

Heilbrigðisráðuneytið
Síðumúla 24
108 Reykjavík.

Reykjavík 28. febrúar 2023

Efni: Drög að reglugerð um notkun mannalyfja af mannúðarástæðum - umsögn

Forsaga málsins

Um árabil hefur verið kallað eftir skýrari reglum og umgjörð varðandi notkun mannalyfja af mannúðarástæðum. Í kjölfar þess að ráðherra skipaði starfshópinn þann 21. september 2021, minntum við á mikilvægi þess að við fengjum tækifæri til að koma sjónarmiðum okkar á framfæri við undirbúning reglugerðarinnar, enda hafði áður töluverð vinna farið fram í sameiginlegum vinnuhópi Frumtaka og Landspítala varðandi notkun lyfja af mannúðarástæðum. Við tókum fram að við værum að sjálfsögðu tilbúin til samtals við starfshópinn vegna þessa. Það samtal átti sér aldrei stað.

Hugtakið *lyf til notkunar af mannúðarástæðum* er tengt notkun lyfja sem enn eru í rannsóknar- og eða í umsóknarferli og eru ætluð sjúklingum með alvarlega sjúkdóma sem ekki er hægt að meðhöndla á viðunandi hátt með lyfum sem þegar hafa hlotið markaðsleyfi. Ef mögulegt er, ætti ávallt að velja þátttöku í klínískri rannsókn fram yfir notkun lyfja af mannúðarástæðum. En þar sem aðgengi að klínískum rannsóknum á Íslandi er verulega takmarkað er mikilvægt að tryggja sem kostur er íslenskum sjúklingum aðgengi að lyfum af mannúðarástæðum. Ferlið í kringum notkunina verður að vera einfalt og skýrt og lágmarka verður sem frekast er unnt hverskonar hömlur með flóknu og tímafreku umsóknarferli, gjaldtöku og kröfu um að lyf verði afhent án endurgjalds eftir að þau hafa verið markaðssett.

Því miður virðist sem sjónarmið okkar og aðildarfyrirtækja okkar hafi hvorki verið höfð til hliðsjónar né haft hljómgrunn við gerð þessara draga. Þau drög sem hér eru til umfjöllunar eru okkur vonbrigði og ljóst að taki þau ekki breytingum í veigamiklum atriðum frá því sem nú er, verður erfitt um vik varðandi notkun lyfja af mannúðarástæðum hér á landi. Sú umgjörð sem hér er lögð til er að óbreyttu óaðgengileg.

Eftirfarandi eru efnislegar athugasemdir okkar við einstaka greinar.

Drögin – efnislegar athugasemdir

1. gr. - Gildissvið

Ekki er gerð athugasemd við greinina.

2. gr. - Markmið

Ekki er gerð efnisleg athugasemd við greinina. Markmiðið er ágætt, en greinarnar sem á eftir koma vinna, að okkar mati, margar þvert gegn markmiðinu. Mikilvægt er að missa ekki sjónar á tilgangi reglugerðinnar og því markmiði „að veita sjúklingum aðgengi að lyfjum, sem eru í yfirstandandi klínískum prófunum eða lyfjum sem hafa ekki fengið markaðsleyfi en sótt hefur verið um miðlægt markaðsleyfi fyrir“. Sjúklingurinn hlýtur ávallt að vera hér í forgrunni og markmiðið á að vera að mæta þörfum hans eins og kostur er.

3. gr. - Skilgreiningar

Varðandi 3. tl., *umsækjandi*. Umsókn, eða m.ö.o. beiðni um notkun lyfs af mannúðarástæðum, getur aðeins komið frá lækni viðkomandi sjúklings en hvorki frá markaðsleyfishafa né framleiðanda lyfs sem verið er að prófa í klínískri prófun. Þá þarf í reglugerðinni að skilgreina og skýra stöðu verðandi markaðsleyfishafa og meðferðaraðila, þ.e. þann sérfræðing sem sér um meðferð og samskipti við sjúkling meðan á meðferð með lyfi af mannúðarástæðum stendur.

4. gr. - Skilyrði fyrir notkun lyfja af mannúðarástæðum

Reglugerðin kveður skýrt á um að það sé verkefni Lyfjastofnunar að heimila notkun lyfs af mannúðarástæðum. Skilyrðin fyrir því að veita heimildina, líkt og talin eru til í greinni eru óljós, sér í lagi liðir c og d, sem þarf að taka til nánari skoðunar. Þar sem Lyfjastofnun eru ætlaðir að hámarki 35 virkir dagar skv. 7. gr. til að fara yfir umsókn má ætla að stofnunin sjái fyrir sér töluverða vinnu við að meta hverja umsókn. Hafi EMA þegar veitt heimild fyrir notkun lyfs af mannúðarástæðum er spurning hversu mikla vinnu Lyfjastofnun þarf að setja í meta slíka umsókn fyrir Ísland? Hér er vert að hafa í huga að samkvæmt okkar upplýsingum hefur Lyfjastofnun Danmerkur two daga til að fara yfir sambærilega umsókn.

5. gr. - Umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum

Sjá athugasemd við skilgreiningu á umsækjanda í 3. gr. hér að ofan. Umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum hlýtur ávallt að koma til af brýnni og bráðri þörf einhvers skjólstæðings heilbrigðiskerfisins. Vitundin um þá þörf hlýtur að koma upphaflega frá t.d. sérfræðingi, sem setur sig í samband við t.d. lyfjanefnd Landspítala og/eða umboðsmann markaðsleyfishafa, en umsókn ætti að koma frá sérfræðingi og/eða heilbrigðisstofnun. Mikilvægt er að ekki séu settar hömlur með flóknu, tímafreku umsóknarferli og gjaldtöku.

6. gr. - Álit um notkun lyfs af mannúðarástæðum

Hér er kveðið á um að Lyfjastofnun skuli, áður en hún samþykkir notkun lyfs af mannúðarástæðum, óska eftir álti frá mannalýfjanefnd Lyfjastofnunar Evrópu, sem í samráði við framleiðandann eða umsækjandann (sem í þessu tilfelli er verðandi markaðsleyfishafi eða umboðsmaður hans), gefur síðan út álit um skilyrði fyrir notkun og dreifingu og þá sjúklinga sem lyfið er ætlað. Þá er kveðið á um að umsækjandi skuli greiða gjald vegna útgefins álits til Lyfjastofnunar Evrópu sem innheimtir og ákvarðar gjaldið.

Spurt er: Skal álit mannalýfjanefndarinnar liggja fyrir og hve lengi má þá bíða eftir því? Er heimild fyrir boðaðri gjaldtöku? Ef svo er: Hvernig verður gjaldið ákvarðað og hvert verður dæmigert gjald? Er verið að tvígreiða fyrir umfjöllun og umsýslu vegna markaðsleyfis?

Í 4. mgr. segir að Lyfjastofnun **geti** óskað eftir álti frá lyfjanefnd landspítalans og /eða sjúkratryggingum. Spyrja má hvort slíkt álit verði ekki ávallt að liggja fyrir og vera forsenda notkunar.

7. gr. - Afgreiðsla umsóknar

Eftir að áltið, sem kveðið er á um í 6. gr. liggur fyrir skal Lyfjastofnun hafa allt að 35 virka daga til viðbótar, til að afgreiða umsókn. Reglugerðin fjallar um að heimila notkun lyfja af mannúðarsjónarmiðum og því er eðlilegt að spurt sé hvort verið sé að heimila of langan tími á meðan sjúklingur í brýnni þörf bíður?

8. gr. - Öryggi lyfs

Hér er kveðið á um að umsækjandi skuli upplýsa sjúklinga og meðferðarlækna um allar breytingar á heimild til notkunar lyfs af mannúðarástæðum án tafar. Aftur minnum við á athugasemd við skilgreininga á umsækjanda í 3. tl. 3. gr. hér að ofan. Vegna persónuverndarsjónarmiða er eðlilegra að meðferðaraðili hafi samskipti við sjúkling meðan á meðferð stendur verði breytingar á heimild til notkunar lyfs af mannúðarástæðum.

9. gr. - Kostnaður og aðgengi að lyfinu eftir að lyf hefur fengið markaðsleyfi

Í 1. mgr. er kveðið á um að lyf sem notuð eru af mannúðarástæðum skulu vera sjúklingum að kostnaðarlausu á þeim tíma sem notkun af mannúðarástæðum fer fram. Ekki er gerður ágreiningur um það.

Í 2. mgr. er síðan kveðið á um að þegar umsókn um notkun lyfs af mannúðarástæðum er veitt skuli umsækjandi (verðandi markaðsleyfishafi eða umboðsmaður hans) sjá til þess að sjúklingar, sem noti lyfið, hafi aðgang að því frá því að miðlægt markaðsleyfi er veitt og þar til það er sett á markað innan Evrópska efnahagssvæðisins. Ekki er heldur gerður ágreiningur um það. Síðan er sett fram ákvæði sem óhjákvæmilegt er annað en mótmæla, en þar segir:

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. Eftir að lyf hefur verið sett á markað á Íslandi gilda almennar reglur um greiðslubáttöku fyrir nýja sjúklinga.

Þessi áskilnaður er með öllu óaðgengilegur og getur haft hamlandi áhrif á mögulegt aðgengi íslenskra sjúklinga að lyfjum með þessum hætti, enda farið fram á að umsækjandi markaðsleyfis útvegi lyf án þess að greiðsla komi fyrir, mánuðum og jafnvel árum saman eftir að lyf er markaðssett og/eða hefur hlotið greiðslubáttöku. Í 83. gr. reglugerðar Evrópuþingsins og Ráðsins nr. 726/2004, sem hér liggur til grundvallar er skýrt kveðið á um að þegar búið er að setja af stað áætlun um notkun af mannúðarástæðum skal umsækjandinn 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 er skýrt kveðið á um tímann fram að markaðssetningu, ekki eins lengi og þörf er á að mati meðferðarlæknis. Heimild til þess er einfaldlega ekki til staðar og gengur jafnframt um leið þvert gegn markmiðum lyfjalaga varðandi almennt aðgengi sjúklinga að lyfjum.

10. gr. - Innflutningur og dreifing lyfja sem hafa fengið heimild til notkunar af mannúðarástæðum

Þó lyf sem lyf sem notuð eru af mannúðarástæðum skulu vera sjúklingum að kostnaðarlausu á þeim tíma sem notkun af mannúðarástæðum fer fram, sbr. 9. gr., er ljóst að kostnaður við innflutning og dreifingu fellur til við ferlið í heild sinni. Þann kostnað er eðlilegt að viðkomandi heilbrigðisstofnun beri og rétt að hér verði tiltekið að markaðsleyfishafa sé heimilt að innheimta umsýslugjald.

11. gr. - Breytingar á heimild notkunar lyfs af mannúðarástæðum

Hér er vísað til umfjöllunar um 7. gr. hér að ofan. Hér er tiltekið að Lyfjastofnun skuli hafa allt að 35 virka daga til viðbótar, til að afgreiða umsókn um breytingu. Við teljum að hér sé verið að heimila of langan tíma.

12. gr. - Tilkynning umsækjanda

Hér er kveðið á um tilkynningaskyldu umsækjanda. Aftur minnum við á athugasemd við skilgreiningu á umsækjanda í 3. tl. 3. gr. hér að ofan. Markaðsleyfishafi eða umboðsmaður hans er aldrei með nafnalista sjúklinga.

Þá er kveðið á um að umsækjandi skuli einnig senda Lyfjastofnun árlega upplýsingar um notkun lyfs af mannúðarástæðum, þ.m.t. uppfært mat á sambandi milli áhættu og ávinnings lyfsins fyrir sjúklingahópinn, aukaverkanir og öll alvarleg atvik sem upp hafa komið við notkun lyfsins, hvort sem er hér á landi eða annars staðar. Líklegt er að fulltrúi markaðsleyfishafa sjái um að veita þessar upplýsingar beint til meðferðarlæknis. Ef hér er einungis verið að tala um öryggisupplýsingar (safety data) sem hefur safnast, er hægt að fallast á að um eðlilega kröfu sé að ræða, í ljósi þess að ekki er komið markaðsleyfi. En ekki er hægt eða rétt að fara fram á gögn umfram það.

13. gr. - Stöðvun notkunar lyfs af mannúðarástæðum

Ekki er gerð athugasemd við greinina.

14. gr. - Lagastoð og gildistaka

Ekki er gerð athugasemd við greinina.

Að endingu

Að okkar mati er efnisleg gagnrýni okkar á drögin þess eðlis, að óhjákvæmilegt er annað en að fá tækifæri til að fylgja umsögn þessari eftir á fundi með ráðuneytinu, því um er að ræða mikilvægt mál sem leiða verður til farsælla lykta.

Virðingarfyllst,



Jakob Falur Garðarsson,
framkvæmdastjóri.