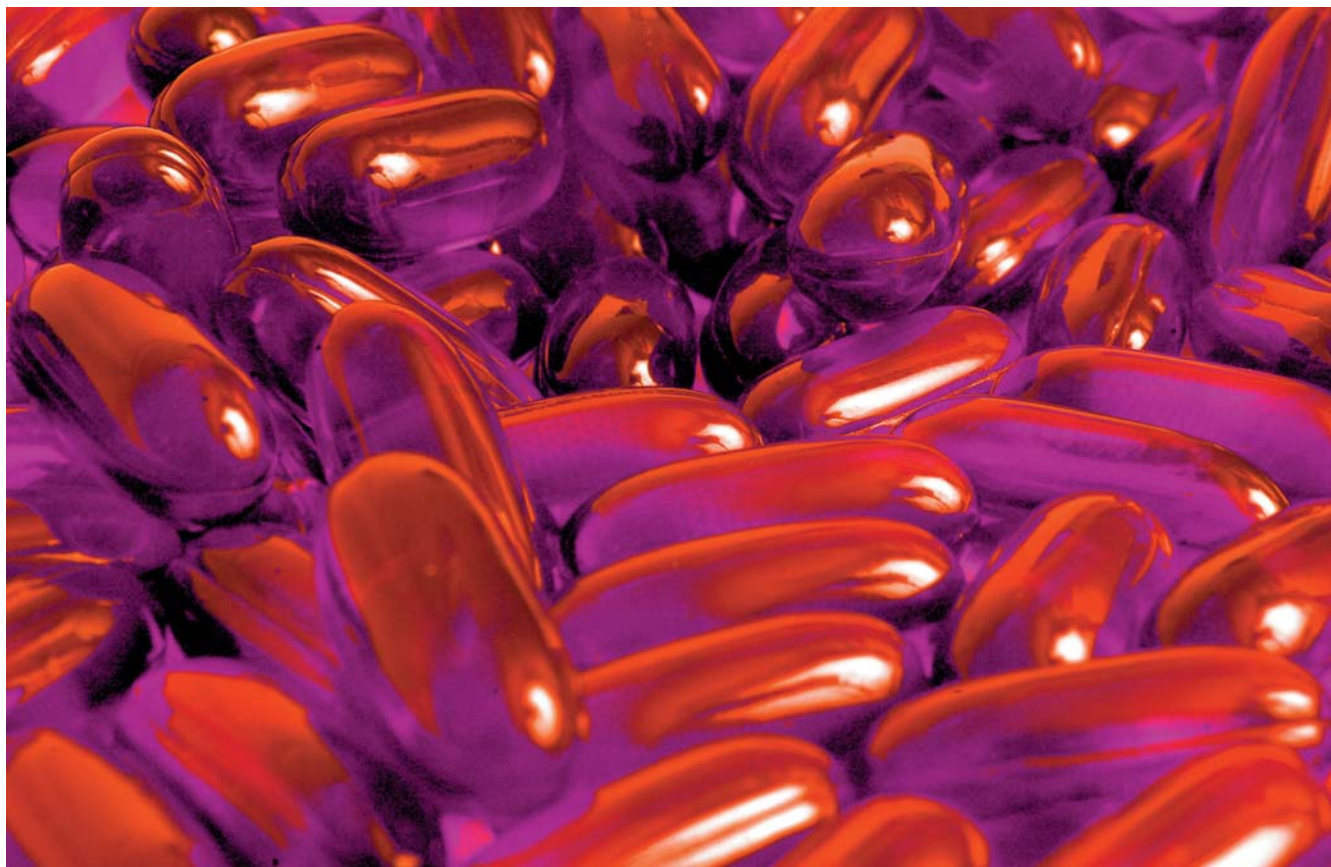


# Problem z innowacjami

Marcin Sitek



**T**rudno sobie dziś wyobrazić skuteczne leczenie nietrzymania moczu bez użycia leków. Trzeba pamiętać o tym, że niestety ćwiczenia nie są w pełni efektywną metodą kuracji, operacje na NTM w naszym kraju nadal przeprowadza się zbyt rzadko w stosunku do potrzeb, a środki wchłaniające: pieluchomajtki, pieluchy anatomiczne, wkłady anatomiczne i podkłady anatomiczne, mają charakter pomocniczy - doraźnie łagodzą skutki dolegliwości, nie osłabiając ich przyczyn. Szczególną rolę w leczeniu NTM metodami farmakologicznymi odgrywają leki innowacyjne, czyli najnowsze i - co jeszcze ważniejsze - najbardziej nowoczesne, które charakteryzują się największą skutecznością działania oraz najlepiej odpowiadają potrzebom pacjentów. To najbardziej potrzebny rodzaj środków farmakologicznych stosowanych w terapii NTM. Stąd prosty wniosek, że właśnie do nich osoby cierpiące na nietrzymanie moczu powinny mieć jak najszybszy dostęp.

## Innowacje lekowe

Leki innowacyjne, to najnowocześniejsze preparaty dopuszczone do stosowania w terapii. W Polsce formalnym kryterium uznawania leku za innowacyjny jest to, że obejmuje go ochrona patentowa, trwająca dwa lata. Za leki innowacyjne uznaje się więc te, od których rejestracji w naszym kraju upłynęło mniej niż dwa lata.

Status innowacyjnych mają aktualnie - według stanu na połowę listopada 2006 r. - tylko dwa specyfiki: Vesicare i Yentreve. Prawie od dwóch lat nie zarejestrowano, czyli nie dopuszczono do sprzedaży w Polsce ani jednego nowego leku na NTM. Z pewnością sytuacja taka jest niezadowolająca z punktu widzenia chorych, chociaż Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych rozpatruje kilka wniosków o zarejestrowanie leków na nie-

trzymanie moczu. Urząd nie ujawnia jednak jakie to specyfiki i kiedy dopuści je do sprzedaży w aptekach.

## Vesicare

Lek zawiera solifenacynę, która jest w nim substancją aktywną (leczącą). Sprzedawany jest on w postaci tabletek 5 - cio i 10 - ciomiligramowych. Stosuje się go do leczenia nagłego nietrzymania moczu, częstomoczu i parcia nagłego u chorych z zespołem pęcherza nadreaktywnego. Na ogół pacjent przyjmuje jedną tabletkę po 5 lub 10 mg na dobę. Vesicare jest lekiem skutecznym i dobrze tolerowanym przez pacjentów, gdy porówna się go z innymi lekami antycholinergicznymi. Pełen wykaz wskazań i przeciwwskazań do stosowania tego leku znajduje się w ulotce dostarczonej przez producenta.

## Yentreve

Środek ten został zarejestrowany w Polsce w 2004 r., ale niestety produkująca go firma Eli Lilly dotychczas nie wprowadziła go do sprzedaży. Yentreve stosuje się w leczeniu wysiłkowego nietrzymania moczu. Jest to pierwszy na świecie specyfik do leczenia tego typu NTM.

## A gdzie refundacja ?

Szerokie stosowanie leku jest w dużej mierze uzależnione od dopłacania do jego ceny przez publicznego płatnika lub prywatnego ubezpieczyciela zdrowotnego. Dotyczy to szczególnie takich krajów jak nasz, gdzie wielu ludzi po prostu nie stać na drogie leki. A leki na NTM są bardzo kosztowne. Na sześć zarejestrowanych w Polsce leków na to schorzenie tylko dwa są refundowane przez NFZ i tylko w przypadku nietrzymania moczu z parcia w przebiegu stwardnienia rozsianego (refundacja 70 proc., płaci się 30 proc. całości ceny). Rzecz w tym, że NFZ dopłaca obecnie tylko do leków generycznych na NTM, czyli starszych i mniej skutecznych. Ani jeden z dwóch leków innowacyjnych na nietrzymanie moczu nie jest teraz refundowany, trzeba więc płacić za nie pełną cenę.

Tymczasem różnica cen między lekami refundowanymi na NTM, a tymi z pełną odpłatnością jest ogromna. Dla przykładu, gdy opakowanie (30 tabletek po 5 mg) refundowanego leku Driptane kosztuje ok. 18 zł, Ditropanu - ok. 16 zł, a Urotonu - ok. 13 zł,

to opakowanie (również 30 tabletek po 5 mg) innowacyjnego leku bez dopłaty, Vesicare kosztuje ok. 150 zł.

Dlaczego Ministerstwo Zdrowia nie zgadza się na refundowanie innowacyjnych leków na NTM? To szerszy problem wszystkich leków innowacyjnych.

- Ze względu na ograniczone środki płatnicze NFZ nie wszystkie leki mogły być objęte dopłatami ze środków publicznych - mówi Marcin Trzcziński, rzecznik prasowy Ministerstwa Zdrowia. I właśnie o to chodzi - brak pieniędzy w NFZ. Zarejestrowane w Polsce Vesicare i Yentreve już prawie dwa lata czekają na zezwolenie na ich refundację. Jednak to i tak krótko w porównaniu z innym środkiem na NTM - Detrusitem, który na listę leków refundowanych nie trafił przez sześć lat, aż w końcu producent wycofał w ubiegłym roku wniosek w tej sprawie.

- Wniosek refundacyjny na lek Yentreve, wskazany w leczeniu umiarkowanego i ciężkiego wysiłkowego nietrzymania moczu, został złożony przez nas w Ministerstwie Zdrowia - mówi Magdalena Jakubowska z firmy farmaceutycznej Eli Lilly.

Ministerstwo Zdrowia zapowiedziało, że lista refundacyjna zostanie znowelizowana jeszcze w 2006 roku, a jej projekt zostanie przekazany do konsultacji społecznych. - Czekamy na opublikowanie projektu nowej listy refundacyjnej - dodaje Magdalena Jakubowska.

Podobnie jest z lekiem Vesicare. - Złożyliśmy wniosek o refundację zaraz po zarejestrowaniu naszego leku w Polsce, czyli



w marcu 2005 r., ale od tego czasu nie użytkaliśmy wpisu na listę leków refundowanych - mówi Katarzyna Szczepańska z firmy farmaceutycznej Astellas.

Sytuacja naszych pacjentów w dziedzinie dopłat do preparatów na NTM rażąco odbiega od USA i innych krajów Europy, nie tylko lepiej rozwiniętych w Europie zachodniej, ale też naszych sąsiadów - Czech i Słowacji.

Z pewnością farmacja nie powiedziała jeszcze ostatniego słowa w sprawie leków na NTM. Przyszłość pokaże czy Ministerstwo Zdrowia również.

### dr n. med. Piotr Radziszewski, Fellow of the European Board of Urology:

*Proces powstawania nowego leku obejmuje okres około 10 lat. Po identyfikacji substancji czynnej, która może być z teoretycznego punktu widzenia użyteczna w leczeniu danego schorzenia w laboratoriach wykonywane są liczne badania mające na celu poznanie mechanizmu jej działania. Są to badania na zwierzętach, badania na izolowanych tkankach i komórkach. Gdy ustalony zostanie mechanizm działania leku oraz jego właściwości farmakokinetyczne i toksykologiczne podejmowana jest decyzja o rozpoczęciu badań klinicznych. Już na tym etapie odpada około 90% badanych substancji.*

*W badaniach klinicznych badane jest przede wszystkim bezpieczeństwo danego leku, a następnie jego skuteczność. W ramach badań tzw. fazy I oceniane jest bez-*

*pieczeństwo leku w grupie zdrowych ochotników. Badania fazy I są jedynymi badaniami, w których ochotnicy mogą otrzymywać wynagrodzenie za udział w badaniach. Po stwierdzeniu, że lek jest bezpieczny rozpoczynają się badania fazy II, które mają na celu ustalenie optymalnej dawki oraz zbadanie czy lek jest skuteczny. Aby ocenić skuteczność leku konieczne jest porównanie go z substancją nieczynną (tzw. placebo) i niekiedy z aktualnie obowiązującym tzw. „złotym standardem”, czyli najlepszym lekiem stosowanym w leczeniu danego schorzenia.*

*Zastosowanie placebo w badaniach klinicznych jest koniecznością. W wielu schorzeniach, w tym w pęcherzu nadreaktywnym, występuje tzw. efekt placebo, czyli po podaniu substancji nieczynnej obserwuje się niewielką poprawę dolegliwości. Dlatego też, aby stwierdzić czy lek naprawdę działa, konieczne jest porównanie wywołanego przez niego efektu terapeutycznego z efektem placebo.*

*Jeśli zostanie ustalone, że lek działa (ok. 50-70% substancji badanych w fazie*

*II), przystępuje się do fazy III. W fazie III badania mają na celu ocenę skuteczności, bezpieczeństwa oraz tolerancji leku w dużej grupie pacjentów. Również w tych badaniach wykorzystuje się placebo i „złoty standard”. Są to badania wymagane do rejestracji danej substancji jako lek. Jeśli ich wyniki są pozytywne przystępuje się do rejestracji danego leku w danym schorzeniu. Koszty całego opisanego powyżej procesu to około 1 mld dolarów.*

*W odniesieniu do leków generycznych (odwórczych), będących kopią leku oryginalnego, które mogą być rejestrowane po wygaśnięciu praw patentowych na lek innowacyjny, wymagane jest określenie tzw. biorównoważności czyli sprawdzenie czy stężenie leku odwórczego w surowicy po jednokrotnym jego podaniu nie różni się o więcej niż  $\pm 20\%$ .*

*Badania takie są prowadzone w małej grupie zdrowych ochotników. Nie są prowadzone natomiast badania oceniające skuteczność i tolerancję leku generycznego, ponieważ przyjmuje się, że lek taki jest idealną kopią leku innowacyjnego.*