Heilbrigðisráðuneytið
Síðumúla 24
108 Reykjavík

28. febrúar 2023

Umsögn Icepharma um drög að reglugerð um notkun lyfja af mannúðarástæðum

Við fögnum því að settur verði rammi um notkun mannalyfja af mannúðarástæðum á Íslandi.

Velja skyldi klínískar prófanir umfram notkun lyfja af mannúðarástæðum, sé aðgengi að klínískri prófun möguleiki. Fremur fátítt er að ný lyf séu aðgengileg sjúklingum á Íslandi í gegnum yfirstandandi klínískar prófanir og því er sá möguleiki sem notkun lyfja af mannúðarástæðum veitir mikilvægur íslensku samfélagi. Til að tryggja aðgengi þarf ferlið að vera einfalt, skýrt og án hamlandi krafna.

Það er ljóst að þættir eins langur afgreiðslutími umsókna (allt að 7 vikur), boðuð gjaldtaka Lyfjastofnunar og krafa um að lyf séu afhent án endurgjalds eftir að þau hafa verið markaðssett eru hamlandi og virka því þvert gegn markmiði reglugerðarinnar. Þau drög sem nú eru í samráðsgátt eru því vonbrigði þar sem við teljum að drögin í óbreyttri mynd kæmu í veg fyrir notkun lyfja af mannúðarástæðum á Íslandi. Einnig lýsum við yfir vonbrigðum yfir því að fulltrúar markaðsleyfishafa hafi ekki verið hafðir með í vinnu starfshóps.

Hér á eftir rekjum við þau atriði í drögum reglugerðarinnar sem við teljum að gera þurfi breytingar á svo tryggja megi Íslendingum aðgengi að meðferðum lyfja af mannúðarástæðum.

1. grein – Gildissvið
Engar athugasemdir

2. grein – Markmið
Engar athugasemdir

3. grein – Skilgreiningar
Athugasemd: Varðandi 3. tl., *Umsækjandi*, þá liggur beinast við að meðferðarlæknir viðkomandi sjúklings sé umsækjandi notkunar lyfs af mannúðarástæðum en ekki markaðsleyfishafinn eða framleiðandinn. Ef miðað er við nágrannalönd þá eru meðferðarlæknar skilgreindir umsækjendur bæði í Danmörku og Noregi.

Við leggjum til að skilgreining á *umsækjanda* sé eftirfarandi: Meðferðarlæknir, sá læknir sem annast sjúkling sem óskar eftir meðferð af mannúðarástæðum.

4. grein – Skilyrði fyrir notkun lyfja af mannúðarástæðum

Athugasemd: Er notkun lyfja af mannúðarástæðum aðeins bundin við hóp sjúklinga? Hvað ef aðeins er um einn einstakling að ræða? Það virðist vera eins og umsóknin og ferlið í Danmörku og Noregi sé meira einstaklingsmiðað frekar en fyrir sjúklingahópa. Reynslan sýnir að á Íslandi er yfirleitt aðeins sótt um meðferð af mannúðarástæðum fyrir einn einstakling í einu. Þetta þarf að útskýra betur í reglugerðinni.

5. grein – Umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum

Athugasemd: Við gerum athugasemd varðandi gjaldtöku Lyfjastofnunar vegna umsókna um notkun lyfja af mannúðarástæðum. Slíkt gjald er ekki tekið af Lyfjastofnunum í Noregi og Danmörku enda skýtur það skökku við að í ferli eins og hér um ræðir þar sem meðferð er veitt af mannúðarástæðum ætli yfirvöld að rukka fyrir gjald.

Hér ætti umsækjandi að vera meðferðarlæknir. Einnig þarf að útskýra betur hvaða gögn Lyfjastofnun óskar eftir.

6. grein – Álit um notkun lyfs af mannúðarástæðum

Athugasemd: Vísað er í eftirfarandi orðalag í greininni: *„sem og í samráði við framleiðandann eða umsækjandann*.“ Samkvæmt skilgreiningu á umsækjanda í 3. tl. 3. greinar reglugerðarinnar er gert ráð fyrir að framleiðandinn sé umsækjandinn og því ruglingslegt í þessu tilfelli að tala um framleiðanda eða umsækjanda.

Við leggjum til líkt og í 3 tl. 3. greinar um skilgreiningar að umsækjandi sé hér meðferðarlæknir en ekki framleiðandi.

7. grein – Afgreiðsla umsóknar

Athugasemd: Við teljum að 35 virkir dagar sé alltof langur tími fyrir sjúklinga í brýnni þörf fyrir meðferð og með sjúkdóm sem veldur langvarandi eða alvarlegri fötlun eða sjúkdóm sem er talinn vera lífshættulegur. Þess má geta að Lyfjastofnun Danmerkur tekur sér 2 daga til þess að afgreiða umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum, uppfylli umsóknin skilyrði þess efnis.

8. grein – Öryggi lyfs

Athugasemd: Teljum þessa grein vera óskýra. Hver á að tilkynna aukaverkanir? Er það umsækjandi eða meðferðarlæknir? Vegna persónuverndarsjónarmiða ætti aðeins meðferðarlæknir að vera með slíkar upplýsingar.

9. grein – Kostnaður og aðgengi að lyfinu eftir að lyf hefur fengið markaðsleyfi

Athugasemd: Í 83. gr. reglugerðar Evrópuþingsins og Ráðsins nr. 726/2004, segir að þegar búið er að setja af stað áætlun um notkun af mannúðarástæðum skal umsækjandi (framleiðandi) sjá til þess að sjúklingar, sem taka þátt í henni, hafi einnig aðgang að nýja lyfinu á tímabilinu á milli leyfisveitingar og setningar á markað.

Hér kemur skýrt fram að skyldur framleiðanda til að útvega lyfið gilda þar til lyfið er markaðssett, eftir markaðsetningu tekur almennt greiðsluþátttökukerfi við líkt og við á um öll önnur

markaðssett lyf. Hvergi kemur fram í reglugerð Evrópuþingsins að afhenda skuli lyf án kostnaðar eftir að lyf er markaðssett. Krafa um að lyf sé afhent án endurgjalds svo lengi sem klínísk þörf er á að mati meðferðarlæknis er með öllu óásættanleg.

Við leggjum til að eftirfarandi setning verði felld út úr reglugerð: *„Eftir þann tíma skal umsækjandi tryggja þeim sjúklingum sem hafa notað lyfið, aðgang að því, án kostnaðar, svo lengi sem klínísk þörf er á að mati meðferðarlæknis."*

Við leggjum einnig til að orðalagi verði breytt, „*nýja*" fjarlægt úr eftirfarandi setningu: ,,Eftir að lyf hefur verið sett á markað á Íslandi gilda almennar reglur um greiðsluþátttöku fyrir ~~nýja~~ sjúklinga."

10. grein – Innflutningur og dreifing lyfja sem hafa fengið heimild til notkunar af mannúðarástæðum

Engar athugasemdir

11. grein - Breytingar á heimild notkunar lyfs af mannúðarástæðum

Ahugasemd: Sbr. 7. grein þá eru 35 dagar til viðbótar til að afgreiða umsókn um breytingu langur tími fyrir sjúklinga í brýnni þörf á meðferð.

Leggjum til líkt og áður í 3 tl. 3. greinar um skilgreiningar að umsækjandi sé hér meðferðarlæknir en ekki framleiðandi.

12. grein – Tilkynning umsækjanda

Athugasemd: Hér setjum við spurningarmerki varðandi persónuverndarsjónarmið. Við vísum aftur í skilgreiningu fyrir umsækjanda í 3. tl. 3 gr. Vegna persónuverndarsjónarmiða ætti aðeins meðferðarlæknir að vera með persónuupplýsingar sjúklinga.

13. grein – Stöðvun notkunar lyfs af mannúðarástæðum

Engar athugasemdir

14. grein – Lagastoð og gildistaka

Engar athugasemdir