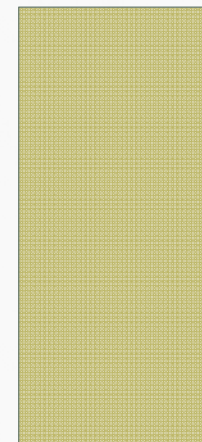


**ОСОБЕНОСТИ НА ФИ
ОЦЕНКИ НА ЛЕКАРСТВА ЗА
РЕДКИ ЗАБОЛЯВАНИЯ**

ПРОФ. Г. ПЕТРОВА, ДФН



ЛЕКАРСТВА „СИРАЦИ“

- Терминът “**ЛЕКАРСТВА СИРАЦИ**” се използва във всички законодателства.
- Това са **Лекарства** за лечение на редки заболявания:
 - Честота под 200,000 засегнати жители (САЩ);
 - Честота под 5 на 10 000 жители (ЕС).
- **Редки заболявания** - често хронични, генетично определени, тежко протичащи, инвалидизиращи, застрашаващи живота.

ЗАКОНОДАТЕЛНИ ХАРАКТЕРИСТИКИ НА ЛЕКАРСТВАТА „СИРАЦИ“

- Разрешаване на употребата по **централизирана процедура** – Европейска Лекарствена Агенция – срок 5 години (с възможно подновяване след 5 години);
- **Съкратени процедури** за разрешаване на употребата - Европейска Лекарствена Агенция – срок 1 година (с ново разрешение след 5 години);
 - За милосърдна употреба (Article 83 (1) to (3) и др.)
 - При извънредни обстоятелства (Article 14 (8) of Regulation (EC) 726/2004)
 - УСЛОВНА (Article 14 (4) of Regulation (EC) 726/2004 Regl. 207/2006)

СТАТУТ НА „ЛЕКАРСТВО СИРАК“

- С обозначение за **първоначална употреба** (primary designation).
- С обозначение за **вторична употреба** (secondary designation).

ИКОНОМИЧЕСКИ ХАРАКТЕРИСТИКИ НА ЛЕКАРСТВАТА „СИРАЦИ“

- Изискват значителни инвестиции в разработването поради ограниченото познание за заболяванията;
- Липса на пазарен и изследователски интерес от страна на фармацевтичните производители, поради ограничения пазар;
- Висока цена на придобиване;
- Възможна употреба през целия живот на пациента.

СЪСТОЯНИЕ НА РЕИМБУРСАЦИЯТА НА „ЛЕКАРСТВА СИРАЦИ“ У НАС

ARTICLE
BIOECONOMICS

DOI: 10.5504/BBEQ.2011.0043

REIMBURSED ORPHAN MEDICINES IN BULGARIA AND THE SHARE OF BIOTECHNOLOGY-DERIVED PRODUCTS

Assena Stoimenova¹, Manoela Manova¹, Alexandra Savova¹, Bistra Angelovska², Guenka Petrova¹

¹Medical University, Faculty of Pharmacy, Department of Social Pharmacy and Pharmacoeconomics,
Sofia, Bulgaria

² Goce Delcev University, Krste Misirkov b.b. P.O. Box 201 2000 Shtip, Macedonia

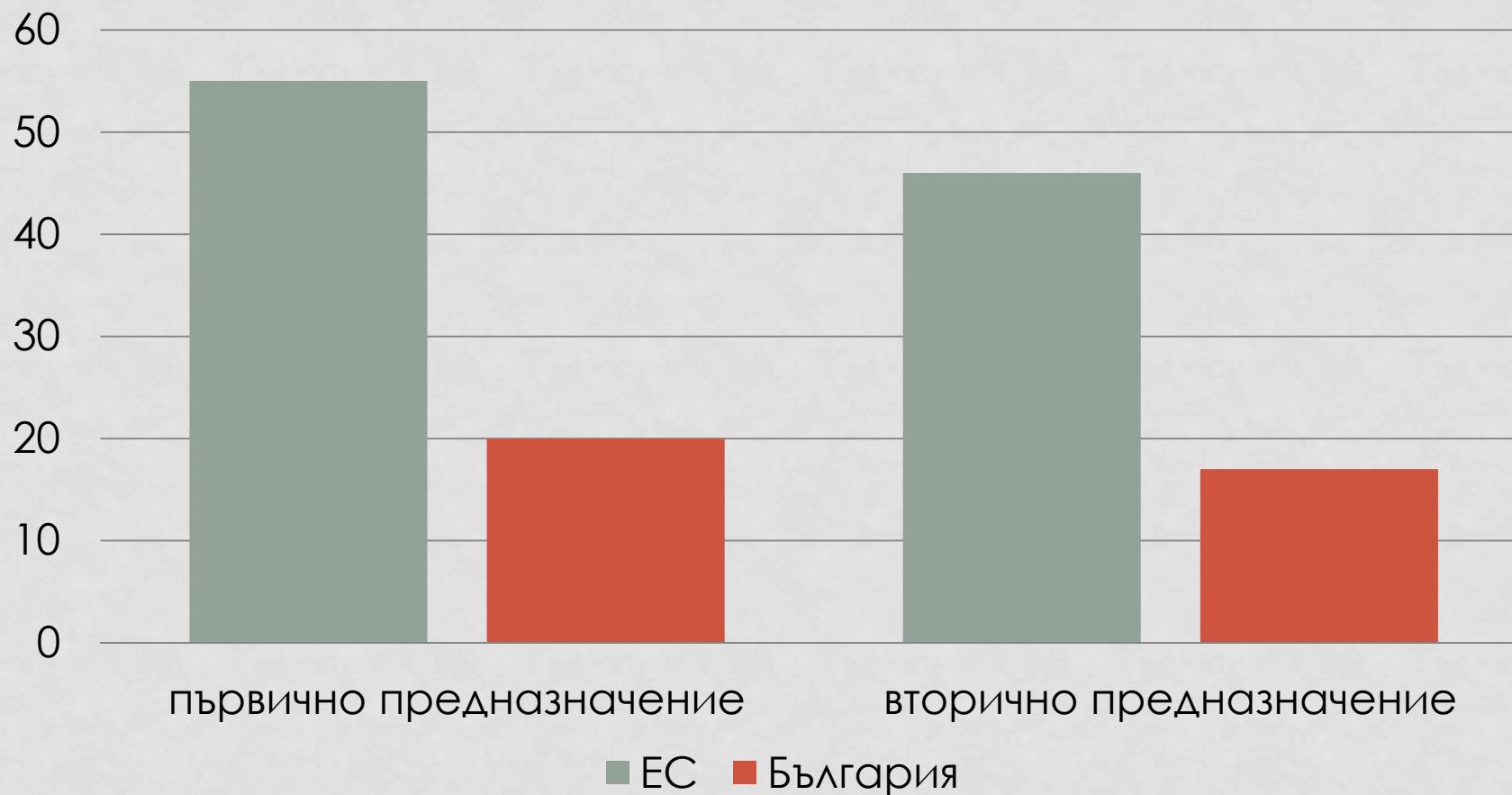
Correspondence to: Assena Stoimenova

E-mail: assena_stoimenova@mail.bg

ABSTRACT

Rare diseases are life-threatening or chronically debilitating conditions affecting no more than 5 in 10,000 people in the European Union. Most of the people suffering from rare diseases are actually affected by less frequently occurring diseases affecting one in 100,000 people or fewer. Almost 80% of the rare diseases have identified genetic origins and lots of them are treated with biotechnology-derived medicinal products. The aim of our study was to evaluate the access to orphan medicines in Bulgaria based on the analysis of the Positive Drug List (PDL) and the share of biotechnology-derived products reimbursed for rare diseases in Bulgaria. Only 21 out of 56 medicines with European orphan designation and European marketing authorisation are available and funded in Bulgaria. 29% of them are biotechnology-derived. Another 17 (out of 47) orphan medicines with

ЕС И БЪЛГАРИЯ



РЕИМБУРСАЦИЯ НА ЛЕКАРСТВА СИРАЦИ В СЪСЕДНИ ДЪРЖАВИ



СРАВНИТЕЛЕН АНАЛИЗ НА ДОСТЪПА ДО ЛЕКАРСТВА-СИРАЦИ



В СТРАНИ ОТ БАЛКАНСКИЯ ПОЛУОСТРОВ: БЪЛГАРИЯ, ГЪРЦИЯ И РУМЪНИЯ

Камушева Мария, Стоименова Асена, Петрова Генка
Фармацевтичен факултет, Медицински университет София

Въведение

Общата политика в сферата на редките заболявания и лекарствата-сираци в рамките на Европейския съюз (ЕС) срещу затруднения при гарантиране на равния достъп на пациентите до необходимата терапия. Получаването на реален достъп до пазара на лекарство-сирак, след получаването на разрешение за употреба от ЕМА в дадена държава от ЕС е зависимо от националното законодателство. (5) Съществуващите бюджетните ограничения, ниският брутен вътрешен продукт и редица икономически и медицински показатели на пазара на национално ниво създават условия за изключване на по-малко ефективни от гледна точка на разходите лекарства-сираци и причиняват неравносетен достъп до фармакотерапия. (6)

България, Румъния и Гърция са едни от първите страни-членки, въвели национални планове и стратегии в областта на редките заболявания. (7)

Със създаването на Национален план се цели и осигуряване на достъп на пациентите до фармакотерапия.

Цел

Сравнителен анализ на достъпа до лекарства-сираци в България, Гърция и Румъния чрез системите за реимбурсиране.

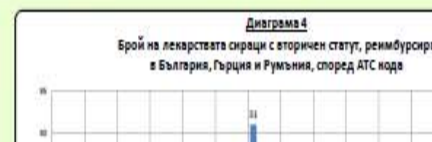
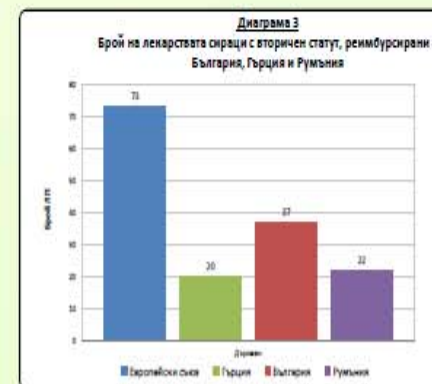
Материали и методи

Извършено е систематично, сравнително, законодателно проучване на позитивните лекарствени списъци в трите държави и Lists of orphan drugs in Europe до май 2012.

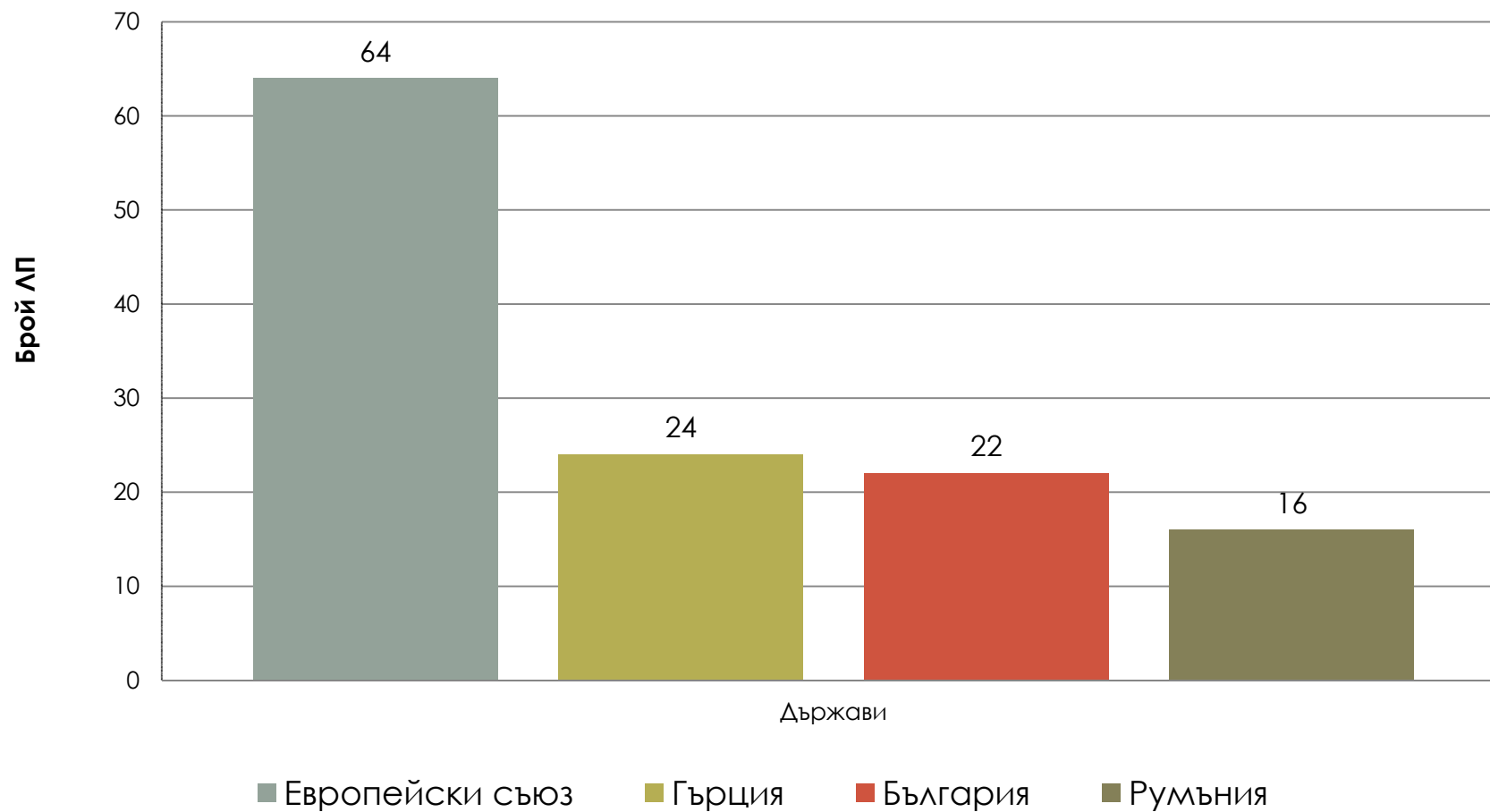
I. Проучени са следните законодателни документи:

- (А) позитивния лекарствен списък на България актуален към 01.07.2012г. (2);
- (В) списъците на западани с обществени средства лекарства към 19.06.2012 в Румъния (4);
- (С) публикувания в Държавен вестник, бр. 147 от 01.03.2012 списък с лекарства, западани с публични

Разрешени за употреба като лекарства-сираци с вторичен статут са общо 73 в ЕС, от които в България се реимбурсират 37 (50,68%), Гърция - 20 (27,40%) и Румъния - 22 (30,10%), (диаграма 3) И в трите държави най-голям е дялът на антинеопластичните и имуномодулиращите лекарства – в България - 22, в Гърция - 12, в Румъния - 16. (диаграма 4) Липсват лекарства за лечение на заболявания на сърдечно-съдовата, дихателната система, на сетивните органи и антипаразитни продукти. (диаграма 4)

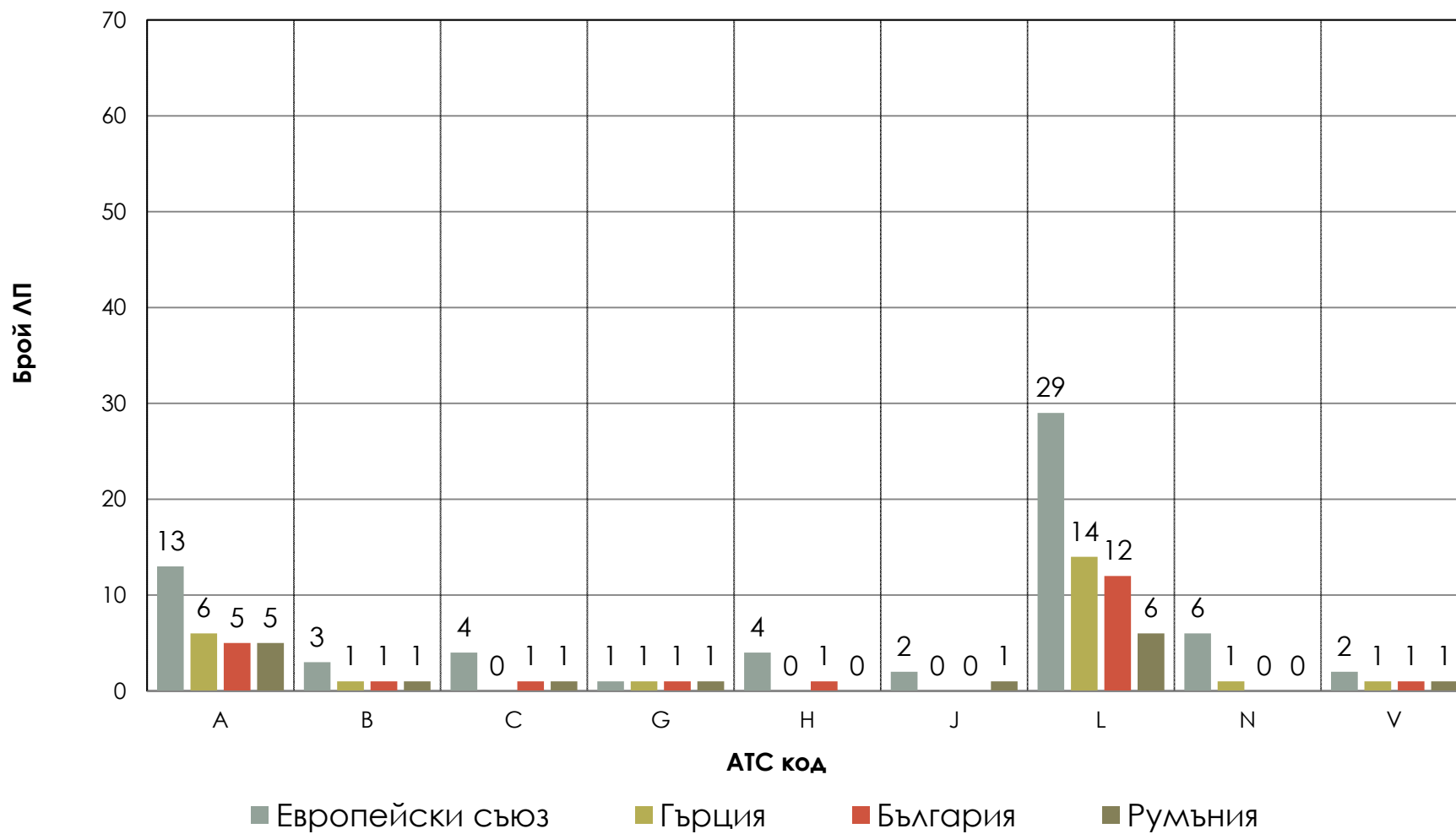


Диаграма 1
Брой на лекарства сираци с първичен статут, реимбурсирани в България, Гърция и Румъния



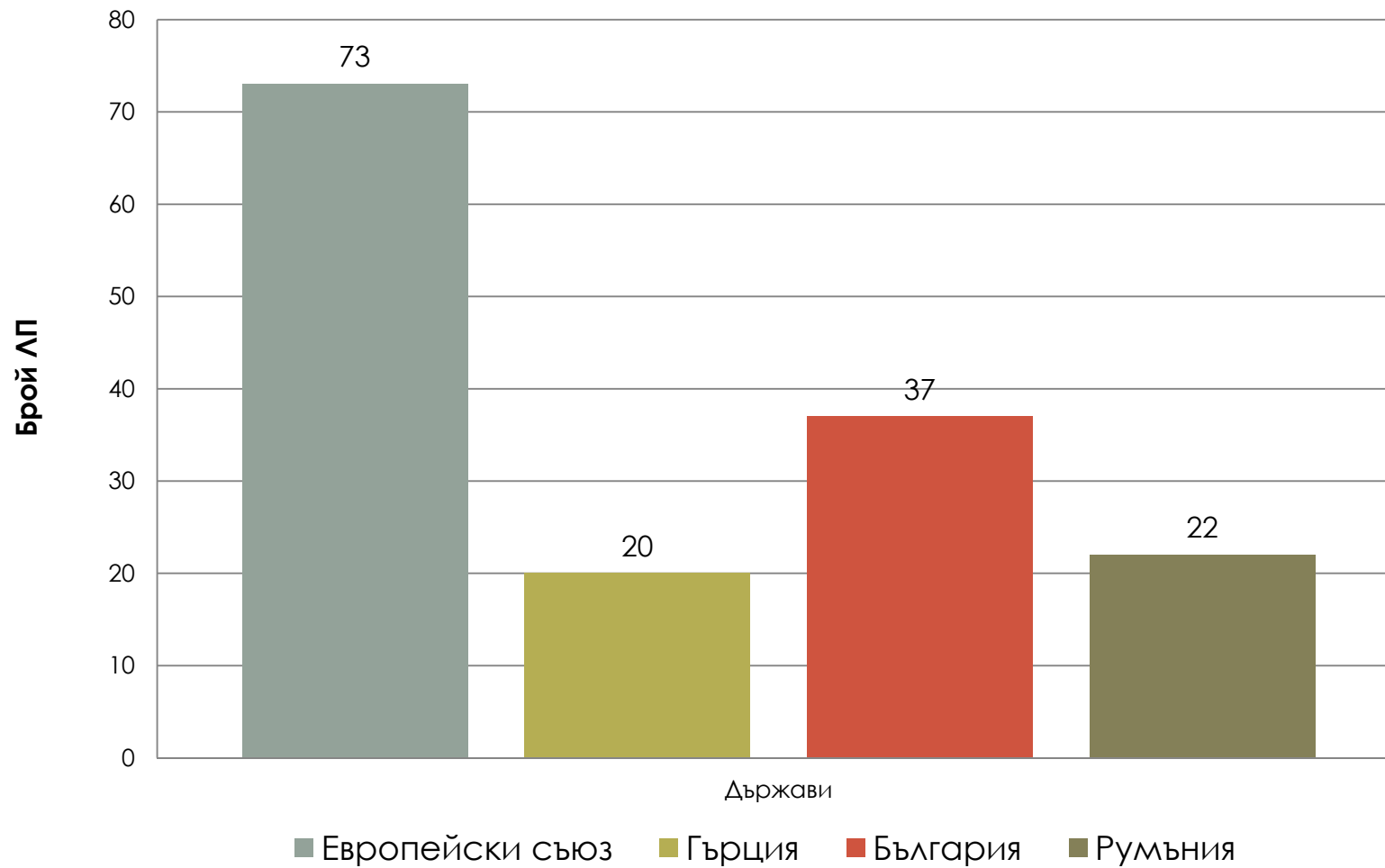
Диаграма 2

Брой на лекарства сираци с първичен статут, реимбурсирани в България, Гърция и Румъния, според АТС кода



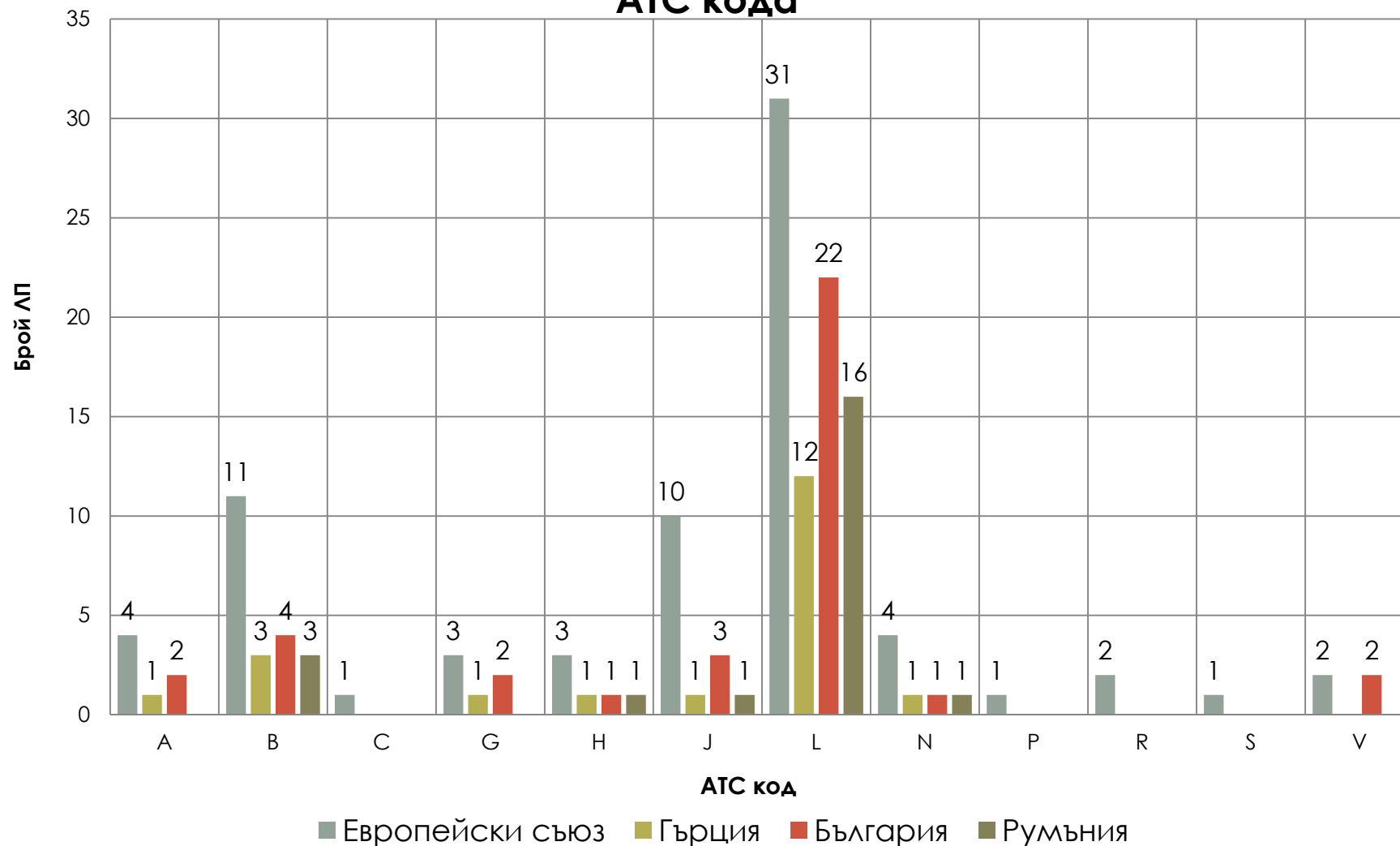
Диаграма 3

Брой на лекарствата сираци с вторичен статут,
реимбурсирани в България, Гърция и Румъния



Диаграма 4

Брой на лекарствата сираци с вторичен статут,
реимбурсирани в България, Гърция и Румъния, според
АТС кода



ПРОУЧВАНЕ НА РАЗХОДИТЕ ЗА ЛЕЧЕНИЕ НА ФЕНИЛКЕТОНУРИЯ

PHARMACOECONOMICS OF RARE DISEASES THERAPY – AN EXAMPLE OF PHENYLKETONURIA

S. Desancic¹, A. Stoimenova², A. Savova², M. Manova², V. Petkova² and G. Petrova²

¹University of Belgrade, Faculty of Pharmacy, Belgrade, Serbia

²Medical University, Department of Social pharmacy, Faculty of Pharmacy – Sofia, Bulgaria

Summary. Due to the limited number of patients and lack of market interest towards the development of medicines by pharmaceutical companies, the therapy of rare diseases is usually very expensive. Because of that the pharmacoeconomic assessment of the rare disease therapy is commonly unfavourable. In this study, the standards and cost of therapy of phenylketonuria (PKU) in Bulgaria and Serbia are analysed. The number of patients was gathered from the official databases of National Health Insurance Fund of Serbia and Ministry of Health in Bulgaria. The costs of low protein diet for patients with PKU were calculated. The lists of reimbursed medicinal products for rare diseases were reviewed. The preliminary results showed that the average cost per patient in Serbia is 528 EUR per month and 494 Euro in Bulgaria. In both countries, the dietetic foods for

ДОСТЪП ДО ЛЕЧЕНИЕ

	Bulgaria	Serbia	Croatia	Slovenia	Slovak	Check	Turkey
Population	7.6 mill.	9.5 mill.	4.5 mill.	2 mill.	5.5 mill.	10 mill.	71 mill.
Screening at birth	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes	Yes
Frequency	1 >25 000	1:10 000- 15 000	1:10 000- 15 000	1 < 5000	1:5 000- 10 000	1:10 000-15 000	1 < 5000
Patients	47	50	180	120	700	111	4 000
Reimbursement	80-100%	100%	90-100%	100%	20-100%	100%	100%

Country	Average costs per patient per year (EUR)	Patients	Total cost for all patients per year (EUR)
Serbia	6 000	50	300 000
Bulgaria	5 930	47	278 710

ПРОУЧВАНЕ НА РАЗХОДИТЕ ЗА ЛЕЧЕНИЕ ЗА ХМЛ

[Councils & Roundtables](#) | [Regional Consortia](#) | [Regional Chapters & Networks](#) | [Interest Groups](#) | [Task Forces](#) | [Students](#) | [Press](#) | [Links](#) | [Site Map](#) | [Contact Us](#)

 International Society for Pharmacoeconomics
and Outcomes Research

[Join ISPOR](#) | [Sign up for mailing List](#) | Follow Us: [in](#) [t](#) [f](#)

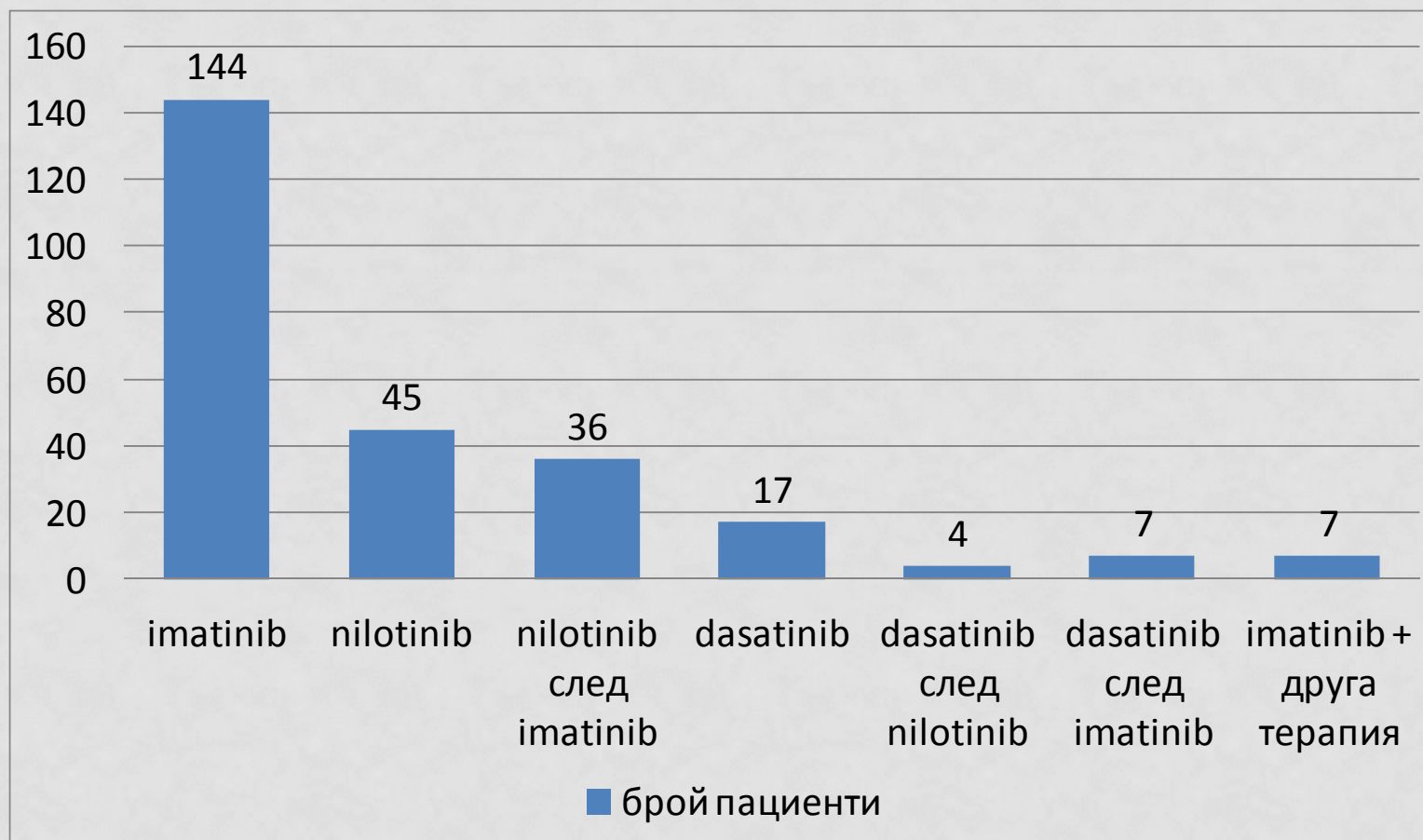
[Home](#) | [About ISPOR](#) | [Membership](#) | [Meetings](#) | [Publications](#) | [Research Tools](#) | [Decision Makers Tools](#) | [Patients Tools](#) | [Awards](#) | [Education](#) | [Employment](#) | [Advertising](#)

THE ISPOR OUTCOMES RESEARCH DIGEST

[» Back to Results List](#) | [» New Search](#) | [» Digest Main Page](#)

ID:	27382
Meeting / Value in Health Info:	ISPOR 14th Annual European Congress Madrid, Spain November, 2011
Code:	PCN27
Disease:	Cancer
Topic:	Cost Studies (CS)
Topic Subcategory:	Budget impact (BI)
Title:	BUDGET IMPACT ANALYSIS FOR CHRONIC MIELOID LEUKEMIA THERAPY IN BULGARIA
Author(s):	Savova A1, Petrova G21Medical University Sofia, Faculty of Pharmacy, Sofia, Bulgaria, 2Medical University, Faculty of Pharmacy, Sofia, Bulgaria
Content:	<p>OBJECTIVES: To evaluate the budget impact of nilotinib for newly diagnosed patients with chronic myeloid leukemia (CML) for the health care system in Bulgaria. METHODS: Current standard of therapy (imatinib) is compared with the newly authorized for sale nilotinib and dasatinib used as a first line</p>

ПРЕДПИСВАНЕ НА ТКИ ЗА ХМЛ



ПЪРВОНАЧАЛНИ ЗАКЛЮЧЕНИЯ

- ХМЛ е онкохематологично заболяване което ангажира значителни обществени ресурси
- Хоспитализациите консумират най-високи допълнителни здравни ресурси
- Лечението с Nilotinib се налага като стандарт в терапията, заради по-висока ефективност и предвидим профил на безопасност

ПРЕДИКЦИЯ НА ТЕРАПЕВТИЧНИЯ ОТГОВОР ПРИ ХРОНИЧНА ЛИМФОИДНА ЛЕВКЕМИЯ

THE THERAPEUTIC RESPONSE PREDICTION IN THE TREATMENT OF CHRONIC LYMPHOID LEUKAEMIA AND POSSIBLE IMPLICATIONS FOR HOSPITALS

Alexandar Kostovski, Assena Stoimenova*, Manoela Manova*,
Alexandra Savova*, Guenka Petrova*

(Submitted by Corresponding Member M. Vlaskovska on October 21, 2010)

Abstract

Chronic lymphoid leukaemia (CLL) was described in 1924 as a separate nosological entity, and it was defined in 1966 and 1967 as malignant disease. CLL is considered as a rare disease with frequency of about 30% of all leukaemia cases, and its successful therapy depends on the accurate diagnosis and appropriate choice of medicinal product. The objective of our study was to evaluate the predictive value of in vitro MTT-tests in patients with CLL and its possible

КОЛКО СТРУВА И КАКВО ПЕСТИМ

Type of costs	Single cost	Count	Total cost in BGN
Chemicals for MTT-assay	6.64	1 96-well plates	6.64
Time for lab. technician	0.035	60 minutes	2.08
Time for physician	0.049	10 minutes	0.49
Total cost of assay			9.21

Index	bendamustine	Fludarabine	Difference
Annual cost for ten patients	38 977.20	91 360.80	52 383.60
Losses from improper treatment	15 590.88	9 136.08	-6 454.80
Total costs / Net difference	54 568.08	100 496.88	45 928.80

КАЧЕСТВО НА ЖИВОТ НА ПАЦИЕНТИТЕ С РЕДКИ ЗАБОЛЯВАНИЯ

View Document Comments Forms Tools Advanced Window Help

ARTICLE
BIOECONOMICS

DOI: 10.5504/BBEQ.2012.0005

THE HEALTH RELATED QUALITY OF LIFE FOR KIDNEY TRANSPLANT PATIENTS IN BULGARIA – A PILOT STUDY

Svetla Georgieva¹, Maria Kamusheva², Dragana Lakić³, Konstantin Mitov², Alexandra Savova², Guenka Petrova²

¹University Hospital “Alexandrovska”, Pharmacy Department, Sofia, Bulgaria

²Medical University – Sofia, Faculty of Pharmacy, Sofia, Bulgaria

³Belgrade University, Faculty of Pharmacy, Belgrade, Serbia

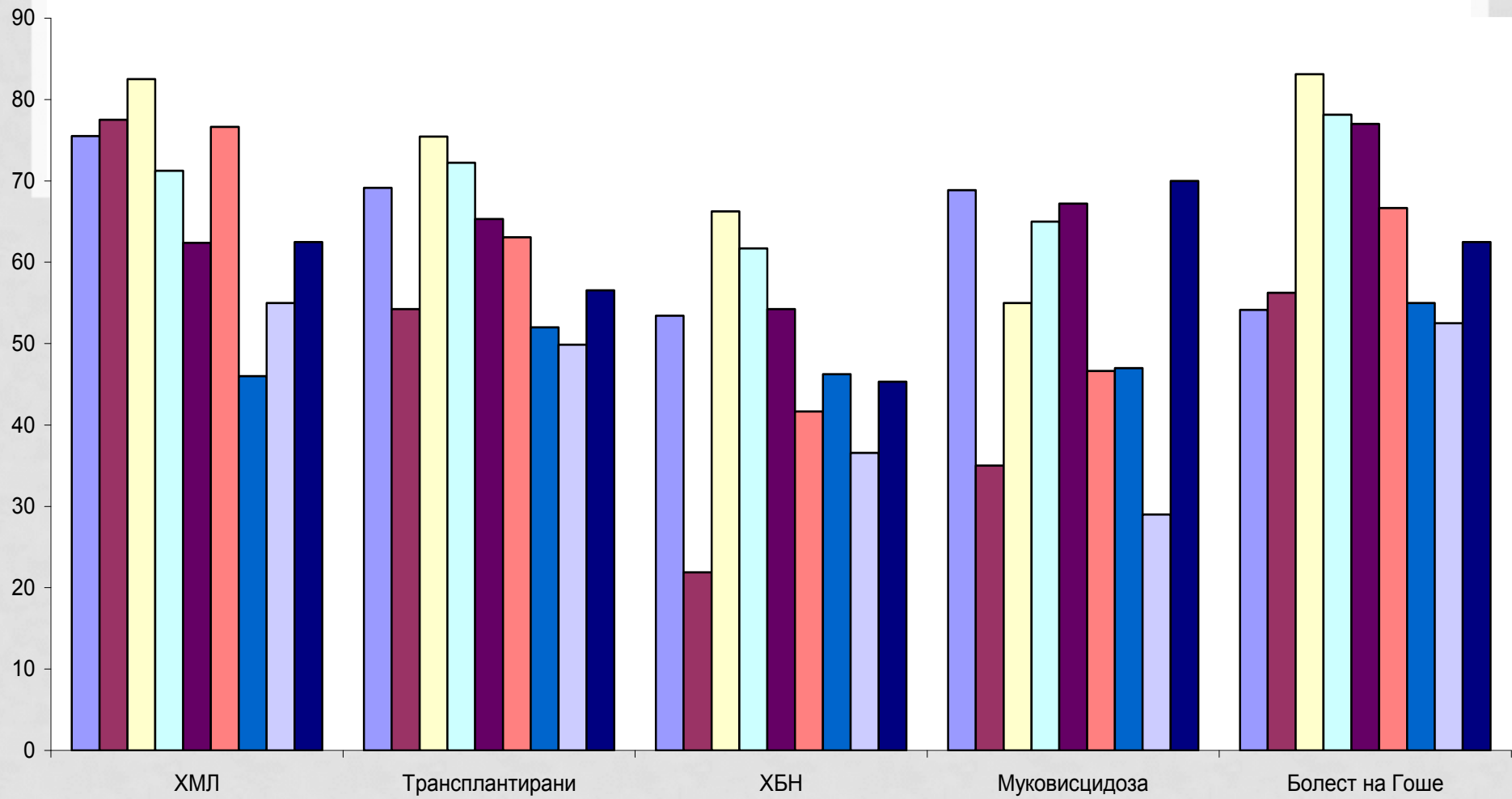
Correspondence to: Guenka Petrova

E-mail: gpetrova@pharmfac.net

ABSTRACT

The aim of the present study was to analyze the pharmacotherapy cost and quality of life of patents after kidney transplantation compared to those with chronic kidney disease in Bulgaria. This retrospective pharmacotherapy cost study and prospective health related quality of life (QoL) study was performed during 2010 – 2011 at the biggest Sofia hospital serving all transplant patients. The cost of pharmacotherapy was analyzed after reviewing patients' records. The health related quality of life was evaluated with the multi-attributable questionnaire SF-36, which measures 9 health domains.

Forty-two percent of the patients with chronic kidney disease and 26% of those with kidney transplant were female. The average



- физиологични функции
- болка
- психично здраве
- жизненост, енергичност, уморяемост
- здравно състояние, сравнено с миналата година
- ограничения в дейностите
- социална дейност
- ограничения в дейностите поради емоционални проблеми
- общо здравно състояние

ПРЕПОРЪКИ НА NICE

Appendix 1

Conditions for which orphan drug designation has been granted and for which NICE appraisals have been completed

Condition	Mid-range incremental cost effectiveness ratios (£)
Ovarian cancer refractory or resistant to standard chemotherapy (FDA & EMEA)	Topotecan = 32,500/LYG
Pancreatic cancer (FDA & EMEA)	Gemcitabine = 12,550/LYG
Metastatic colorectal adenocarcinoma (FDA)	Irinotecan /Oxaliplatin = 27,500/LYG (second line) = 29,000/LYG* (first line) Capecitabine Tegafur uracil
Malignant glioma FDA & EMEA)	Temozolomide = 35,000/LYG
Crohn's disease (FDA)	Etemcept = 27,500/QALY (severe) = 100,000/QALY* (fistulising)
Non-Hodgkin's lymphoma (FDA)	Rituximab = No ICER able to be calculated
Chronic myeloid leukaemia (FDA & EMEA)	Imatinib = 37,500 (second line) = 48,000 (blast phase)
Multiple sclerosis (FDA)	Beta interferons = 69,000/QALY (20 year projection) = 580,000/QALY (5 year perspective)
Juvenile rheumatoid arthritis (FDA)	Infliximab = 16,082/QALY
Motor neuron disease (FDA & EMEA)	Riluzole = 38,500/QALY
Idiopathic or organic growth hormone deficiency in children with growth failure (FDA)	Human growth hormone = 13,250/QALY
Short stature associated with Turner's syndrome (FDA)	Human growth hormone = 26,500/QALY
Growth hormone deficiency in adults after epiphyseal closure (FDA)	Human growth hormone = 35,000/QALY (moderate to severe only)
Gastrointestinal stromal tumours (GIST) (FDA)	Imatinib = 35,500/QALY

*Figures in bold italics show ICERs considered to be cost ineffective by NICE

ПРЕПОРЪКИ НА NICE

Appendix 2

Some ultra-orphan drugs in current use

Product	Condition	Prevalence	Preliminary estimated ICER (£ per QALY)
Agalsidase beta (Fabrazyme)	Fabry's	200	203,009
Imiglucerase (Ceredase)	Gaucher's (types I and III)	270	391,244
Laronidase (Aldurazyme)	Mucopolysaccharidosis (type 1)	130	334,880
Miglustat (Zavesca)	Gaucher's (type I)	270	116,800
Nonacog alfa (BeneFIX)	Haemophilia B	350	172,500
Iloprost (Ventavis)	Primary pulmonary hypertension	100	23,324

ПРОБЛЕМИ ПРИ ФИ ОЦЕНКИ НА „ЛЕКАРСТВА СИРАЦИ“

- Високата цена и малкият брой засегнати хора често довежда до оценка, която не утвърждава продукта като стойностно ефективен.
- Прагът на рентабилност за тези лекарства е висок.
- Ограничаването на достъпа довежда до проблеми с равнопоставеността.

НЯКОИ ВЪЗМОЖНОСТИ ЗА ПРЕОДОЛЯВАНЕ НА ПРЕПЯТСТВИЯТА

- Изграждане на регистри за пациентите и на регистри за лекарствената терапия.
- Определяне на стандарти за терапия и приоритети.
- Европейски фондове за реимбурсиране на достъпа.
- Централизация на процеса на достъп на европейско ниво.

БЛАГОДАРЯ ЗА
ВНИМАНИЕТО!

?