

**Europejskie prawo farmaceutyczne nie było nowelizowane od ponad 20 lat. Środowisko z dużą nadzieją przyjęło więc projekt zmian przygotowany przez Komisję Europejską (KE) w kwietniu 2023 roku. Jednak niektóre propozycje budzą zarówno niepokój, jak i krytykę. Dotyczy to między innymi nowej definicji, która w opinii ekspertów, w proponowanym kształcie może prowadzić do wykluczenia wielu chorób.**

## **DEFINICJA NIEZASPOKOJONYCH POTRZEB MEDYCZNYCH WYMAGA POSZERZENIA**

Pod koniec września Katedra i Zakład Farmakologii Doświadczalnej i Klinicznej Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego zorganizowała debatę pt. Rola innowacji i czynniki rozwoju dla innowacji w systemie ochrony zdrowia. Omówiono podczas niej proces rozwoju leku i niezaspokojone potrzeby medyczne w kontekście procedowanej reformy europejskiego prawa farmaceutycznego.

### **Ryzyko wykluczenia wielu chorych**

Wśród warunków wskazanych w nowym systemie zachęt proponowanych przez KE jest zachęta związana z niezaspokojonymi potrzebami medycznymi (unmed medical needs, UMN). Dużo kontrowersji w środowisku naukowym budzi jednak zakres samej definicji, gdyż zbyt wąskie ujęcie niezaspokojonych potrzeb medycznych może, w opinii autorytetów medycznych, mieć negatywny wpływ na dostęp pacjentów do nowoczesnego leczenia. - Propozycja Komisji Europejskiej budzi obawy, że część chorób zostanie wykluczona. W praktyce hematologicznej obecnym celem terapii jest umożliwienie pacjentowi osiągnięcia długości życia takiej, jak u osoby zdrowej. Z uwagi na wysoką śmiertelność chorób hematologicznych, potrzeba jej ograniczenia jest niezaspokojoną potrzebą medyczną. Zaproponowana nowa definicja UMN jest jednak nieprecyzyjna i może być źródłem wielu interpretacji, co utrudni skuteczne odpowiadanie na UMN w różnych obszarach klinicznych – zwracał uwagę **prof. Krzysztof Giannopoulos** (kierownik Zakładu Hematologii Doświadczalnej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, przewodniczący stowarzyszenia Hematologia Nowej Generacji). Niepokój ekspertów budzi fakt, że wprowadzenie proponowanych przez Komisję Europejską rozwiązań może ograniczyć zachęty wyłącznie do produktów stosowanych w leczeniu chorób zagrażających życiu lub poważnie osłabiających organizm, jak również postawi wysoko poprzeczkę dla nowych produktów, jeśli na rynku jest już dostępny lek na daną chorobę, nawet jeśli jego skuteczność jest niezadowalająca. - W definicji UMN jest za dużo pola do interpretacji. Farmakoepidemiologiczne podejście do definicji widoczne w propozycji Komisji jest niepokojące. Definicja wyraźnie pomija choroby metaboliczne. Należy pamiętać, że to właśnie one są podłożem wielu przewlekłych i śmiertelnych chorób – mówił podczas debaty **prof. Bogusław Okopień** (kierownik Kliniki Chorób Wewnętrznych i Farmakologii Klinicznej Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach, konsultant krajowy w dziedzinie farmakologii klinicznej).

## **Długi i kosztowny proces**

Opracowywanie leków trwa wiele lat i jego celem zawsze jest odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę medyczną, którą można zdefiniować jako każdy stan medyczny, w przypadku którego nie ma zatwierdzonych interwencji umożliwiających odpowiednie zapobieganie, leczenie lub rozpoznawanie takiego stanu. Wysokie koszty procesu opracowywania leku wynikają przede wszystkim z długotrwałości i wielu zmiennych, które na każdym etapie mogą zniweczyć wcześniejsze, zakończone sukcesem wysiłki. - Innowacyjność to zawsze ryzyko i to nie tylko ryzyko, które jesteśmy w stanie przewidzieć na podstawie znanego mechanizmu działania leku, ale przede wszystkim to, które nie wynika z jego mechanizmu, a jest bardziej związane z odpowiedzią organizmu na lek – tłumaczyła **prof. Dagmara Mirowska-Guzel** (kierownik Katedry i Zakładu Farmakologii Doświadczalnej i Klinicznej Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego, przewodnicząca Komitetu Terapii i Nauk o Leku Polskiej Akademii Nauk). - Dodatkowo należy pamiętać o konieczności pogodzenia wielu różnych interesów i ściśle przestrzeganych praw i obowiązków wszystkich uczestników prowadzonych badań, zarówno w aspekcie medycznym, prawnym, organizacyjnym, jak i - co najważniejsze - etycznym.

## **Wąskie ujęcie definicji szkodzi pacjentom**

Zgodnie z propozycją Komisji Europejskiej okres ochrony danych może zostać przedłużony o sześć miesięcy, jeżeli zostanie udowodnione, że produkt odpowiada na niezaspokojoną potrzebę medyczną. Jednak w opinii ekspertów samo pojęcie niezaspokojonej potrzeby, które może być różnie rozumiane i w dużym stopniu zależy od kontekstu i perspektywy, nie powinno być ograniczane jedynie do wąskiego definiowania innowacji na wczesnym etapie. - Mówiąc o badaniach klinicznych nie można zapominać o fazie przedklinicznej, która jest kluczowa dla powodzenia kolejnych etapów. Ich zaniedbanie często przyczynia się do niepowodzeń w dalszych fazach. Można mnożyć przykłady leków, które po czasie wykazały negatywne efekty – zwracał uwagę **prof. Bogusław Okopień** (kierownik Kliniki Chorób Wewnętrznych i Farmakologii Klinicznej Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach, konsultant krajowy w dziedzinie farmakologii klinicznej). Warto również zaznaczyć, że działania badawczo-rozwojowe ukierunkowane na pewien obszar chorobowy często dają korzystne efekty, a nawet przetomowe innowacje w innych obszarach; w związku z tym, ograniczenie zachęt jedynie do wąskich, zdefiniowanych kategorii nie uwzględnia rzeczywistości naukowej.

## **Potrzebne szersze spojrzenie na problem**

Zarówno środowisko autorytetów medycznych, jak i branża farmaceutyczna mają świadomość, że zmiany, jakie zostaną przyjęte wraz z wejściem w życie reformy prawa farmaceutycznego, ukształtują rynek na kolejne lata i określą miejsce Europy na świecie w tym zakresie. Co ważniejsze - zadecydują również o tym, jaki dostęp do nowoczesnego leczenia będą mieli pacjenci w Polsce. Warto więc przeanalizować szanse i zagrożenia wynikające z propozycji KE, dopóki jest jeszcze taka możliwość, między innymi w zakresie

poszerzenia definicji niezaspokojonych potrzeb medycznych, a co za tym idzie - uwzględnienia szerszej perspektywy w rozwoju nowych terapii dla polskich pacjentów. W debacie eksperckiej udział także wzięli: prof. Tomasz Kocki (Katedra i Zakład Farmakologii Doświadczalnej i Klinicznej Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, przewodniczący Polskiego Towarzystwa Farmakologicznego), prof. Przemysław Mitkowski (kierownik Pracowni Elektroterapii Serca I Katedry Kardiologii Uniwersytetu Medycznego im. K. Marcinkowskiego w Poznaniu, były prezes Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego), prof. Konrad Rejdak (kierownik Katedry i Kliniki Neurologii Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, członek Krajowej Rady do spraw Neurologii), mgr Maciej Szewczyk (członek Polskiego Towarzystwa Bezpiecznej Farmakoterapii).

**Więcej informacji:**

dr hab. Anna Staniszevska, Katedra i Zakład Farmakologii Doświadczalnej i Klinicznej WUM, [anna.staniszevska@wum.edu.pl](mailto:anna.staniszevska@wum.edu.pl)