

Celá Evropa řeší, jak zaplatit nákladné léky pro pacienty se vzácnými chorobami – takovými, které má méně než dvacet lidí ze sta tisíc. Dřív výrobci nechtěli do výzkumu léčiv ani investovat, což se na nátlak pacientů změnilo. Teď jsme před otázkou, kde na to brát. A komu říct: **Léčba vaší choroby je tak drahá, že se nám nevyplatí.**

Cena života, jejíž nelze zachránit

Kay Parkinson je rázná blondá dáma s pevným stiskem ruky a úsměvem, který ji z tváře prakticky nemizí. A to přesto, že přijela do Lucemburku na mezinárodní setkání odborníků, kteří se baví o vzácných nemocích, a referuje tu o tom, jak si vede patientská organizace na pomoc lidem s Ålstromovým syndromem, kterou sama založila kvůli svým postiženým dětem.

Kay Parkinson nemá problém o nemoci svých dětí otevřeně mluvit. Obrázek za obrázkem ve své prezentaci popisuje, jaké to je, když se rodině narodí nejdřív jen takové velmi hladové miminko. Které ovšem přibírá nevídaným tempem. Pak má problémy s očima a začne mu selhávat srdce. „Životní perspektiva? Dva roky, řekli nám lékaři, když konečně po dlouhých vyšetřovacích konstatovali, že to nebyl virus v těhotenství, ale že Mathew má velmi vzácnou a nevléčitelnou dědičnou chorobu, takzvaný Ålstromův syndrom,“ říká jeho matka. Charlotte se narodila o tři roky později se stejnou diagnózou.

Takový verdikt udělá z rodičů brzy větší odborníky na nemoc jejich dětí, než jsou lékaři, kteří se se stejnou chorobou setkali jednou v životě. A jsou to obvykle právě rodiny nemocných nebo sami pacienti, kdo posouvají hranice a nutí farmaceutické firmy, aby se zabývaly výzkumem léků, z nichž velký byznys nekouká, protože nemocí trpí třeba jen dva tři lidé v každém státě.

Ještě před pětadvaceti lety existovalo jen deset léků na vzácné choroby. Ty ostatní se nedaly léčit vůbec. Dnes je léků několik desítek a každý rok se objevují další. Většinou pacientů má však své stinné stránky: peníze. Je rozdíl vyrábět lék pro miliony lidí a je rozdíl vyrábět jej pro dva lidi v zemi. Léčba je proto extrémně drahá. Konkrétně u nás dělají náklady na léky pro vzácné choroby přes dvě miliardy korun, což je 2,6 procenta nákladů na všechny léky v Česku. Zdá se to málo, ale je nutné si uvědomit jedno: tyto více než dvě miliardy spotřebuje ročně jen hrstka lidí.

A to je problém, který řeší celá Evropa: kde vzít na financování vzácných chorob, když stačí, aby jedna menší zdravotní pojišťovna měla dvacet pacientů s metabolickou vadou, a položí ji to. Jistě – jen teoreticky – kvůli tomu u nás existuje systém přerozdělení peněz mezi pojišťovnami, který zohledňuje i nákladné choroby.

Pacienti už problém cítí a berou aktivitu do svých rukou. Hranice států se stírají a silná společná organizace hájí zájmy pacientů obvykle úspěšně. Díky tomu Národní organizace vzácných nemocí tak urputně bojovala za své nemocné, že vznikl nový zákon – takzvaný Orphan Drug Act.

Organizace pacientů sílí

Tak i Kay Parkinson založila ve Velké Británii organizaci, která informuje o Ålstromově syndromu. „Rok 1998, první mezinárodní konference o nemoci, rok 2001 slyšení v Evropském parlamentu, rok 2003 zemřel



FAKTA

Kolik stojí vzácné choroby?

Glykogenóza (vzácná metabolická porucha, zjednodušeně opak cukrovky): 1 pacient 13–15 milionů ročně

Fabryho choroba (vzácná metabolická porucha, chybí enzym nutný ke zpracování tuků): 1 pacient 5 milionů/rok

Pompeho choroba (vzácná met. porucha, v tkáních se hromadí glykogen, což vede k ničení svalů a kostí): 1 pacient – 3,3 milionu korun za rok

Williamsův syndrom (vrozená genetická porucha, která mimo jiné ničí srdce a nedá se vyléčit): 1 pacient – 7 milionů ročně

„Nemoc motýlích křídel“ (EB, vrozená genetická porucha, kdy i jemný tlak na kůži způsobí bolest a poranění): 1 pacient v závislosti na formě nemoci 5 až 15 milionů ročně

Zdroj: VZP, ZP ministerstva vnitra

Mathew...“ Jeho sestru Charlotte rodiče pohřbili před rokem. Bylo jí devatenáct let. Jejímu bratrovi 25. Ano, i tak končí diagnóza vzácná nemoc. Léčit se totiž dá pouhých deset procent ze vzácných chorob. U některých nepomůže nic a u většiny těch ostatních se hraje o čas.

O tom, jak těžké je, když nezbyvá než se zcela podřídit nemoci, vědí své i rodiče Karolínky Sedláčkové z Nového Města na Moravě. Když se narodila, bylo to krásné zdravé miminko. Tedy – prvních pár hodin. Pak prošedla, přestávala dýchat a musela dostat kyslík v inkubátoru. Ukázalo se, že má glykogenózu. Nemoc, kdy se cukr, který tělo dostane stravou, nemění v játrech na potravu pro mozek a tělo. Takových dětí je jen asi deset v republice.

„Když se řekne metabolické onemocnění, lidé si hned představují, že má vaše dítě dvě hlavy a jedenáct prstů. Sousedí a známi se k vám buď budou vrhat a dychtit po informacích, nebo naopak se budou vyhýbat všem otázkám a pohledům do kočárku. Vaši kamarádi a známi vás nejspíš brzy přestanou zvát na společné akce (protože vy byste přece stejně nepřišli), přestanou vás žádat o radu (protože vy máte přece starosti dost), přestanou k vám jezdit na návštěvu (protože vás nechtějí zatěžovat). Budou se u vás střídat pocity velkého odhodlání a chuti bojovat s nemocí s pocitem naprosté marnosti a bezmocnosti,“ tak popisují rodiče Simona a Libora Sedláčkoví život s nemocí své dcery na webových stránkách, které o vzácné choroby založili.

Je to velmi přesný popis, jak se žije lidem s chorobou tak mimořádnou, že je nutí naučit se rychle pořádně anglicky, protože v Česku si o svých problémech s malým mohou vyměňovat informace. Karolínka má přitom štěstí: jediné, co potřebuje, je, aby dostávala do těla cukr v pravidelných intervalech. V noci sondou rovnou do těla. „Jinak jsou glykogenózy, konkrétně druhého typu, velmi nákladné choroby. Ročně stojí na jednoho pacienta 13 až 15 milionů,“ říká mluvčí VZP Jiří Rod. Lidí, kte-

ří jsou závislí na léčbě či nákladných léčebných postupech, je v Česku několik tisíc. A každým rokem přibývají další. Spadají sem kromě řady vzácných nádorů především vrozené genetické poruchy.

Třeba pod centrum léčby metabolických poruch v pražské VFN, jediné v Česku, patří více než stovka pacientů. Ještě před pár lety se přitom dali spočítat na prstech ruky. „Jenže tehdy jsme jim nemoc našli jako dětem, a oni díky lékům přežívají do dospělosti, a k nim přibývají další noví pacienti,“ říká šéfka centra Věra Malinová. „Zatím to financovat šlo, ale do budoucna to není zaplatitelné. Jsou země, kde některé léky, které u nás pacienti dostávají, nehradí. Třeba i bohaté Lucembursko,“ říká lékařka. Totéž tvrdí i šéf největší zdravotní pojišťovny v zemi Pavel Horák. „Do dvou let se musíme rozhodnout, kde je horní hranice toho, co budeme platit za léčbu,“ říká zcela vážně.

Platit, i když život nezachráníme?

Zdá se, že i u nás začínou nabývat na významu patientské organizace. Podobně jako ve světě. Mezi nejnovější patří sdružení AV Minority pro pacienty s takzvanou arteriovenózní malformací hlavy a krku. Jde o vážné postižení tepen a žil, díky němuž proudí krev v určitém místě pod velmi vysokým tlakem, takže hrozí riziko prasknutí cévy a vykrvácení. Co to znamená? Třeba to, že když je vám patnáct a předkloníte se nad vanou, abyste si vyprali džíny, voda je najednou plná krve z vašich úst. A krvácení nejde zastavit a hrozí, že zemřete. Takový je příběh zakladatelky sdružení Silvie Slívové.

„Sdružení vzniklo jako reakce na současnou nesystémovou péči o tyto nemocné a alarmující nedostatek odborníků, kteří se problematikou zabývají. Přitom jde o vážné onemocnění, které při sebemenším zanedbání léčby může vést až ke smrti,“ říká mladá žena.

Do budoucna však budou pacienti zřejmě muset svést bitvu i o to, zda vůbec dostanou léky, nebo zda jim pojišťovna zaplatí nákladný léčebný postup, o němž se ví, že pacienta nevléčí, jen možná zpomalí postup nemoci. A čeští pacienti to tuší. Proto v lednu chystají schůzku, kde budou debatovat o založení sdružení zastřešujícího zájmy pacientů s vzácnými chorobami.

Bude to silný protivník při otázkách, které si leckde už nahlas a u nás stále ještě potichu pokládají plátcí péče: do jaké míry se vyplatí investovat miliony korun ročně do člověka, kterého tím nevléčím a který s velkou pravděpodobností zemře dřív než jiní? Jednotný recept na to neexistuje a všechny státy jej hledají. Měli bychom s tím začít i u nás.



Lenka Petrášová
redaktorka MF DNES

Šéf VZP: Bez připojištění na drahé choroby nebude na léky

Šéf největší zdravotní pojišťovny v zemi (VZP) **Pavel Horák** míní, že už za dva roky nebude na to, aby se platilo pacientům to co dnes.

Jakého máte nejdražšího pacienta?

V celé historii? Ten stál asi 150 milionů korun. A byl to hemofilik. (Pozn. red: geneticky podmíněná porucha srážlivosti krve)

Zvládají zdravotní pojišťovny platit lidem léčbu vzácných chorob?

Faktem je, že s tím, jak se vyvíjí ekonomika a roste počet velmi drahých léků na vzácné nemoci, tak bude nutné udělat úvahu: kde končí hranice veřejného pojištění a kde je prostor pro komerční připojištění. Což je tam, kde léčba z veřejných peněz nevede k uzdravení, ale jen k jakémusi omezování choroby.

Bude nutné najít hranici, kdy jedna taková léčba omezuje v léčení více jiných pacientů. Protože je třeba vždy vážit, jaký přínos pro pacienta vynaložená koruna má.

A pokud by se rovnováha posunula tak, že bychom na jednu stranu platili málo efektivní, extrémně drahou léčbu exkluzivními novými léky a na druhou stranu nedostatečně hradili běžnou léčbu, třeba péči o seniory, kteří nejsou tak mediálně atraktivní, tak bychom brzy byli v negativní finanční bilanci. Za milion se dá poskytnout hodně v následné péči, ale velmi málo v kategorii vysoce drahých léků.

Existuje z toho cesta ven?

Kdyby si například každý odkládal měsíčně tisíc korun na připojištění, dělá to za rok deset miliard korun. Muselo by to ale začít tím, která léčiva či léčebné postupy jsou za tou hranicí, že opravdově mohou být předmětem připojištění. A pak: vycházím

z mentality středoevropské, která je taková, že má-li se člověk rozhodnout, tak si vybere spíš vyšší pojistku, i když pravděpodobnost jeho onemocnění je nízká. A pokud si připlácí x milionů zdravých lidí, tak to přinese zdroje pro nákladné pacienty.

A co kdyby si lidé nechtěli připlácet?

Pokud by ochota připlácet si byla nízká, tak to znamená, že ty léky by poskytnuty nebyly. Myslím, že je to korektní přístup v případech, kdy opravdu je sporné, jestli ty extrémní náklady jsou přínosem pro pacienta nebo jestli je to jen omluva nás samých před sebou, protože se cítíme lépe, když říkáme, že každý má nárok na všechno. Ve skutečnosti to tak není a vede k tomu, že se pak šetří skrytě, a to je mnohem nebezpečnější, než když se to udělá transparentně.

Jenomže pak by musela existovat politic-

ká vůle říct, že někde se nakreslí tlustá čára. Máte představu, jak by to šlo dělat? Myslím, že by stačilo posílit funkce pojišťoven. Neříkám, aby se z veřejného pojištění stalo komerční, kde se náklady prostě spočítají a promítnou do ceny pojistky, a buď si ji pacient vybere, nebo ne. Takto ne. Ale čím víc bude ve zdravotnictví skutečného pojišťovnictví a méně daňového systému, kdy se nějaké peníze vyberou a pak se diskutuje o tom, kolik se komu dá, tím lépe.

A co stanovit, jako je to v některých zemích, cosi jako „cenu za život“, tedy QUALL, a říct, že co je třeba nad patnáct milionů, to už stát z pojištění nehradí a na to se už člověk musí připojistit sám? Jsou případy, kdy se takový přístup nedá použít. Třeba zranění, kdy náklady mohou být taky extrémně vysoké. Pokud se ale budeme bavit o vzácných chronických chorobách, tak myslím, že by se měla sta-

novit taková hranice. Ty mechanismy jsou ze zahraničí známé. Pokud by náklady na léčbu překračovaly nějakou hranici, což je možné matematicky stanovit jako třeba násobek nějakých průměrných nákladů na léčbu pacienta, tak by se dalo říct, že vše, co je nad tímto stropem, spadá do kategorie nehranzené a bylo by možné se na to buď zčásti, nebo zcela připojistit. Jinak do systému není vtažen pacient. Nic jej nenutí zamýšlet se nad prevencí, že by taková nemoc u nich či jejich blízkých mohla vzniknout.

To je otázka jakého roku? Když se i vy jako největší zdravotní pojišťovna octnete v problému platit nákladnou léčbu?

Myslím, že ještě dva roky je možné držet páru pod pokličkou. Příští rok se to podaří udržet, ale to je poslední rok. A neměli bychom ten čas promarnit, ale využít k přípravě jiného systému. **Lenka Petrášová**