

Anotácia k habilitačnej prednáške

PharmDr. Tatiany Foltánovej, PhD.

Téma: „Nenaplnené liečebné potreby pacientov so zriedkavými chorobami a možnosti riešenia“

Nenaplnená liečebná potreba je dôležitým faktorom pri nasmerovaní výskumu a vývoja liekov. Zriedkavé choroby sú závažné, život ohrozujúce ochorenia, ktoré postihujú menej ako 5 z 10 000 obyvateľov Európskej únie (EÚ). Predstavujú vysoko heterogénnu skupinu chorôb, s multisystémovými prejavmi, nízkym vedeckým a klinickým povedomím. Vyznačujú sa významnou nenaplnenou liečebnou potrebou a vysokou mierou rizika investovať do výskumu. V súčasnosti rozlišujeme 6000 – 8000 zriedkavých chorôb a väčšina z nich je neliečiteľná. Záujem investovať do výskumu a vývoja liekov na zriedkavé choroby bol nízky do roku 2000. Kľúčovú úlohu zohralo schválenie legislatívy pre lieky na zriedkavé choroby v Európskej únii, ktoré vstúpilo do platnosti v roku 2000. Kým v roku 2001 boli registrované 3 lieky na zriedkavé choroby, v roku 2018 schválila Európska lieková agentúra až 22 liekov na liečbu zriedkavých chorôb.

V prednáške prezentujeme nástroje a skúsenosti s podporou výskumu a vývoja liekov na zriedkavé choroby. Zároveň poukazujeme na fakt, že napriek viac ako 20-ročnej podpore výskumu a vývoja liekov na zriedkavé choroby ostáva stále 95 % zriedkavých chorôb neliečiteľných resp. tam kde liečba existuje častokrát ostáva pre pacientov nedostupná.

Dostupnosť liečby na zriedkavé choroby ostáva výzvou nasledujúcich rokov. Opakovane núti prehodnotiť nenaplnené liečebné potreby z pohľadu súčasnosti, ale aj budúcnosti. Pre Slovensko ako aj ďalšie štáty EÚ je jediným riešením spoločný Európsky prístup, ktorý si vyžaduje spoluprácu a vznik zmysluplných partnerstiev. Tentokrát sa môžeme oprieť o viac ako dvadsať rokov skúseností s výskumom a vývojom liekov na zriedkavé choroby ako aj s liečbou zriedkavých chorôb. Výhodou je aj už existujúca zdravotnícka infraštruktúra pre pacientov so zriedkavými chorobami na národnej, ale aj medzinárodnej úrovni (Európske referenčné siete).