

Yetim İlaçlar

Ruhsatlandırma ve Fiyatlandırma

Doç. Dr. Nurullah Zengin
Ankara Onkoloji Eğitim ve Araştırma Hastanesi

Yetim İlaç

- Hastalığın nadir görülmesi (5/10 bin'den az)
 - Hayati tehlike içermesi
 - Ciddi komplikasyon içermesi
- Pazar payının küçük olması
- Ticari getirinin düşük olması
- Sektörün ilgi duymaması
- “Hastaların etkili tedavi hakları”
- Yetim ilaç statüsü ile sektörün teşvik edilmesi

Yetim İlaç

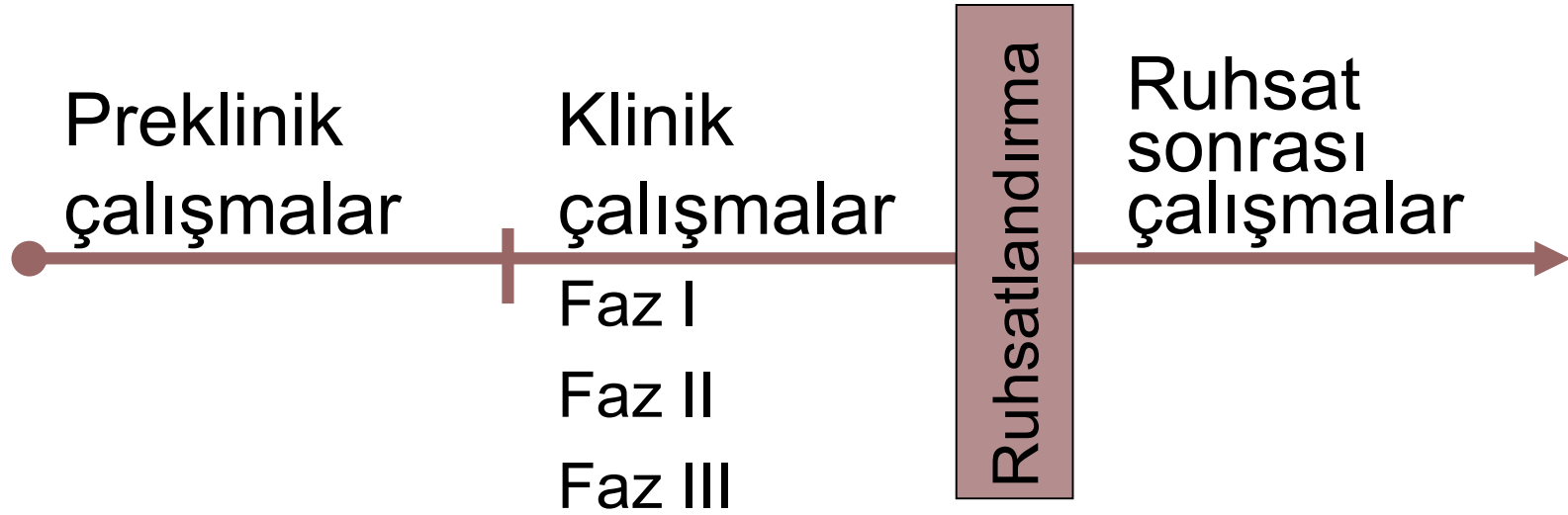
- Yetim ilaç statüsü ile sektörün teşvik edilmesi
 - Vergi indirimleri
 - Araştırma programlarından fon sağlanması
 - Ruhsatlandırma değerlendirmesinin ücrete tabi olmaması
 - Pazarlama münhasıriyeti
 - Biyoyararlanım/biyoeşdeğerlilik çalışmalarından muaf olma
 - Hızlandırılmış ruhsatlandırma sürecine tabi olma
 - Fiyatlandırma avantajları
 - Geriödeme avantajları

Onkoloji İlaçları

- Normal ruhsatlandırma ve fiyatlandırma süreci
- Yetim ilaçdeğerlendirmeleri
- Türkiye'de bulunmayan onkoloji ilaçları

İlaç Geliştirilmesi

Etkinlik, güvenilirlik ve kalitesinin artırılması ve ispatlanması



Ruhsatlandırma

- Deneysel ilaç → Kabul edilmiş (standart) ilaç
- Araştırma ürünü → Ticari ürün
- Hasta/hastalık için kabul edilmiş bir tedavi seçeneği

Ruhsatlandırma

Yetersiz Veri ile Ruhsatlandırma

- Etkisiz bir tedavi?
- Riskli “ ”
- Maliyet artışı
- Haksız rekabet

Yeterli Veri ile Ruhsatlandırmama

- Hastaları etkili bir tedaviden mahrum bırakma
- Emeğe saygısızlık
- Haksız rekabet

Ruhsatlandırma Süreci

Dünyada Standartların Gelişimi

- 1938 Sülfanilamid olayı
- 1960 Thalidomide olayı

Ruhsatlandırma Süreci

- İlacın etkinlik, güvenilirlik ve kalitesinin değerlendirilmesi
- Hasta yararı
- Yarar/risk oranı
- Maliyet ???

Değerlendirme

Kriterler

- Öngörülen kullanım şeklinde etkinliğinin kanıtlanmış olması
- Güvenilirliğin kanıtlanmış olması
- Mevcut tedavilere katkısının olması
- Uygun teknik ve farmasötik özelliklere sahip olması

Deęerlendirme

Onkoloji alıřmalarında Kriterler (Endpoint'ler)

- Saękalım
- Hastalıksız saękalım
- Progresyona kadar geen sre
- Semptom palyasyonu
- Yanıt oranları
- Markır yanıtı

Değerlendirme

Yaşam süresi

- Randomizasyondan ölüme kadar geçen süre
- Kullanıldığında diğer “endpoint” verilerine gerek kalmaz
- Hesaplanması net ve kolaydır
- Daha geniş hasta grubu ve daha uzun süre izlem gerektirir
- İlave tedavilerin etkileri araştırılan tedavi etkisine karışabilir

Değerlendirme

Hastaliksız sağkalım/Progresyona kadar geçen süre

- Randomizasyondan relaps veya progresyona kadar geçen süre
- Görüntüleme bulguları esastır
- Hesaplanması izlem sıklığı ve görüntüleme kapasitesinden etkilenir
- Daha az hasta ve daha kısa süre izlem gerektirir
- Her zaman yaşam süresi ile paralellik göstermezler

Değerlendirme

Semptom palyasyonu

- Subjektifliğe açıktır
- Yaşam süresi olumsuz etkilenmemelidir

Değerlendirme

Yanıt oranı

- Bazı kriterlerle standardize etme çabası (RECIST kriterleri) vardır
- Teknik kısıtlamalar söz konusudur, kemik gibi bazı organlarda yorumlanması güçtür
- Ödem, nekroz, inflamasyon değerlendirmeyi güçleştirir
- Tek başına ruhsatlandırma kriteri olarak genelde tercih edilmez

Değerlendirme

Hasta yararı, fayda/risk oranı

- Mevcut veriler bütün olarak değerlendirilmeli
- İlacın etkili ve güvenle kullanım alanı tanımlanmalı
- Faz III çalışma verileri esas alınmalı

Yetim İlaç Ruhsatlandırılması

- Normal değerlendirme kriterlerine tabi tutuluyorlar
- Hızlandırılmış ruhsatlandırma sürecinden faydalanıyorlar
 - “Öncelik tanınarak işlem yapılması”

Yetim İlaç Fiyatlandırması

Beşeri İlaçların Fiyatlandırılması Hakkında Tebliğ

MADDE 5

g) Yetim ürünler için en ucuz referans fiyat sistemi işletilmez. Bu ürünler imal ise maliyet belgeleri ile, ithal ise ürünün getirildiği kaynaktan temin edilen resmi belgelerle ortaya konan fiyat üzerine en fazla %5 fiyat konulmak sureti ile fiyatlandırılırlar.

Ülkemizde Bulunmayan Ruhsatlı Kemoteropötikler

1. Vinblastin
2. Prokarbazin
3. Lomustin (CCNU)
4. Karmustin (BCNU)
5. Streptozotosin
6. Mitotan
7. Tiotepa
8. Oral Narkotik Analjezikler

Ülkemizde Bulunmayan Kemoterapötikler

- **Mart-2006 toplantısı:**
 - İlaç ve Eczacılık Genel Müdürlüğü
 - Kanser Savaş Dairesi
 - İlaç sektörü
 - Türk Eczacılar Birliğı
 - Alt Kurul üyeleri

Ülkemizde Bulunmayan Kansere İlaçları

- Haziran-2006: Sağlık Bakanlığı ile Türk Eczacılar Birliği arasında toplu ilaç getirebilme ve bulundurma konusunda protokol
- Yaklaşık 400 ilaç
“Sadece onkoloji değil diğer branşlarda da temininde zorluk çekilen ilaçlar için kalıcı bir çözüm”