontok tartalmazzák [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 2. sz. melléklet].

Intézményi felhasználás keretében, tételes elszámolás alapján 3 készítmény részesült támogatásban.

Mindezek alapján az egyetlen úgynevezett emelt indikációhoz kötött, 90%-ban támogatott gyógyszeren kívül a többi ritka betegség kezelésére szolgáló készítmény teljes mértékben támogatott volt 2012-ben („klasszikus” *ártámogatás* kiemelt jogcímén és/vagy *ártámogatás-alapú egyedi méltányosság*, illetve *intézményi felhasználás* tételes elszámolása keretében).

Összeállítottunk egy listát, amely alapján 2012-ben az *ártámogatás-alapú egyedi méltányosság* keretében támogatott tíz legnagyobb költségvonzatú készítmény között négy ritka anyagcsere-betegség (Gaucher-kór, Hunter-kór, mucopolysaccharidosis I-es típus, Pompe-kór) kezelésére szolgáló öt enzimpótló gyógyszer (Cerezyme, Vpriv, Elaprased, Aldurazyme, Myozyme) foglalt helyet (1. táblázat).

A 2012. évi OEP-adatok alapján az egyedi méltányossági kasszából az előbbieken részletezett öt enzimpótló gyógyszer támogatása meghaladta a 3 milliárd forintot. A Fabry-kór kezelésére tételes elszámolás keretében fi-

1. táblázat | A 2012. évben *ártámogatás-alapú egyedi méltányosság* keretében finanszírozott 10 legmagasabb összköltségvonzattal bíró gyógyszer között rangsorolt ritka betegségek kezelésére szolgáló enzimpótló készítmények

| Kereskedelmi név | Indikáció |
|------------------|---------------------------------|
| 1. Cerezyme * | Gaucher-kór |
| 2. Myozyme | Pompe-kór |
| 3. Elaprased | Mukopoliszacharidózis II. típus |
| 4. ... | ... |
| 5. ... | ... |
| 6. ... | ... |
| 7. Vpriv | Gaucher-kór |
| 8. ... | ... |
| 9. Aldurazyme | Mukopoliszacharidózis I. típus |
| 10. ... | ... |

Megjegyzés: *Klasszikus értelemben nem árva gyógyszernek minősített.

Forrás: OEP-adatbázis, 2012.

nanszírozott enzimptóló készítményekre 2012-ben fordított támogatási összeg hozzávetőlegesen 370 millió Ft volt. Így az OEP az összesen 65, veleszületett enzimhiány miatt kezelésre szoruló páciens (2. táblázat) enzimptóló kezelésére fordított kiadása 2012-ben 3,4 milliárd forintot tett ki összességében.

Megbeszélés

Hazánkban és nemzetközileg is kiemelt aktualitással bír az árva gyógyszerek finanszírozása. Költségvonzatuk általánosságban nagyságrendekkel meghaladja az egyéb betegségek terápiájára szolgáló készítményekét. Költség-hatékonyságuk nem értelmezhető az egyéb gyógyszerekre vonatkozó módon, ami jelentős akadálya a transzparens társadalombiztosítási támogatási rendszerbe való beillesztésnek, hiszen a kis betegszám, a kemény végpontú klinikai vizsgálatok és a megfelelő evidenciaszintek hiánya vagy a sajtóságos etikai vonatkozások jelentős limitáló tényezők egészséggazdasági aspektusból. Számos készítmény olyan árral jellemezhető, amely több uniós tagállam számára megkérdőjelezi, illetve átlépi a megfizethetőség határát, így az egészségügyi ellátás finanszírozásának fenntarthatóságát próbára teszi, veszélyezteti annak működőképességét.

Magyarországon a ritka betegségben szenvedők ellátásában részt vevő számos terület szakemberei, a kezelőorvosok és nem utolsósorban maguk a ritka betegségben szenvedők is eltérő aspektusból szembesülnek nap mint nap e nehézségekkel. A kezelőorvos a *megfelelő terápiát* igyekszik ritka betegségben szenvedő betege számára biztosítani. Azonban a modern, XXI. századi orvoslás

terminológiájában a *megfelelő terápia* meghatározása összetett. Az egyén (azaz a beteg) és annak szűkebb, illetve tágabb szociális terének (vagyis a család és a társadalom) tényezőit is feltételezi. Egy terápia esetében nem „pusztán” az elérhetőségen, a lehetőségen van a hangsúly, hanem a racionalitáson alapuló indikáción is. A beteg nem viselheti az árva gyógyszerekkel járó kezelés terheit.

Fontos megjegyezni, hogy az egyedi méltányosság *nem a társadalombiztosítási támogatási rendszer egy eleme*, mint a fekvő-, vagy járóbeteg-ellátás keretében finanszírozott támogatási kategóriák, hanem egy különálló, ’rendhagyó’ lehetőség a támogatásra. Ebből a keretből finanszírozható egyebek között a TB-támogatással nem rendelhető gyógyszerkészítmény vagy az indikáción túli gyógyszerrendelés (‘off label use’). A kérelem pedig minden esetben egyedi elbíráláshoz kötött, orvosszakmai állásfoglalás, valamint a biztosított jövedelmi helyzete függvényében.

A 2012. év finanszírozási adatait felülvizsgálva 2013-ban módosítások történtek a nagy értékű enzimptóló kezelések finanszírozásának rendszerén. Elindult egy olyan, a *gyakorlatban is működőképes, fenntartható, átlátható és tervezhető finanszírozási rendszer kiépítése*, amely optimalizálja az emberi és anyagi ráfordítások/befektetések megtérülését, és adminisztratív, pénzügyi és logisztikai feladatok koordinálásával garantálja az egészségügyi ellátás minőségét. Az árva gyógyszerek finanszírozásának átalakítása a következő vezérelek mentén történt:

– a támogatott gyógyszerkészítmény úgynevezett *terápiásan hozzáadott értékének* objektívizálása, a tényle-

2. táblázat | Nagy értékű enzimptóló terápiák – Készítményenként támogatási összegek, betegszámok a 2012. évben

| Ritka betegség | Készítmény | Hatóanyag | Betegszám (fő) | Átlagos TB-támogatás / fő / év | Összes TB-támogatás |
|---|---|----------------------------|----------------|--------------------------------|---------------------|
| Hunter-kór (Mukopoliszacharidózis II. típus) | Elapraxe 2mg/ml koncentrátum oldatos infúzióhoz | iduronat-2-szulfatáz | 7 | 73 861 644 Ft | 517 031 505 Ft |
| Pompe-kór | Myozyme 50 mg por oldatos infúzióhoz való koncentrátumhoz | alfa- α -glükózidáz | 10 | 92 205 695 Ft | 922 056 949 Ft |
| Mukopoliszacharidózis I. típus | Aldurazyme 100 E/ml koncentrátum oldatos infúzióhoz | laronidáz | 2 | 66 336 219 Ft | 132 672 438 Ft |
| Gaucher-kór | Vpriv 400 egység por oldatos infúzióhoz | velagluceráz-alfa | 3 | 64 011 233 Ft | 192 033 700 Ft |
| | Cerezyme 400E por oldatos infúzióhoz való koncentrátumhoz | imigluceráz | 21 | 61 776 999 Ft | 1 297 316 984 Ft |
| Fábry-kór | Fabzyme 5 mg ill. 35 mg por oldatos infúzióhoz való koncentrátumhoz | béta- α -galzidáz | 3 | 13 413 287 Ft | 40 239 861 Ft |
| | Replagal 1 mg/ml koncentrátum oldatos infúzióhoz | alfa- α -galzidáz | 19 | 17 342 002 Ft | 329 498 047 Ft |
| Összesen | | | 65 | | 3 430 849 484 Ft |

Forrás: OEP-adatbázis, 2012.

3. táblázat | A társadalombiztosítás keretében támogatott árva gyógyszerek finanszírozási módjai a 2013. évben

| „Klasszikus” ártámogatás | Ártámogatás alapú egyedi méltányosság | Tételes elszámolás | Fekvőbeteg-ellátásokhoz kapcsolódó méltányosság | Fekvőbeteg-ellátásokhoz kapcsolódó extra finanszírozás | Jelmagyarázat |
|--------------------------|---------------------------------------|--------------------|---|--|---|
| EÜ100% | Afinitor | Atriance | Aldurazyme | Soliris | Csak „klasszikus” ártámogatás (gyógyszertámogatás) |
| Exjade | Arzerra | Evoltra | Cerezyme* | | Csak ártámogatás-alapú egyedi méltányosság (méltányossági gyógyszertámogatás) |
| Glivec | Cystadane | Fabrazyme* | Elapraxe | | „Klasszikus” ártámogatás és ártámogatás-alapú egyedi méltányosság |
| Lysodren | Diacomit | Replagal* | Myozyme | | Intézményi felhasználás során tételes elszámolás (speciális beszerzésű gyógyszerek) |
| Nplate | Exjade | | Vpriv | | Fekvőbeteg (Gyógyító-megelőző) ellátásokhoz kapcsolódó méltányosság |
| Nexavar | Glivec | | Yondelis | | Fekvőbeteg (Gyógyító-megelőző) ellátásokhoz kapcsolódó extra finanszírozás |
| Revatio | Ilaris | | | | |
| Revolade | Kuvan | | | | |
| Sprycel | Nplate | | | | |
| Tasigna | Orfadin | | | | |
| Torisel | Revatio | | | | |
| Tracleer | Revlimid | | | | |
| Ventavis | Somavert | | | | |
| Volibris | Sprycel | | | | |
| | Tasigna | | | | |
| EÜ90% | Tracleer | | | | |
| Inovelon | Ventavis | | | | |
| | Vidaza | | | | |
| | Wilzin | | | | |
| | Zavesca | | | | |

Megjegyzés: *Klasszikus értelemben nem árva gyógyszernek minősített.
 Forrás: OEP-adatbázis, 2013.

ges eredményesség, vagyis a hatékonyság meghatározása;

- a támogatott terápia finanszírozása *nemzetközi betegségspecifikus orvosszakmai irányelvek*, objektív kritériumrendszer alapján történjen;
- a finanszírozott kezelésekről a *WHO-prioritásokhoz igazodva* [9] *multiszektoriális képviselettel* (szakértő klinikusok, betegszervezeti, finanszírozói delegáció) szülessenek döntések;
- a betegek mihamarabb megfelelő terápiához juthassanak, ennek érdekében az *adminisztratív terhek minimalizálódjanak!*

E szempontok alapján 2013-ban az árva gyógyszerek finanszírozási kategóriái módosultak (3. táblázat), ami lehetővé teszi, hogy ellenőrzött elszámolási szabályok mellett kerüljenek a betegekhez. Lényeges eleme az átalakításnak, hogy a legnagyobb költségigényű enzim-

pótló készítmények intézményi felhasználás keretébe kerültek.

A nagy értékű enzimpótló kezelés racionalizálására általánosan elfogadott, nemzetközileg ismert és alkalmazott irányelvről nincs tudomásunk, ezért egy ajánlást fogalmaztunk meg, amelynek fő elemei a következők:

- *Már a kezelés indításakor* fel kell hívni az érintett páciens/szülő figyelmét az enzimpótló terápia jellegére, bizonytalansági faktoraira, kitérve arra a lehetőségre is, hogy a kezelés leállítására is sor kerülhet, továbbá, hogy az orvosi javaslatok negligálása, azoktól való életmódi eltérések is értékelésre kerülnek akkor, amikor a kezelés folytatása, esetleges leállítása mérlegelésre kerül.
- Egy elkezdett kezelés folytatásának vagy leállításának megítélésében *elsődlegesek a szakmai szempontok*, amelyeket az adott betegséggel foglalkozó szakértői cso-

- port által meghatározott és a szakmai kollégium delegáltjai által megerősített kritériumrendszer jelenít meg. A kritériumrendszer olyan betegségspecifikus és életkorhoz igazított paramétereiből áll, amelyek jelzik a javulást, stagnálást vagy progressziót.
- A kezelés sikeressége vagy hatástalansága bizonyos időközönként végrehajtott, a *paraméterek szerinti állapotfelmérés* során állapítandó meg, s ennek alapján nem a kezelőorvos, hanem egy multidiszciplináris szakembercsoport dönt a kezelés folytatásáról vagy leállításáról.
 - Ha a *döntés* a kezelés leállítását jelenti, különös körültekintéssel kell eljárni. A leállításról a páciens/ szülőt/ családot a kezelőorvos tájékoztatja, esetleg pszichológus,

4. táblázat | Jogforrások

| |
|---|
| 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 |
| 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 |
| 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 rendeléséről és kiadásáról |
| 2005. évi XCV. törvény az emberi alkalmazásra kerülő gyógyszerekről és egyéb, a gyógyszerpiacot szabályozó törvények módosításáról |
| 2006. évi CXXXII. törvény az egészségügyi ellátórendszer fejlesztéséről |
| 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 |
| 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 |
| 319/2010 (XII. 27.) Korm. rendelet az egészségbiztosítási szervekről |
| 2011. évi CLXXXVIII. törvény Magyarország 2012. évi központi költségvetéséről |
| 2011. évi CXCV. törvény az államháztartásról |

gus, betegszervezeti képviselő bevonásával. A leállítás szakaszosan történjen (például a kezelések ritkítása, adagcsökkentés), és lehetőleg alternatív kezelés felkínálásával járjon!

Nemcsak hazánkban, nemzetközileg is kiemelt aktualitás az árva gyógyszerek finanszírozásának problémaköre. A közeljövőben a fejlett országok társadalombiztosítási támogatási rendszerének prognosztizálhatóan egyik legdinamikusabban változó szegmense lesz a ritka betegségek kezelésére szolgáló nagy értékű terápiák finanszírozása. Ez a folyamat már hazánkban is megmutatkozik: az árva gyógyszerek finanszírozásában elindult egy multidiszciplináris átalakítási folyamat. Azonban az intézkedések még korántsem tekinthetők végleges irányvonalnak, inkább csak megoldások keresésének, amint ezt az árva gyógyszerek háromról öt támogatási kategóriába történő átsorolása tükrözi (3. táblázat). A megoldáskeresés nemzetközi szinten is nyomon követhető. Uniós platformok is csak a közelmúltban mozdultak el az elméleti síkon folytatott munkafolyamatoktól a gyakorlati szintű, kísérleti projektek megszervezése irányába [10].

Magyarország a nemzetközi, uniós irányelvek követője kíván maradni, ezért elengedhetetlen az uniós kötelezettségeinknek történő megfelelés. Ezt a célt szolgálja az Európai Unió által szervezett és társfinanszírozott, hazánk által is vállalt feladat, a *Ritka Betegség Nemzeti Terv* létrehozása, amelynek egyik kulcseleme a *szakértői központokban történő, felülről szervezett ellátás* [11], az információk és adatok szisztematikus gyűjtése, az összehangolt nemzeti-nemzetközi betegregiszter-rendszer létrehozása, és nem utolsósorban a nagy értékű gyógyszeres kezelés racionalizálása [12].

Az árva gyógyszerek rendkívül szenzitív társadalombiztosítási támogatási rendszerének átalakítását a multidiszciplináris szemléletű, folyamatos monitorozás, a nyomon követés, az objektív eredményeken alapuló finomhangolás kell, hogy jellemezze.

Tisztában vagyunk azzal, hogy rendkívül kényes kérdéssről van szó. A rendelkezésre álló limitált erőforrásokból azonban célunk nem lehet más, mint maximalizálni a ritka betegségben szenvedők egészségnyereségét, ezáltal biztosítani számukra az optimális egészségügyi ellátást (4. táblázat).

Anyagi támogatás: M. M. J. kutatómunkáját a Nemzeti Ágykutatási Program – KTIA 13 NAP-A-III/6 pályázata támogatta.

Szerzői munkamegosztás: Sz. M.: Az adatok gyűjtése, rendszerezése, elemzése, a kézirat elkészítése. M. M. J.: Az elemzés koordinálása, a kézirat felépítésének megtervezése. B. I.: Az adatok elemzése. K. Gy.: Az elemzés koordinálása, a kézirat felépítésének megtervezése, a kézirat elkészítése. A cikk végleges változatát valamennyi szerző elolvasta és jóváhagyta.

Érdekeltségek: A szerzőknek nincsenek érdekeltségeik.

Köszönetnyilvánítás

A szerzők köszönetüket fejezik ki az Országos Egészségbiztosítási Pénztárnak a társadalombiztosítási költségadatokat és betegszámok rendelkezésre bocsátásáért, és nem utolsósorban Prof. Dr. Horváth Ildikónak a munkájukhoz nyújtott szakértő támogatásért.

Irodalom

- [1] *Hungarian National Health Insurance Fund Administration: Statistical Pocketbook 2012.* [OEP Statisztikai Zsebkönyv, 2012.] Duna-Mix Kft., Budapest, 2013. [Hungarian]
- [2] *European Commission: Public Health.* Rare diseases – What are they? http://ec.europa.eu/health-eu/health_problems/rare_diseases/index_en.htm
- [3] *European Medicines Agency:* Orphan designation. http://www.emea.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/regulation/general/general_content_000029.jsp&mid=WC0b01ac05800240ce
- [4] *EUROPLAN Project:* The European Project for Rare Diseases National Plans Development. http://www.europlanproject.eu/_newsite_986989/project.html
- [5] *Orphanet Portal:* List of orphan drugs with marketing authorizations. http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Drugs_ListOrphanDrugs_List.php?lng=EN&TAG=A
- [6] *European Medicines Agency:* European public assessment reports. http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/epar_search.jsp&mid=WC0b01ac058001d124
- [7] *Hungarian National Health Insurance Fund Administration:* Public druglist (PUPHA). [OEP Publikus Gyógyszertörzs] http://www.cep.hu/portal/page?_pageid=35,45948635&dad=portal&_schema=PORTAL [Hungarian]
- [8] *Hungarian National Health Insurance Fund Administration database.* [OEP-adatbázis] [Hungarian]
- [9] *Van Weely, S., Leufkens, H. G.:* Priority medicines for Europe and the world „A public health approach to innovation”. Background Paper 6.19 Rare Dis., 2013, 6, 19–6–19–8.
- [10] *European Commission:* Enterprise and industry. Platform on access to medicines in Europe. Mechanism of coordinated access to orphan medicinal products. Key conclusions and recommendations. http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/competitiveness/process_on_corporate_responsibility/platform_access/index_en.htm
- [11] *Földvári, A., Szy, I., Sándor, J., et al.:* Diagnostic delay of rare diseases in Europe and in Hungary. [A ritka betegségek diagnosztikájának késedelmé Európában és Magyarországon.] *Orv. Hetil.*, 2012, 153(30), 1185–1190. [Hungarian]
- [12] *Kosztolányi, Gy.:* Hungarian National Plan and Strategy for Rare Diseases. [Ritka Betegségek Nemzeti Terve.] *Orv. Hetil.*, 2014, 155(9), 325–328. [Hungarian]

(Dr. Szegedi Márta

Budapest, Arany János u. 6–8., 1051
e-mail: marta.szegedi@emmi.gov.hu)

A rendezvények és kongresszusok híryanagának leadása

a lap megjelenése előtt legalább 40 nappal lehetséges, a 6 hetes nyomdai átfutás miatt.
Kérjük megrendelőink szíves megértését.

A híryanagokat a következő címre kérjük:
Orvosi Hetilap titkársága: Budai.Edit@akkrt.hu
Akadémiai Kiadó Zrt.