

Αθήνα, 29 Απριλίου 2026

ΕΝΩΣΗ ΣΠΑΝΙΩΝ ΑΣΘΕΝΩΝ ΕΛΛΑΔΟΣ / Ε.Σ.Α.Ε.

ΠΛΗΡΗΣ ΣΧΟΛΙΑΣΜΟΣ Ε.Σ.Α.Ε. ΓΙΑ ΑΡΘΡΟ 12

Η Ένωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος (Ε.Σ.Α.Ε.) αποτελεί την εθνική ομπρέλα των Οργανώσεων Ασθενών με Σπάνια Νοσήματα στην Ελλάδα, ως Σωματείο μη κερδοσκοπικού χαρακτήρα, με πανελλαδική εμβέλεια και έδρα την Αθήνα.

Σήμερα, συγκεντρώνει 40 Συλλόγους, Σωματεία και ΑΜΚΕ, εκπροσωπώντας συλλογικά περισσότερους από 500.000 ασθενείς και τις οικογένειές τους.

Ως ο μεγαλύτερος θεσμικός φορέας εκπροσώπησης των Σπανίων Ασθενών στη χώρα, η Ε.Σ.Α.Ε. συμμετέχει ενεργά στη διαμόρφωση πολιτικών υγείας, μέσω της παρουσίας της σε κρίσιμες Επιτροπές και Ομάδες Εργασίας του Υπουργείου Υγείας, όπως η Επιτροπή Σπάνιων Νοσημάτων, η Ομάδα Εργασίας Μητρώων και η Επιτροπή Φαρμακευτικής Δαπάνης, Θεραπευτικών Πρωτοκόλλων και Μητρώων.

Παράλληλα, αποτελεί τον επίσημο εκπρόσωπο της Ελλάδας στο ευρωπαϊκό και διεθνές οικοσύστημα Σπανίων Παθήσεων, ως μέλος του Παγκόσμιου Οργανισμού Σπανίων Παθήσεων (RDI) και του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Σπανίων Παθήσεων (EURORDIS).

Τα Σπάνια Νοσήματα σε αριθμούς:

Το 50% των Ασθενών είναι παιδιά.

Το 30% εξ αυτών των παιδιών δεν φτάνει στην ηλικία των 5 ετών.

Το 35% των θανάτων σε βρεφική ηλικία σχετίζεται με Σπάνιες Παθήσεις.

Ενώ μόνο το 5% των Σπανίων Νοσημάτων διαθέτει εγκεκριμένη θεραπεία.

Περισσότεροι από 500.000 Ασθενείς στην Ελλάδα ζουν με κάποια από τα 6.000 διαφορετικά Σπάνια Νοσήματα.

Η προτεινόμενη τροποποίηση του Συστήματος Ηλεκτρονικής Προέγκρισης (ΣΗΠ), μέσω του Άρθρου 12 του υπό διαβούλευση νομοσχεδίου, εγείρει σοβαρές ανησυχίες ως προς την πραγματική πρόσβαση των ασθενών σε θεραπείες, ιδίως για τα άτομα που ζουν με σπάνια, υποπληθυσμούς τους, αλλά και υπερ-σπάνια νοσήματα.

Η Ε.Σ.Α.Ε. αναγνωρίζει ότι το Υπουργείο Υγείας καταβάλλει σημαντική προσπάθεια για τον εκσυγχρονισμό και τη μεταρρύθμιση του Συστήματος Υγείας, με στόχο τη δημιουργία ενός πιο βιώσιμου και σύγχρονου πλαισίου. Παράλληλα, είναι εμφανής η πρόθεση για τη διασφάλιση της πρόσβασης των ασθενών σε θεραπείες, ιδίως όταν πρόκειται για σοβαρές ή απειλητικές για τη ζωή καταστάσεις, καθώς και για νοσήματα που οδηγούν σε σημαντική αναπηρία.

Στο πλαίσιο αυτό, η Ε.Σ.Α.Ε. προσεγγίζει τη δημόσια διαβούλευση με τεκμηριωμένο και εποικοδομητικό τρόπο, βασισμένο σε δεδομένα, διεθνείς καλές πρακτικές και την πραγματική εμπειρία των ασθενών, με στόχο να συμβάλει ουσιαστικά στη διαμόρφωση ενός δίκαιου, λειτουργικού και αποτελεσματικού νομοθετικού πλαισίου.

Άρθρο 12 – Σύστημα Ηλεκτρονικής Προέγκρισης (Σ.Η.Π.)

Είναι ιδιαίτερα ανησυχητικό ότι η προτεινόμενη ρύθμιση δεν συνοδεύεται από καμία δημοσιευμένη ή τεκμηριωμένη μελέτη αξιολόγησης οικονομικού ή υγειονομικού αντικτύπου, αλλά ούτε και από ανάλυση κόστους-αποτελεσματικότητας.

Ως εκ τούτου, δεν προκύπτει ότι τα εισαγόμενα μέτρα θα επιτύχουν τον επιδιωκόμενο δημοσιονομικό στόχο ή τη βελτίωση της αποδοτικότητας του συστήματος.

Αντιθέτως, ενέχουν σοβαρό κίνδυνο περιορισμού της πρόσβασης, θέτοντας σε κίνδυνο την υγεία και τη ζωή χιλιάδων παιδιατρικών και ενήλικων Ελλήνων ασθενών, ιδίως όσων πάσχουν από σπάνια, απειλητικά για τη ζωή νοσήματα, τα οποία συχνά οδηγούν σε σοβαρή και ενίοτε μη αναστρέψιμη αναπηρία.

Το Σύστημα Ηλεκτρονικής Προέγκρισης (Σ.Η.Π.) οφείλει να λειτουργεί ως μηχανισμός ταχείας, ασφαλούς και ισότιμης πρόσβασης των ασθενών σε αναγκαίες θεραπείες, και όχι ως πρόσθετο διοικητικό φίλτρο αποκλεισμού. Η προτεινόμενη τροποποίηση του άρθρου 265 ν. 4512/2018, όπως εισάγεται με το άρθρο 12, δημιουργεί σοβαρό κίνδυνο περιορισμού της πρόσβασης, ιδίως για ασθενείς με σπάνια, ταχέως εξελισσόμενα, απειλητικά για τη ζωή ή/και νοσήματα που οδηγούν σε σημαντική αναπηρία.

Η πρόβλεψη ότι φάρμακα που δεν κυκλοφορούν και δεν αποζημιώνονται στην Ελλάδα δύνανται να υπάγονται στο Σ.Η.Π. μόνον εφόσον αποζημιώνονται για την ίδια ένδειξη σε 5 από 11 κράτη μέλη, ή σε 4 από 11 για τα ορφανά φάρμακα, εισάγει ένα οριζόντιο και δυσανάλογο κριτήριο, το οποίο δεν ανταποκρίνεται στην πραγματικότητα των Σπανίων Παθήσεων.

Στις Σπάνιες Ασθένειες, η περιορισμένη διαθεσιμότητα δεδομένων, ο μικρός αριθμός ασθενών, η ετερογένεια των εθνικών συστημάτων αποζημίωσης και η περιορισμένη εμπορική παρουσία εταιρειών δεν αποτελούν εξαίρεση, αλλά εγγενή χαρακτηριστικά.

Συνεπώς, η αποζημίωση σε άλλα κράτη μέλη δεν μπορεί να αποτελεί σχεδόν αποκλειστικό προαπαιτούμενο πρόσβασης για Έλληνες ασθενείς με τεκμηριωμένη και επείγουσα ιατρική ανάγκη.

Ειδική διάσταση των Σπανίων Νοσημάτων

Στην Ευρωπαϊκή Ένωση εκτιμάται ότι υπάρχουν μεταξύ 6.000 και 8.000 Σπάνια Νοσήματα, τα οποία επηρεάζουν συνολικά 27 έως 36 εκατομμύρια πολίτες. Περίπου το 70% των Σπανίων Παθήσεων εκδηλώνονται στην παιδική ηλικία, ενώ για σχεδόν το 95% αυτών δεν υπάρχει ακόμη εγκεκριμένη θεραπεία. ([Public Health][1])

Με βάση τα ευρωπαϊκά επιδημιολογικά δεδομένα, στην Ελλάδα, εκτιμάται ότι οι ασθενείς με Σπάνιες Ασθένειες υπερβαίνουν τους 500.000. Η εκτίμηση αυτή είναι συμβατή με το ευρωπαϊκό εύρος επιπολασμού 6%-8% του πληθυσμού. ([European Commission][2])

Υπό το πρίσμα αυτό, το Σ.Η.Π. πρέπει να λαμβάνει υπόψη ότι για πολλές σπάνιες και υπερ-σπάνιες παθήσεις δεν υπάρχει «τυπική» πορεία πρόσβασης. Η θεραπεία μπορεί να προέρχεται από μηχανισμούς πρώιμης πρόσβασης, compassionate use, named patient access, accelerated approval ή άλλες εξαιρετικές διαδικασίες, οι οποίες έχουν ακριβώς ως σκοπό να γεφυρώσουν το θεραπευτικό κενό μέχρι την πλήρη εμπορική κυκλοφορία ή αποζημίωση.

Ο EMA αναγνωρίζει μηχανισμούς compassionate use για ασθενείς με ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη, ενώ ο FDA προβλέπει accelerated approval για σοβαρές παθήσεις με ανεκπλήρωτη ανάγκη βάσει surrogate endpoints. ([European Medicines Agency (EMA)][3])

Πραγματικές κατηγορίες ασθενών που θα αποκλειστούν

Η προτεινόμενη ρύθμιση θα δημιουργήσει σοβαρό κενό πρόσβασης στις ακόλουθες περιπτώσεις:

- 1. Ασθενείς που χρειάζονται άμεση θεραπεία για λόγους επιβίωσης, όπου ακόμα και μικρή καθυστέρηση μπορεί να οδηγήσει σε αναπηρία, μη αναστρέψιμη επιδείνωση ή απώλεια ζωής.**
- 2. Φάρμακα με έγκριση FDA αλλά χωρίς ακόμη έγκριση EMA, ιδίως όταν αφορούν ταχέως εξελισσόμενες νόσους, παιδιατρικούς πληθυσμούς, σπάνια νοσήματα και επιμέρους υποομάδες ασθενών, συμπεριλαμβανομένων των υπερ-σπάνιων γενετικών παθήσεων.**

3. Φάρμακα με έγκριση EMA που σε άλλα κράτη διατίθενται μέσω early access, compassionate use ή named patient access, και όχι μέσω κανονικής αποζημίωσης. Σε τέτοιες περιπτώσεις, τα φάρμακα μπορεί να μη «μετρούν» ή να είναι «αόρατα» στο κριτήριο 5/11 ή 4/11, παρότι στην πράξη οι ασθενείς άλλων χωρών έχουν πρόσβαση, ακριβώς επειδή άλλα επιλέγουν να επιταχύνουν την πρόσβαση αντί να αναμένουν πλήρη αποζημίωση.
4. Φάρμακα για νοσήματα που υπάρχουν σε πολύ λίγα κράτη μέλη, λόγω γεωγραφικών, γενετικών ή πληθυσμιακών ιδιαιτεροτήτων. Εάν μια πάθηση εμφανίζεται κυρίως ή αποκλειστικά σε λίγες χώρες, το κριτήριο αποζημίωσης σε 4 ή 5 κράτη καθίσταται μη ρεαλιστικό.
5. Υπερ-σπάνιες μεταλλάξεις σε ήδη υπάρχοντα Σπάνια Νοσήματα ή τοπικά γενετικά clusters, όπως μπορεί να παρατηρούνται σε συγκεκριμένες περιοχές της Ελλάδας, π.χ. Κρήτη, Ανατολική Μακεδονία, Δωδεκάνησα ή Κυκλάδες. Σε τέτοιες περιπτώσεις, η Ελλάδα μπορεί να έχει ασθενείς που δεν υπάρχουν σε ικανό αριθμό σε άλλα κράτη μέλη.
6. Φάρμακα μικρών βιοτεχνολογικών εταιρειών, οι οποίες ενδέχεται να μην έχουν τη δυνατότητα άμεσης εμπορικής παρουσίας ή υποβολής σε πολλά ευρωπαϊκά κράτη, δηλαδή εταιρείες που αποτελούν το 60% με 70% των Κατόχων Άδειας Κυκλοφορίας (ΚΑΚ) στον τομέα των Σπανίων Νοσημάτων, με τη μεγάλη πλειονότητά τους να εδρεύει στις Ηνωμένες Πολιτείες.
7. Φάρμακα που ακολουθούν αποκεντρωμένη ή περιορισμένη εθνική στρατηγική διάθεσης, όπου η εταιρεία επιλέγει λίγα μεγάλα κράτη μέλη, και όχι πανευρωπαϊκή κυκλοφορία από τον EMA.
8. Θεραπείες για μικρούς υποπληθυσμούς ήδη Σπανίων Νοσημάτων, όπου η θεραπεία αφορά συγκεκριμένη μετάλλαξη ή βιοδείκτη.
9. Θεραπείες σε late-stage development ή πρώιμη πρόσβαση από τις ΗΠΑ, όταν δεν υπάρχει διαθέσιμη εναλλακτική θεραπεία στην αγορά.
10. Τεκμηριωμένες χρήσεις εκτός εγκεκριμένων ενδείξεων (off-label), ιδίως σε Σπάνια Νοσήματα και στην παιδιατρική ογκολογία, όπου το σύνολο των καρκίνων είναι σπάνιοι, καθώς και σε σημαντικό ποσοστό καρκίνων ενηλίκων (περίπου 25%). Η off-label και compassionate χρήση αποτελούν καθιερωμένες πρακτικές στην παιδιατρική ογκολογία και στα υπόλοιπα Σπάνια Νοσήματα, ενώ η διεθνής βιβλιογραφία αναγνωρίζει ότι συνιστούν ουσιώδες μέρος της πραγματικής κλινικής πρακτικής. ([JAMA Network][4])

Κύρια προβλήματα της προτεινόμενης διάταξης

1. Το κριτήριο 5/11 και 4/11 λειτουργεί ως de facto αποκλεισμός

Η απαίτηση αποζημίωσης σε 5 κράτη μέλη ή σε 4 για ορφανά φάρμακα είναι υπερβολικά αυστηρή για σπάνια, υποπληθυσμούς τους, και υπερ-σπάνια νοσήματα. Δεν λαμβάνει υπόψη ότι η απουσία αποζημίωσης σε άλλα κράτη μπορεί να οφείλεται σε διοικητικές καθυστερήσεις, μικρό αριθμό ασθενών, μη εμπορική διάθεση ή διαφορετικά εθνικά κανάλια πρώιμης πρόσβασης, και όχι σε έλλειψη θεραπευτικής αξίας.

2. Ακαταλληλότητα του κριτηρίου 4/11 υπό το πρίσμα της φύσης των ορφανών φαρμάκων

Η ακαταλληλότητα εφαρμογής του κριτηρίου αποζημίωσης σε 4 από 11 κράτη μέλη για τα ορφανά φάρμακα ενισχύεται περαιτέρω από τη νομολογιακή προσέγγιση του Συμβουλίου της Επικρατείας, σύμφωνα με την οποία τα ορφανά φάρμακα συνιστούν όλως ειδική κατηγορία. Συγκεκριμένα, αφορούν εξαιρετικά περιορισμένο και εκ των προτέρων προσδιορισμένο αριθμό ασθενών, τελούν υπό αυστηρό, εξατομικευμένο και διαρκώς επανελεγχόμενο θεσμικό πλαίσιο και χαρακτηρίζονται από ανελαστική ζήτηση. Υπό το πρίσμα αυτό, η σύνδεση της εθνικής πρόσβασης με εξωτερικά κριτήρια αποζημίωσης άλλων κρατών, χωρίς συνάρτηση με την πραγματική κλινική ανάγκη και το εγχώριο σύστημα ελέγχων, δεν μπορεί να θεωρηθεί αναλογική και τείνει να λειτουργεί ως μηχανισμός οριζόντιου αποκλεισμού.

3. Ύπαρξη επαρκών εσωτερικών μηχανισμών ελέγχου στο Σ.Η.Π. και αναλογικότητα πρόσθετων εξωτερικών κριτηρίων

Περαιτέρω, η εφαρμογή εξωτερικών, οριζόντιων κριτηρίων πρόσβασης, όπως το κριτήριο αποζημίωσης σε 5 από 11 κράτη μέλη, ή σε 4 από 11 για τα ορφανά φάρμακα, δεν μπορεί να θεωρηθεί ούτε εύλογη ούτε αναλογική, ιδίως δεδομένου ότι τα αιτήματα που υποβάλλονται μέσω του Σ.Η.Π. τελούν ήδη υπό πολλαπλά και διαδοχικά επίπεδα ελέγχου. Τα αιτήματα αξιολογούνται σε κλινική και επιστημονική βάση από την αρμόδια Επιτροπή Ελέγχου του Σ.Η.Π., ενώ δύνανται να συνεπικουρούνται από γνωμοδοτήσεις υποεπιτροπών ή άλλων εξειδικευμένων οργάνων, διασφαλίζοντας υψηλό επίπεδο τεκμηρίωσης και θεσμικής αξιοπιστίας. Υπό τα δεδομένα αυτά, η εισαγωγή πρόσθετων εξωτερικών φίλτρων, συνδεδεμένων με καθεστώτα αποζημίωσης άλλων κρατών, δεν ενισχύει ουσιαστικά τη διαδικασία αξιολόγησης, αλλά αντιθέτως ενέχει τον κίνδυνο να λειτουργήσει ως μηχανισμός πρόωρου αποκλεισμού, ιδίως για ασθενείς με σπάνιες και υπερ-σπάνιες παθήσεις, οι οποίες συχνά είναι απειλητικές για τη ζωή ή/και οδηγούν σε σημαντική αναπηρία.

4. Στο ίδιο πλαίσιο, και λαμβάνοντας υπόψη το ενωσιακό θεσμικό πλαίσιο για τα ορφανά φάρμακα, επισημαίνεται ότι η εθνική ρύθμιση οφείλει να υποστηρίζει — και όχι να υπονομεύει — τον σκοπό της ευρωπαϊκής νομοθεσίας για την πρόσβαση των ασθενών με σπάνια νοσήματα σε κατάλληλες θεραπείες

Περαιτέρω, υπενθυμίζεται ότι στο πλαίσιο του ενωσιακού δικαίου για τα ορφανά φάρμακα, τα Κράτη Μέλη φέρουν ιδιαίτερη ευθύνη για την ενίσχυση της πρόσβασης των ασθενών με σπάνια και υπερ-σπάνια νοσήματα σε κατάλληλες θεραπείες σε εθνικό επίπεδο. Ο Κανονισμός (ΕΚ) 141/2000 για τα ορφανά φάρμακα θεσπίστηκε ακριβώς για να αντιμετωπιστεί η αποτυχία της αγοράς, και να διασφαλιστεί ότι οι ασθενείς με Σπάνια Νοσήματα δεν υστερούν σε ποιότητα ή διαθεσιμότητα θεραπειών λόγω του μικρού μεγέθους του πληθυσμού τους. Υπό το πρίσμα αυτό, τα εθνικά συστήματα πρόσβασης και προέγκρισης οφείλουν να οργανώνονται κατά τρόπο που να υποστηρίζει τον σκοπό του ενωσιακού πλαισίου, και να μη δημιουργεί πρόσθετα, δυσανάλογα εμπόδια

πρόσβασης τα οποία, στην πράξη, ακυρώνουν την προστατευτική λογική της ευρωπαϊκής νομοθεσίας για τα ορφανά φάρμακα.

5. Δημιουργία κενού προστασίας για φάρμακα που δεν έχουν ακόμη αξιολογηθεί

Η νέα διατύπωση φαίνεται να απαλείφει την κατηγορία φαρμάκων που δεν περιλαμβάνονται στον θετικό κατάλογο, δεν έχουν ακόμη αξιολογηθεί και για τα οποία ζητείται κατ' εξαίρεση χορήγηση σε περιπτώσεις νόσων άμεσα απειλητικών για τη ζωή ή ικανών να προκαλέσουν ανήκεστη βλάβη ή σοβαρή αναπηρία. Η απάλειψη αυτή ενδέχεται να δημιουργήσει κενό προστασίας, αφήνοντας νέους ασθενείς χωρίς πρόσβαση κατά το κρίσιμο μεταβατικό διάστημα μεταξύ τιμολόγησης, αξιολόγησης και αποζημίωσης.

6. Προβληματική εξάρτηση από τον ΚΑΚ

Η πρόσβαση των ασθενών δεν μπορεί να εξαρτάται από το αν ο ΚΑΚ έχει παρουσία στην Ελλάδα, αν ενημερώνει εγκαίρως τη Διεύθυνση Φαρμάκου ή αν επιλέγει εμπορικά να δραστηριοποιηθεί στη χώρα. Η ιατρική ανάγκη δεν πρέπει να υποτάσσεται σε εμπορικές ή διοικητικές επιλογές τρίτων.

7. Απουσία ειδικής διαδικασίας για υποπληθυσμούς σπάνιων, υπερ-σπάνιων και ταχέως εξελισσόμενων νοσημάτων

Για νοσήματα που αφορούν εξαιρετικά μικρούς πληθυσμούς, τα συνήθη αποδεικτικά και διοικητικά κριτήρια δεν επαρκούν. Απαιτούνται ειδικές διαδικασίες ταχείας αξιολόγησης (fast-track), με δυνατότητα αξιολόγησης βάσει γνώμης εξειδικευμένων κέντρων, διεθνών επιστημονικών δεδομένων, δεδομένων μητρώων, surrogate endpoints και σαφώς τεκμηριωμένης ιατρικής ανάγκης.

8. Η σιωπηρή απόρριψη είναι ακατάλληλη για απειλητικά νοσήματα

Η πρόβλεψη τεκμαιρόμενης αρνητικής γνωμοδότησης λόγω άπρακτης παρέλευσης της προθεσμίας είναι ιδιαίτερα προβληματική. Για ασθενείς με προοδευτικά, μη αναστρέψιμα ή απειλητικά για τη ζωή νοσήματα, η καθυστέρηση δεν αποτελεί ουδέτερη διοικητική συνέπεια, αλλά μπορεί να οδηγήσει σε απώλεια κρίσιμου θεραπευτικού παραθύρου και μη αναστρέψιμη επιδείνωση της υγείας ή/και σε σοβαρή αναπηρία.

9. Μη διασφάλιση θεραπευτικής συνέχειας

Η διαδικασία οφείλει να προβλέπει ρητά ότι ασθενής που έχει ήδη ξεκινήσει θεραπεία συνεχίζει να καλύπτεται απρόσκοπτα έως την ολοκλήρωση της διαδικασίας επανέγκρισης ή επαναξιολόγησης. Σε χρόνιες ή προοδευτικές νόσους, η διακοπή της αγωγής λόγω διοικητικής εκκρεμότητας δεν είναι ιατρικά αποδεκτή, και εγείρει σοβαρά ηθικά ζητήματα.

10. Η εκτός ενδείξεων (off-label) χρήση δεν πρέπει να καταστεί πρακτικά ανεφάρμοστη

Το σχέδιο νόμου δεν καταργεί ρητά τη δυνατότητα εκτός ενδείξεων (off-label) χρήσης· ωστόσο, η αυστηρή προσήλωση σε εγκεκριμένες και αποζημιούμενες ενδείξεις ενδέχεται να την περιορίσει ουσιαδώς στην πράξη. Σε Σπάνια Νοσήματα και στην παιδιατρική ογκολογία, η εξατομικευμένη και τεκμηριωμένη off-label χρήση αποτελεί συχνά αναγκαία θεραπευτική επιλογή, ιδίως δεδομένου ότι για περίπου το 95% των Σπάνιων Νοσημάτων δεν υπάρχουν εγκεκριμένες θεραπείες, ενώ το σύνολο των παιδιατρικών καρκίνων κατατάσσεται στις Σπάνιες Παθήσεις.

Προτάσεις τροποποίησης:

1. Να προβλεφθεί ****ρητή εξαίρεση ή ειδική διαδικασία**** για ορφανά φάρμακα, φάρμακα για Σπάνια Νοσήματα, τους υποπληθυσμούς τους, και υπερ-σπάνια νοσήματα, καθώς και θεραπείες για απειλητικές ή ταχέως εξελισσόμενες παθήσεις που οδηγούν σε σημαντική αναπηρία.
2. Το κριτήριο αποζημίωσης σε 5/11 ή 4/11 κράτη να μην εφαρμόζεται ως απόλυτη προϋπόθεση, αλλά ως ένα από τα συνεκτιμώμενα στοιχεία.
3. Να επανεισαχθεί ρητά στο Σ.Η.Π. η κατηγορία:
«Φάρμακα που δεν περιλαμβάνονται στον Κατάλογο Αποζημιούμενων Φαρμάκων, δεν έχουν αξιολογηθεί και ζητείται να χορηγηθούν κατ' εξαίρεση για νόσους ή παθολογικές καταστάσεις άμεσα απειλητικές για τη ζωή ή ικανές να προκαλέσουν ανήκεστη βλάβη στην υγεία.»
4. Να θεσπιστεί ****fast-track διαδικασία**** για σπάνια, τους υποπληθυσμούς τους, και υπερ-σπάνια νοσήματα, με μέγιστη προθεσμία απάντησης 10 εργάσιμων ημερών.
5. Σε επείγοντα περιστατικά, να προβλεφθεί ****προσωρινή έγκριση**** έως την ολοκλήρωση της αξιολόγησης. Περαιτέρω, απαιτείται ρητή πρόβλεψη υποχρέωσης αιτιολογημένης και εμπρόθεσμης απάντησης εκ μέρους της Διοίκησης. Η απουσία ρητής και τεκμηριωμένης γνωμοδότησης επί αιτημάτων που αφορούν σοβαρές, ταχέως εξελισσόμενες ή απειλητικές για τη ζωή παθήσεις, οι οποίες ενδέχεται να οδηγήσουν σε αναπηρία, δεν συνάδει με τις αρχές της χρηστής διοίκησης, της διαφάνειας και της αναλογικότητας και δεν μπορεί να λειτουργεί σε βάρος του ασθενούς.
6. Να απαλειφθεί η σιωπηρή απόρριψη για όλες τις περιπτώσεις, διότι επι της αρχής είναι μη εύλογη. Εναλλακτικά, θα πρέπει να υπάρξει πρόβλεψη «σιωπηρής αποδοχής» σε περίπτωση άπρακτης παρέλευσης της θεσμοθετημένης προθεσμίας εκ μέρους του Σ.Η.Π. ή/και των αρμόδιων επιτροπών.
7. Να προβλεφθεί ****αυτόματη ανανέωση**** για χρόνιες θεραπείες εφόσον ο θεράπων ιατρός τεκμηριώνει συνεχιζόμενη ανάγκη. Εναλλακτικά, να αντικατασταθεί με την ακόλουθη διατύπωση «Για θεραπείες που αφορούν Σπάνιες Παθήσεις, και ιδίως περιπτώσεις όπου ενδέχεται να μην υφίσταται καμία εναλλακτική θεραπευτική επιλογή, η ανανέωση της χορήγησης θα πρέπει να συνδέεται με περιοδική και τεκμηριωμένη κλινική επανεκτίμηση της αποτελεσματικότητας και του λόγου οφέλους-κινδύνου, σε συνάρτηση με τη φύση της νόσου, την κλινική ανταπόκριση, και τη συνολική πορεία του ασθενούς, βάσει επιστημονικά τεκμηριωμένης ιατρικής κρίσης», και όχι μέσω εξαντλητικών ή δυσανάλογα γραφειοκρατικών διαδικασιών. Η προσέγγιση αυτή διασφαλίζει τη συνέχιση των θεραπειών που παρέχουν αποδεδειγμένο και συνεχιζόμενο κλινικό όφελος, λαμβάνοντας υπόψη τη μακροχρόνια και συχνά μη υποκαταστάσιμη σχέση μεταξύ θεραπείας και νόσου.
8. Να διασφαλιστεί ότι δεν διακόπτεται καμία θεραπεία λόγω εκκρεμούς επανέγκρισης.

9. Να αναγνωρίζονται ως αποδεκτά τεκμήρια:

- * γνώμη εξειδικευμένου κέντρου,
- * γνωμοδότηση ιατρού με αποδεδειγμένη εμπειρία στη νόσο,
- * δεδομένα μητρώων,
- * real-world evidence,
- * διεθνή κλινικά δεδομένα,
- * δεδομένα από European Reference Networks,
- * surrogate endpoints,
- * δεδομένα από FDA accelerated approval ή άλλα αξιόπιστα ρυθμιστικά πλαίσια.

10. Να προβλεφθεί ρητά η δυνατότητα αξιολόγησης και αποζημίωσης τεκμηριωμένων off-label χρήσεων σε Σπάνια Νοσήματα, παιδιατρικούς καρκίνους και περιπτώσεις χωρίς θεραπευτική εναλλακτική.

11. Να δημιουργηθεί ειδική γραμμή υποστήριξης για Σ.Η.Π. και Σπάνια Νοσήματα.

12. Να δημιουργηθεί ενιαίος ψηφιακός φάκελος ασθενούς με Σπάνια Νοσήματα σε σύνδεση με τα Μητρώα Σπανίων, ώστε να μη ζητούνται επανειλημμένα τα ίδια στοιχεία.

Προτεινόμενη νομοτεχνική προσθήκη

Προτείνεται να προστεθεί νέα περίπτωση στην παρ. 1 του άρθρου 265 ν. 4512/2018 ως εξής:

«στ) Φάρμακα που δεν περιλαμβάνονται στον Κατάλογο Αποζημιούμενων Φαρμάκων, δεν έχουν αξιολογηθεί ή τελούν σε εκκρεμή διαδικασία αξιολόγησης ή αποζημίωσης, και ζητείται να χορηγηθούν κατ' εξαίρεση για νόσους ή παθολογικές καταστάσεις άμεσα απειλητικές για τη ζωή, ταχέως εξελισσόμενες ή ικανές να προκαλέσουν ανήκεστη βλάβη στην υγεία, ιδίως όταν δεν υφίσταται διαθέσιμη θεραπευτική εναλλακτική».

Προτείνεται επίσης η προσθήκη ειδικής παραγράφου

«Για φάρμακα που αφορούν σπάνια ή υπερ-σπάνια νοσήματα, ή υποπληθυσμούς αυτών, με απειλητικές για τη ζωή καταστάσεις ή καταστάσεις που συνοδεύονται από σοβαρή αναπηρία, καθώς και για παιδιατρικούς πληθυσμούς, η μη πλήρωση του κριτηρίου αποζημίωσης σε άλλα κράτη μέλη δεν συνιστά αυτοτελή λόγο απόρριψης του αιτήματος. Στις περιπτώσεις αυτές συνεκτιμώνται ιδίως η τεκμηριωμένη ιατρική ανάγκη, η απουσία θεραπευτικής εναλλακτικής, η γνώμη εξειδικευμένου κέντρου ή θεράπωντος ιατρού με εμπειρία στη συγκεκριμένη νόσο, διεθνή επιστημονικά δεδομένα, δεδομένα πραγματικού κόσμου (real-world data), δεδομένα μητρώων ασθενών, καθώς και τυχόν έγκριση ή θετική αξιολόγηση από αναγνωρισμένο ρυθμιστικό οργανισμό.»

Και ειδική πρόβλεψη για προθεσμίες

«Τα αιτήματα που αφορούν απειλητικές για τη ζωή, ταχέως εξελισσόμενες, σπάνιες ή υπερ-σπάνιες παθήσεις εξετάζονται κατά προτεραιότητα εντός δέκα (10) εργάσιμων ημερών. Σε περίπτωση άπρακτης παρέλευσης της προθεσμίας, δύναται να χορηγείται προσωρινή έγκριση, εφόσον τεκμηριώνεται επείγουσα ιατρική ανάγκη και δεν υφίσταται διαθέσιμη θεραπευτική εναλλακτική.»

Συμπέρασμα:

Το Άρθρο 12 χρειάζεται ουσιαστική αναδιατύπωση, ώστε το Σ.Η.Π. να μη μετατραπεί σε μηχανισμό αποκλεισμού των ασθενών που έχουν τη μεγαλύτερη ανάγκη πρόσβασης. Για τα σπάνια, υποπληθυσμούς τους, και υπερ-σπάνια νοσήματα, η καθυστέρηση δεν είναι απλώς διοικητικό πρόβλημα: μπορεί να σημαίνει απώλεια λειτουργικότητας, μη αναστρέψιμη επιδείνωση ή απώλεια ζωής.

Η πρόσβαση σε θεραπεία πρέπει να θεμελιώνεται πρωτίστως στην τεκμηριωμένη ιατρική ανάγκη, και όχι στην ταχύτητα αποζημίωσης άλλων κρατών, στις εμπορικές επιλογές του ΚΑΚ ή σε διοικητικές εκκρεμότητες.

Ενδεικτική βιβλιογραφία / πηγές τεκμηρίωσης

1. European Commission – Rare diseases and European Reference Networks: στοιχεία για 27–36 εκατ. ασθενείς στην ΕΕ, 6.000–8.000 σπάνια νοσήματα, γενετική προέλευση και παιδική έναρξη. ([Public Health][1])
2. European Parliament Research Service, *World Rare Diseases Day 2025*: στοιχεία για 95% σπάνιων νοσημάτων χωρίς εγκεκριμένη θεραπεία και 30% θνησιμότητα πριν την ηλικία των 5 ετών. ([European Parliament][5])
3. EMA – *Support for early access*: compassionate use για ασθενείς με ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη. ([European Medicines Agency (EMA)][3])
4. FDA – *Accelerated Approval Program*: δυνατότητα ταχύτερης έγκρισης για σοβαρές παθήσεις με ανεκπλήρωτη ανάγκη βάσει surrogate endpoints. ([U.S. Food and Drug Administration][6])
5. Regulation (EC) No 141/2000 on orphan medicinal products: ευρωπαϊκό πλαίσιο για ορφανά φάρμακα. ([Eur-Lex][7])
6. Berlanga et al., JAMA Network Open, 2023: off-label και compassionate use στην παιδιατρική ογκολογία. ([JAMA Network][4])
7. Yuan et al., 2024: υψηλή συχνότητα off-label συνταγογράφησης σε παιδιατρικούς νοσηλευόμενους ασθενείς. ([spandidos-publications.com][8])

[1]: https://health.ec.europa.eu/rare-diseases-and-european-reference-networks/rare-diseases_en?utm_source=chatgpt.com «Rare diseases – Public Health – European Commission»

[2]: https://ec.europa.eu/newsroom/sante/newsletter-archives/69204?utm_source=chatgpt.com «European Reference Networks: First monitoring report published»

[3]: https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/support-early-access?utm_source=chatgpt.com «Support for early access | European Medicines Agency (EMA)»

[4]: https://jamanetwork.com/journals/jamanetworkopen/fullarticle/2806832?utm_source=chatgpt.com «Use of Compassionate and Off-Label Therapies for ...»

[5]: https://www.europarl.europa.eu/RegData/etudes/ATAG/2025/769503/EPRS_ATA%282025%29769503_EN.pdf?utm_source=chatgpt.com «World Rare Diseases Day 2025 – European Parliament»

[6]: https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/accelerated-approval-program?utm_source=chatgpt.com «Accelerated Approval Program»

[7]: https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/HTML/?uri=CELEX%3A32000R0141&utm_source=chatgpt.com «EUR-Lex – 32000R0141 – EN – European Union»

[8]: https://www.spandidos-publications.com/10.3892/etm.2024.12701?utm_source=chatgpt.com «Off-label and unapproved pediatric drug utilization»

Νομοθετική πρόταση αμφίβολης δημοσιονομικά αποτελεσματικότητας

Η οικονομική αναλογικότητα και η πραγματική επίπτωση στον φαρμακευτικό προϋπολογισμό των προτεινόμενων μέτρων δεν τεκμηριώνονται από καμία δημοσιευμένη ή τεκμηριωμένη μελέτη αξιολόγησης οικονομικού ή υγειονομικού αντικτύπου, ούτε από ανάλυση κόστους-αποτελεσματικότητας.

Ως εκ τούτου, δεν προκύπτει ότι τα εισαγόμενα μέτρα θα επιτύχουν τον επιδιωκόμενο δημοσιονομικό στόχο ή τη βελτίωση της αποδοτικότητας του συστήματος. Αντιθέτως, ενέχουν σοβαρό κίνδυνο περιορισμού της πρόσβασης και θέτουν σε κίνδυνο την υγεία και τη ζωή χιλιάδων παιδιατρικών και ενήλικων Ελλήνων ασθενών, ιδίως όσων πάσχουν από σπάνια και απειλητικά για τη ζωή νοσήματα, τα οποία συχνά οδηγούν σε σημαντική αναπηρία.

Η προτεινόμενη ρύθμιση φαίνεται να στηρίζεται σε εκτιμώμενο περιορισμό της φαρμακευτικής δαπάνης, χωρίς να συνοδεύεται από δομημένη και δημοσιευμένη μελέτη αξιολόγησης της αποτελεσματικότητας των αυστηρότερων προϋποθέσεων πρόσβασης. Ωστόσο, ιδίως ως προς τα ορφανά φάρμακα και τις θεραπείες για υπερ-σπάνια νοσήματα, η προσέγγιση αυτή είναι δυσανάλογη, κοινωνικά άδικη και δημοσιονομικά αμφίβολης αποτελεσματικότητας.

Η διεθνής βιβλιογραφία καταδεικνύει ότι, παρά το υψηλό κόστος ανά ασθενή, τα ορφανά φάρμακα αντιπροσωπεύουν μικρό ποσοστό της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης, λόγω του εξαιρετικά περιορισμένου αριθμού ασθενών. Μελέτη σε ευρωπαϊκό επίπεδο εκτίμησε ότι το μερίδιο των ορφανών φαρμάκων στη συνολική φαρμακευτική αγορά αυξήθηκε από 3,3% το 2010 σε περίπου 4,6% το 2016, με τάση σταθεροποίησης στη συνέχεια· ακόμα και σε ανάλυση ευαισθησίας, το ανώτατο εύρος εκτιμήθηκε στο 6,6%. (PubMed)

Αντίστοιχα, ευρωπαϊκά δεδομένα της IQVIA, όπως παρουσιάστηκαν από το EURORDIS, δείχνουν ότι το 2016 οι εγκεκριμένες ορφανές θεραπείες αντιστοιχούσαν σε περίπου 3,5% της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης σε ευρωπαϊκό επίπεδο, ενώ συνέβαλαν μόλις κατά 6,6% στην ετήσια αύξησή της. (download2.eurordis.org)

Τα δεδομένα αυτά καταδεικνύουν ότι ο αποκλεισμός ή η καθυστέρηση πρόσβασης σε ορφανά φάρμακα δεν συνιστά ουσιαστικό εργαλείο δημοσιονομικής εξυγίανσης. Αντιθέτως, μεταφέρει δυσανάλογο βάρος στους ασθενείς με τη μεγαλύτερη ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη, χωρίς να επιφέρει ανάλογο ή αποδεδειγμένο όφελος για τον συνολικό προϋπολογισμό.

Επιπλέον, η πραγματική εξέλιξη της δαπάνης στα κανάλια έκτακτης πρόσβασης δεν οφείλεται κατ' ανάγκη στον περιορισμένο αριθμό ορφανών θεραπειών, ούτε μπορεί να αποδοθεί γενικώς στη διάρκεια παραμονής τους σε μεταβατικά καθεστώτα. Ιδίως όταν πρόκειται για θεραπείες που αφορούν Σπάνιες Παθήσεις, για τις οποίες —όπως ήδη αναφέρεται— η ένταξη σε τυπικές και μόνιμες διαδικασίες αξιολόγησης και αποζημίωσης δεν είναι πάντοτε ρεαλιστική ή εφικτή, οι μηχανισμοί έκτακτης πρόσβασης επιτελούν κρίσιμο ρόλο ως αναγκαίο θεσμικό δίκτυο ασφαλείας για ασθενείς με ανικανοποίητες ιατρικές ανάγκες.

Συνεπώς, η ορθή λύση δεν είναι ο αποκλεισμός των ασθενών, αλλά η ταχύτερη θεσμική διαδρομή, η έγκαιρη αξιολόγηση, η στοχευμένη διαπραγμάτευση και η δημιουργία διακριτού προϋπολογισμού για ορφανά φάρμακα ή ΙΦΕΤ. Η προσέγγιση αυτή συνάδει με τη θεσμική λογική που έχει αναγνωριστεί και σε επίπεδο νομολογίας, σύμφωνα με την οποία τα ορφανά φάρμακα αποτελούν όλως ειδική κατηγορία, με προβλέσιμο και περιορισμένο πληθυσμό ασθενών και σαφώς καθορισμένη κλινική ανάγκη, και ως εκ τούτου δεν ενδείκνυται να υπόκεινται σε οριζόντια κριτήρια αποκλεισμού ή μέτρα που ακυρώνουν στην πράξη τον προστατευτικό και εξισορροπητικό τους ρόλο στο σύστημα υγείας.

Επομένως, δεν προκύπτει από καμία δημοσιευμένη μελέτη ότι η προτεινόμενη ρύθμιση επιτυγχάνει δίκαιο εξορθολογισμό της δαπάνης. Αντιθέτως, ενέχει τον κίνδυνο δημιουργίας ενός συστήματος όπου η δημοσιονομική επίπτωση είναι περιορισμένη, αλλά η ανθρώπινη επίπτωση εξαιρετικά βαριά: παιδιά και ενήλικες με σπάνια, υπερ-σπάνια και απειλητικά για τη ζωή νοσήματα, τα οποία συχνά οδηγούν σε σοβαρή αναπηρία, ενδέχεται να στερηθούν τη μόνη διαθέσιμη θεραπευτική επιλογή.

Η Πολιτεία δεν μπορεί, ελλείψει δημοσιευμένων και τεκμηριωμένων δεδομένων, να επιδιώκει εξοικονόμηση μέσω της καθυστέρησης ή της άρνησης πρόσβασης σε θεραπείες που αφορούν μικρούς πληθυσμούς ασθενών με τη μεγαλύτερη ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη. Μια τέτοια επιλογή είναι ταυτόχρονα άδικη, αντιπαραγωγική και αντίθετη προς τη λογική και τις αρχές του εθνικού και ευρωπαϊκού πλαισίου για τα Σπάνια Νοσήματα.

Συνεπώς, εάν ο στόχος είναι η διασφάλιση της δημοσιονομικής βιωσιμότητας, το κατάλληλο εργαλείο δεν είναι ο αποκλεισμός, αλλά:

- η πρόβλεψη διακριτού και προβλέψιμου προϋπολογισμού για τα ορφανά φάρμακα,
- η ταχεία αξιολόγηση και διαπραγμάτευση,
- οι συμφωνίες επιμερισμού κινδύνου,
- η ανάπτυξη και αξιοποίηση μητρώων ασθενών και δεδομένων πραγματικού κόσμου (real-world evidence),
- ο έλεγχος της διάρκειας παραμονής σε καθεστώς έκτακτης εισαγωγής,

και όχι η επιβολή οριζόντιων κριτηρίων που αποκλείουν ασθενείς πριν ακόμη αξιολογηθεί η πραγματική ιατρική τους ανάγκη.

Ενδεικτική βιβλιογραφία

Α. Ελληνική νομοθεσία / θεσμικό πλαίσιο

Σύνταγμα της Ελλάδας, άρθρο 21 παρ. 3 — κρατική μέριμνα για την υγεία και ειδική προστασία ευάλωτων ομάδων. (Eur-Lex)

Ν. 4512/2018, άρθρα 249 και 265 — αξιολόγηση και αποζημίωση φαρμάκων, καθώς και Σύστημα Ηλεκτρονικής Προέγκρισης (Σ.Η.Π.). (ΣΦΕΕ)

Ν. 3816/2010, άρθρο 12 παρ. 2 — φάρμακα υψηλού κόστους ειδικών παθήσεων.

Ν. 5161/2024, άρθρο 19 — τροποποιήσεις στο πλαίσιο αξιολόγησης και αποζημίωσης φαρμάκων.

Κατάλογος Αποζημιούμενων Φαρμάκων / Θετικός Κατάλογος — εφαρμοστικό πλαίσιο αποζημίωσης φαρμάκων στην Ελλάδα.

Σύστημα Ηλεκτρονικής Προέγκρισης (Σ.Η.Π.) ΕΟΠΥΥ — διαδικασία προέγκρισης φαρμάκων ειδικών κατηγοριών.

Β. Ευρωπαϊκή νομοθεσία / κανονιστικό πλαίσιο

Κανονισμός (ΕΚ) 141/2000 για τα ορφανά φάρμακα — θεσπίζει τη διαδικασία χαρακτηρισμού ορφανών φαρμάκων και τα κίνητρα για ανάπτυξη και διάθεσή τους. (Eur-Lex)

Κανονισμός (ΕΚ) 726/2004 — κεντρική διαδικασία έγκρισης φαρμάκων από τον EMA.

Κανονισμός (ΕΚ) 847/2000 — εφαρμοστικές διατάξεις για τον χαρακτηρισμό ορφανών φαρμάκων.

Κανονισμός (ΕΕ) 2021/2282 για την Αξιολόγηση Τεχνολογιών Υγείας (HTA Regulation) — κοινό ευρωπαϊκό πλαίσιο αξιολόγησης τεχνολογιών υγείας.

Χάρτης Θεμελιωδών Δικαιωμάτων της ΕΕ, άρθρο 35 — δικαίωμα πρόσβασης στην υγειονομική περίθαλψη.

Οδηγία 2011/24/ΕΕ — δικαιώματα ασθενών στη διασυνοριακή υγειονομική περίθαλψη.

Γ. Ευρωπαϊκοί οργανισμοί / θεσμικές πηγές

European Commission – Orphan medicinal products — περιγράφει τη λογική των κινήτρων για έρευνα, ανάπτυξη και διάθεση ορφανών φαρμάκων. (Public Health)

European Medicines Agency (EMA) – Orphan designation legal framework — επίσημη περιγραφή του ευρωπαϊκού πλαισίου για ορφανά φάρμακα. (European Medicines Agency (EMA))

EMA – Support for early access / compassionate use — θεσμική αναγνώριση μηχανισμών πρώιμης πρόσβασης για ασθενείς με ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη.

European Reference Networks (ERNs) — ευρωπαϊκά δίκτυα εμπειρογνωμοσύνης για σπάνια και πολύπλοκα νοσήματα.

Δ. Στοιχεία πρόσβασης και καθυστερήσεων

EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2024 Survey — στοιχεία για καθυστερήσεις διαθεσιμότητας και πρόσβασης σε καινοτόμες θεραπείες στην Ευρώπη. (EFPIA)

ΣΦΕΕ / EFPIA WAIT Indicator για Ελλάδα — για τα ορφανά φάρμακα στην Ελλάδα καταγράφεται διαθεσιμότητα 36% και χρόνος διαθεσιμότητας 704 ημέρες. (ΣΦΕΕ)

IQVIA / EURORDIS στοιχεία για τη δαπάνη ορφανών φαρμάκων — τα ορφανά φάρμακα αντιστοιχούν σε μικρό ποσοστό της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης.

Ε. Επιστημονική βιβλιογραφία / τεκμηρίωση

EvaluatePharma / Schey et al. — ανάλυση της επίπτωσης των ορφανών φαρμάκων στον ευρωπαϊκό φαρμακευτικό προϋπολογισμό, με εκτίμηση περιορισμένου συνολικού budget impact. (Eur-Lex)

JAMA Network Open – Off-label και compassionate use στην παιδιατρική ογκολογία — τεκμηρίωση της πρακτικής σημασίας της off-label χρήσης σε παιδιατρικούς και ογκολογικούς πληθυσμούς.

Orphanet / Rare Diseases Europe — επιδημιολογικά δεδομένα για σπάνια νοσήματα, ορφανά φάρμακα και ευρωπαϊκές εγκρίσεις.

EURORDIS – Rare Diseases Europe — στοιχεία για ανεκπλήρωτες ανάγκες, πρόσβαση, καθυστερήσεις και κοινωνικοοικονομικές επιπτώσεις των σπάνιων νοσημάτων.

ΣΤ. Πηγές για τη λογική του νομοθέτη

Αιτιολογικές σκέψεις Κανονισμού (ΕΚ) 141/2000 — αναγνωρίζουν ότι οι ασθενείς με σπάνια νοσήματα πρέπει να έχουν την ίδια ποιότητα θεραπείας με τους λοιπούς ασθενείς και ότι απαιτούνται ειδικά κίνητρα για την ανάπτυξη ορφανών φαρμάκων. (Eur-Lex) Άρθρο 249 ν. 4512/2018 — αναδεικνύει ως κριτήρια αξιολόγησης την κλινική αξία, το θεραπευτικό όφελος, την ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη και τη σοβαρότητα της νόσου. (Kyriakides Georgopoulos Law Firm)

European Commission Pharmaceutical Strategy / rare diseases policy — υποστηρίζει την ανάγκη βελτίωσης της πρόσβασης σε θεραπείες για ανεκπλήρωτες ιατρικές ανάγκες και σπάνια νοσήματα.

Νομικό και θεσμικό πλαίσιο προστασίας της πρόσβασης σε ορφανά φάρμακα και θεραπείες για Σπάνια Νοσήματα

Η πρόσβαση των ασθενών με Σπάνια Νοσήματα σε κατάλληλη θεραπεία δεν αποτελεί απλώς ζήτημα φαρμακευτικής πολιτικής, αλλά συνδέεται άμεσα με θεμελιώδεις αρχές του ελληνικού και ευρωπαϊκού δικαίου.

Στο ελληνικό συνταγματικό πλαίσιο, το άρθρο 21 παρ. 3 του Συντάγματος προβλέπει ότι το Κράτος μεριμνά για την υγεία των πολιτών και λαμβάνει ειδικά μέτρα για την προστασία ευάλωτων ομάδων, ενώ το ίδιο άρθρο αναγνωρίζει ειδική κρατική φροντίδα για άτομα που πάσχουν από ανίατη σωματική ή πνευματική νόσο. Συνεπώς, κάθε ρύθμιση που αφορά ασθενείς με σπάνια, σοβαρά ή απειλητικά για τη ζωή νοσήματα πρέπει να ερμηνεύεται υπό το πρίσμα της ενισχυμένης προστασίας της υγείας και της αρχής της αναλογικότητας. (Hellenic Parliament).

Σε ευρωπαϊκό επίπεδο, ο Κανονισμός (ΕΚ) 141/2000 για τα ορφανά φάρμακα θεσπίστηκε ακριβώς επειδή η αγορά, από μόνη της, δεν επαρκεί για την ανάπτυξη και διάθεση θεραπειών για μικρούς πληθυσμούς ασθενών. Η λογική του Ευρωπαϊού νομοθέτη είναι σαφής: οι ασθενείς με Σπάνια Νοσήματα πρέπει να έχουν δικαίωμα σε ίδια ποιότητα θεραπείας με τους λοιπούς ασθενείς, παρά το μικρό μέγεθος του πληθυσμού και την περιορισμένη εμπορική ελκυστικότητα των σχετικών θεραπειών. (Public Health)

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων αναγνωρίζει ότι τα Σπάνια Νοσήματα συνιστούν σημαντική ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη και ότι ο Κανονισμός για τα ορφανά φάρμακα έχει κεντρικό ρόλο στη διευκόλυνση της ανάπτυξης και έγκρισης φαρμάκων για αυτές τις παθήσεις. Περίπου 36 εκατομμύρια άνθρωποι στην Ε.Ε. ζουν με Σπάνια Νόσο, γεγονός που καταδεικνύει ότι πρόκειται για ζήτημα δημόσιας υγείας, και όχι για περιθωριακή κατηγορία ασθενών. (European Medicines Agency (EMA))

Η ίδια προστατευτική λογική αποτυπώνεται και στο ελληνικό σύστημα αξιολόγησης και αποζημίωσης, καθώς το άρθρο 249 του ν. 4512/2018 περιλαμβάνει ως βασικά κριτήρια αξιολόγησης το κλινικό όφελος, τη σοβαρότητα και το φορτίο της νόσου, την επίδραση στη θνητότητα και νοσηρότητα, καθώς και την ύπαρξη διαθέσιμων θεραπευτικών επιλογών. Δηλαδή, ο Έλληνας νομοθέτης έχει ήδη αναγνωρίσει ότι η αξιολόγηση δεν μπορεί να στηρίζεται αποκλειστικά σε οριζόντια διοικητικά κριτήρια, αλλά πρέπει να συνεκτιμά την πραγματική κλινική ανάγκη. (Lawspot)

Περαιτέρω, το υφιστάμενο ελληνικό πλαίσιο έχει προβλέψει ειδικές εξαιρέσεις για ορφανά φάρμακα και για φάρμακα μεσογειακής αναιμίας και δρεπανοκυτταρικής νόσου, γεγονός που επιβεβαιώνει ότι ο εθνικός νομοθέτης αναγνωρίζει ήδη την ανάγκη διαφοροποιημένης μεταχείρισης συγκεκριμένων σοβαρών και Σπάνιων Παθήσεων. (opengon.gr)

Υπό τα ανωτέρω, η εισαγωγή οριζόντιου κριτηρίου αποζημίωσης σε 5 από 11 κράτη μέλη, ή 4 από 11 για ορφανά φάρμακα, δεν είναι συμβατή με τη λογική τόσο του ελληνικού όσο και του ευρωπαϊκού πλαισίου προστασίας. Αντί να λαμβάνει υπόψη την ιδιαιτερότητα των Σπανίων Νοσημάτων, τα αντιμετωπίζει με όρους κοινής αγοράς και μαζικής διαθεσιμότητας.

Η προσέγγιση αυτή είναι αντίθετη με τον ίδιο τον λόγο ύπαρξης της νομοθεσίας για τα ορφανά φάρμακα: να μην αποκλείονται οι ασθενείς επειδή είναι λίγοι και έχουν μεγάλη ακάλυπτη ανάγκη.

Επιπρόσθετα, το αντίστοιχο κριτήριο αποζημίωσης σε 5 από 11 κράτη μέλη δεν εφαρμόζεται καν στο πλαίσιο της τακτικής διαδικασίας αξιολόγησης και λήψης επίσημης αποζημίωσης όταν πρόκειται σε ορφανά φάρμακα. Υπό το πρίσμα αυτό, η προσπάθεια εφαρμογής σχετικού εξωτερικού κριτηρίου στον μηχανισμό κατ' εξαίρεση πρόσβασης, ο οποίος λειτουργεί ως δίκτυ ασφαλείας για ασθενείς που έχουν ανάγκη θεραπειών μη διαθέσιμων στη χώρα, καθίσταται ακόμα λιγότερο εύλογη και αναλογική.

Σχετική νομοθεσία, δικαιώματα ασθενών και βιβλιογραφία

A. Ελληνικό συνταγματικό και νομοθετικό πλαίσιο

Σύνταγμα της Ελλάδας – Άρθρο 21 παρ. 3 (Δικαίωμα στην υγεία και ειδική προστασία ευάλωτων ομάδων)

<https://www.hellenicparliament.gr/vouli-ton-ellinon/to-politevma/syntagma/article-21/>

N. 4512/2018 – Άρθρο 249 (Κριτήρια αξιολόγησης φαρμάκων: κλινική αξία, ανεκπλήρωτη ανάγκη, σοβαρότητα νόσου)

<https://www.lawspot.gr/nomothesia/n-4512-2018/arthro-249>

N. 4512/2018 – Άρθρο 265 (Σύστημα Ηλεκτρονικής Προέγκρισης – ΣΗΠ)

N. 3816/2010 – Άρθρο 12 (Φάρμακα υψηλού κόστους)

N. 5161/2024 – Τροποποιήσεις HTA και αποζημίωσης φαρμάκων

B. Ευρωπαϊκό δίκαιο και κανονιστικό πλαίσιο

Κανονισμός (ΕΚ) 141/2000 για τα ορφανά φάρμακα

<https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32000R0141>

Κανονισμός (ΕΚ) 726/2004 (Κεντρική έγκριση EMA)

<https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32004R0726>

Κανονισμός (ΕΕ) 2021/2282 (HTA Regulation)

<https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2021/2282>

Οδηγία 2011/24/ΕΕ (Διασυνοριακή περίθαλψη)

<https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EL/TXT/?uri=CELEX:32011L0024>

Γ. Θεμελιώδη δικαιώματα ασθενών (ΕΕ)

Χάρτης Θεμελιωδών Δικαιωμάτων της ΕΕ – Άρθρο 35 (Δικαίωμα στην υγεία)

<https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EL/TXT/?uri=CELEX:12012P/TXT>

European Patients' Rights Charter (Active Citizenship Network)

https://ec.europa.eu/health/sites/default/files/ph_overview/co_operation/docs/health_services_c_o108_en.pdf

EURORDIS – Δικαιώματα ασθενών με σπάνια νοσήματα

<https://www.eurordis.org>



Δ. Διεθνές δίκαιο – ΟΗΕ και ανθρώπινα δικαιώματα

Οικουμενική Διακήρυξη Δικαιωμάτων του Ανθρώπου (ΟΗΕ) – Άρθρο 25

(Δικαίωμα σε υγεία και ιατρική φροντίδα)

<https://www.un.org/en/about-us/universal-declaration-of-human-rights>

Διεθνές Σύμφωνο Οικονομικών, Κοινωνικών και Πολιτιστικών Δικαιωμάτων – Άρθρο 12

<https://www.ohchr.org/en/instruments-mechanisms/instruments/international-covenant-economic-social-and-cultural-rights>

UN Convention on the Rights of the Child – Άρθρο 24

<https://www.ohchr.org/en/instruments-mechanisms/instruments/convention-rights-child>

UN Convention on the Rights of Persons with Disabilities – Άρθρο 25

<https://www.ohchr.org/en/instruments-mechanisms/instruments/convention-rights-persons-disabilities>

Ε. Παγκόσμιος Οργανισμός Υγείας (WHO)

WHO Constitution – Right to Health

<https://www.who.int/about/governance/constitution>

WHO – Universal Health Coverage (UHC)

<https://www.who.int/health-topics/universal-health-coverage>

WHO – Essential Medicines & Access

<https://www.who.int/teams/health-product-policy-and-standards/essential-medicines>

ΣΤ. Ευρωπαϊκοί οργανισμοί και πολιτικές για σπάνια νοσήματα

European Commission – Rare Diseases Policy

<https://health.ec.europa.eu/rare-diseases>

EMA – Orphan Medicines Framework

<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/orphan-designation>

EMA – Early Access / Compassionate Use

<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/support-early-access>

European Reference Networks (ERNs)

https://health.ec.europa.eu/european-reference-networks_en

Ζ. Στοιχεία πρόσβασης και ανισοτήτων

EFPIA WAIT Indicator 2024

<https://efpia.eu/media/oeganukm/efpia-patients-wait-indicator-2024-final-110425.pdf>

ΣΦΕΕ – Πρόσβαση σε καινοτόμες θεραπείες στην Ελλάδα

<https://www.sfee.gr/en/concern-about-greek-patients-access-to-new-innovative-treatments/>

Η. Οικονομική επίπτωση ορφανών φαρμάκων

Schey et al., Orphan drug expenditure in Europe

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/21951518/>

EURORDIS / IQVIA – Market share orphan drugs

https://download2.eurordis.org/symposium/2019/Presentations/Breakout_3_Angela_McFarlane.pdf

Θ. Επιστημονική τεκμηρίωση (off-label & σπάνια νοσήματα)

JAMA Network Open – Off-label use in oncology

<https://jamanetwork.com/journals/jamanetworkopen/fullarticle/2806832>

Spandidos Publications – Pediatric off-label prescribing

<https://www.spandidos-publications.com/10.3892/etm.2024.12701>

Orphanet – Rare disease epidemiology <https://www.orpha.net>