

Pacjenci w badaniach

<https://pacjentwbadaniach.abm.gov.pl/pwb/aktualnosci/aktualne-wydarzenia-i-i/2245,Leki-sieroce-czym-sa-i-kiedy-sie-je-stosuje.html>
06.05.2024, 16:38

Leki sieroce – czym są i kiedy się je stosuje

Choroby rzadkie są wyzwaniem zarówno dla społeczeństwa, jak i współczesnej medycyny. Ich mianem określa się choroby, których częstotliwość występowania wynosi nie więcej niż 5 na 10 tysięcy osób. Może się więc wydawać, że są to odosobnione przypadki, jednakże duża liczba chorób rzadkich, klasyfikująca niemal 8 tysięcy jednostek chorobowych, powoduje, że dotyczą one około 2,3 – 3 milionów osób w Polsce i blisko 30 milionów w Europie.

Rzadkie stany chorobowe stanowią trudność zarówno podczas procesu rozpoznawania, jak i późniejszych terapii. W miarę doskonalenia metod diagnostycznych wiedza o chorobach rzadkich staje się coraz szersza. Jednakże często napotykanym problemem jest koszt opracowania oraz wprowadzenia na rynek [produktu leczniczego](#) mającego na celu diagnozowanie, zapobieganie czy leczenie, który nie zostałby zwrócony ze względu na małe zainteresowanie produktem, a w konsekwencji jego niską sprzedaż. Bez odpowiednich zachęt przemysł farmaceutyczny nie podjąłby się więc produkcji takich leków. Dlatego też stworzono dedykowany chorobom rzadkim system promujący prace badawcze oraz rejestrację tzw. sierocych produktów leczniczych.

Lek sierocy możemy zdefiniować jako lek opracowany w celu leczenia rzadkiej choroby, produkowany przez przemysł farmaceutyczny, aby zaspokoić potrzeby zdrowia publicznego, a nie z przyczyn ekonomicznych. Sierocymi produktami leczniczymi nazywamy leki znajdujące zastosowanie w trzech sytuacjach:

1. W przypadku chorób rzadkich

Produkty te wytwarzane są w celu leczenia pacjentów, dla których leczenie lub zadowalające leczenie nie było do tej pory dostępne.

2. Produkty wycofane ze sprzedaży ze względów ekonomicznych lub terapeutycznych

Są to produkty, których zwrot z inwestycji jest niższy niż koszt produkcji, lub te, których skutki terapeutyczne mogą być szkodliwe w pewnych przypadkach, ale w innych, w przypadku których nie ma dostępnego leczenia, dawać zadowalające efekty.

3. Produkty, które nie zostały wytworzone

Jest to przypadek, w którym pochodzące z procesu badawczego produkty nie mogą zostać opatentowane lub obejmują rynki, które nie są wypłacalne.

Problem z dostępnością do sierocych [produktów leczniczych](#) związany jest z regulacjami prawnymi oraz uwarunkowaniami finansowymi i systemowymi państw członkowskich Unii Europejskiej. Leczenie chorób rzadkich uznano jednak za priorytet w działaniach Wspólnoty Europejskiej. Wszystkie państwa członkowskie powinny posiadać krajową politykę zdrowotną wobec terapii chorób rzadkich. Dla obywateli Polski przełomowym okazał się rok 2021, w którym to rząd przyjął Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich znacznie poprawiający dostęp do procesu diagnostycznego i terapeutycznego. Plan ten zakłada poprawę monitorowania zachorowalności oraz leczenia rzadkich chorób z uwidocznieniem pacjenta w systemie ochrony zdrowia. Jest to możliwe m.in. dzięki Paszportowi Pacjenta z Chorobą Rzadką oraz Polskiemu Rejestrowi Chorób Rzadkich.

Bibliografia

- Choroby rzadkie, dostępność terapii: przegląd rozwiązań i rekomendacje dla Polski <https://www.dzp.pl/files/shares/Publikacje/Raport%20Choroby%20rzadkie%20dost%C4%99pno%C5%9B%C4%87%20terapii%20przepl%C4%85d%20polskich%20rozwi%C4%85za%C5%84%20i%20rekomendacje%20dla%20Polski.pdf> (dostęp 31.03.2023 r.)
- https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education_AboutOrphanDrugs.php?lng=PL (dostęp 21.04.2023 r.)
- https://www.ptfarm.pl/pub/File/FP/1_2009/03%20sieroce%20produkty%20lecznicze.pdf (dostęp 21.04.2023 r.)
- <https://www.gov.pl/web/zdrowie/rzad-przyjal-plan-dla-chorob-rzadkich> (dostęp 9.05.2023 r.)

Autor: Urszula Imielowska

(data opracowania artykułu 15.04.2023 r.)

[Poprzedni Strona](#)

[Następny Strona](#)