

Návrhy patientských organizací na obsah „Národního plánu pro vzácná onemocnění“, 13.6.2011

Cílem tohoto dokumentu, vypracovaného a podpořeného skupinou patientských organizací hájících zájmy pacientů se vzácnými onemocněními¹, je především identifikovat oblasti a problémy důležité z pohledu pacientů a ty zohlednit při další tvorbě Národního plánu pro vzácná onemocnění a při tvorbě národní legislativy . Jedná se především o následující cíle:

- Zajistit dostupnost komplexní péče pro pacienty se vzácnými onemocněními (psychologická péče, sociální péče, léčebná péče)
- Zajistit jasný zákonný status (podmínky a výhody) specializovaných léčebných center
- Do budoucna zajistit přístup pacientů k novým lékům pro vzácná, dosud neléčitelná onemocnění

Vzhledem k tomu, že pro zavedení některých opatření v realitě bude zapotřebí delší časový horizont, „Národní plán pro vzácná onemocnění“ by měl stanovit časový rámec a termíny naplnění jednotlivých kroků, které bude stanovovat.

Národní plán pro vzácná onemocnění by měl obsahovat především následující pokyny a návody na vznik fungujícího systému péče o nemocné se vzácnými onemocněními:

1. Vymezení specifické kategorie nemocí (jaká onemocnění jsou vzácná), kriteria definice vzácných onemocnění, jejich specifika a nutnost specifického přístupu k jejich léčbě. Tento požadavek vychází z podstaty vzácných onemocnění, a to:

- Nesourodá skupina chorob
- Vývojové vady, dědičné poruchy metabolismu, geneticky podmíněná onemocnění
- Pacientů s jednotlivými diagnosami je málo
- Léčba (diagnostika, ošetření, léky atd..) na pacienta je ve většině případů finančně velmi vysoké ve srovnání s běžnějšími onemocněními
- Kvalita léčby a její účinnost je ve většině případů dramaticky závislá na přístupu k novým postupům a lékům

Součástí plánu by měla být aktivní účast ČR na

- Registr vzácných onemocnění – ORPHANET, včetně evidence počtu nemocných podle jednotlivých diagnóz, které dnes neexistuje
- Evropské referenční síť pro vzácná onemocnění

2. Přístup ke kvalifikované léčbě

2.1.

Vytvoření **standardů léčby (léčebných postupů)** pro jednotlivá vzácná onemocnění odpovídající evropským standardům a současným výsledkům vědy a výzkumu (u těch onemocnění, např. cystická fibróza, kde již byly definovány Evropským konsensem, není tedy

¹ Viz příložený seznam organizací, které se k iniciativě připojily

nutné je vytvořit, nýbrž uzpůsobit českým podmínkám a schválit MZd ČR) Tyto standardy by mimo jiné měly:

- být základem plně hrazené léčby vzácných onemocnění ze veřejných finančních prostředků – léčba v rámci standardu musí být plně hrazena
- být vytvořena za součinnosti odborníků ze všech pracovišť, která se léčbou daného onemocnění zabývají a za součinnosti patientských organizací. Aktivní role patientských organizací a jejich úzká spolupráce se všemi odbornými pracovišti je nezbytná
- obsahovat nejen **moderní léčebné postupy a léky** (včetně orphan drugs), ale i **další pro léčbu jednotlivých onemocnění nezbytné léčebné postupy a pomůcky a preparáty jako potraviny pro zvláštní účely** (např. aminokyselinové směsi při léčbě metabol. onemocnění), **potraviny a potravinové doplňky** (speciální potraviny – např. nízkobílkovinné, vitamíny, minerály atd. u mnohých chronických vzácných onemocnění), **léčebné pomůcky** (ať již hrazené v současnosti ze zdravotního či sociálního systému – legislativa určí zdroj financování), **lázeňská péče** (např. u nervosvalových onemocnění)
- standardy by měli být v pravidelném časovém intervalu např. 2 roky (zakotveném v legislativě) aktualizovány v souladu s aktuálními výsledky vědy a výzkumu na úrovni evropské unie
- v rámci standardů navrhujeme stanovit i minimální míru „zdravotního postižení“ pro jednotlivá vzácná onemocnění (respektive skupiny vzácných onemocnění kde možné). V případě mnohých vzácných onemocnění nejsou viditelné známky fyzického poškození při běžném kontaktu. Nemocní často mají funkční schopnosti provádět úkony, na základě kterých se posuzuje míra postižení, ale tyto úkony vůbec nepostihují způsob a míru postižení u daných onemocnění nebo dokonce léčba nemocným neumožňuje či dokonce zakazuje tyto úkony vykonávat (dědičná metabolická onemocnění léčená nízkobílkovinnou dietou – pacienti mohou jíst, ale pouze velmi specializované a nízkobílkovinné potraviny a jídla, která se například děti nemohou sami obstarat či připravit, režim u cystické fibrozy vyvarování se kontaktu se stojatou vodou, atd.).
Ukotvením míry „zdravotního postižení“ by redukovalo neustálý koloběh přeposuzování zdravotního stavu pacienta, kde v případě dědičně podmíněných vzácných onemocnění je naděje na zlepšení mizivá. Problematiku komplikuje neznalost vzácných onemocnění ze strany revizních lékařů a příslušných pracovníků sociálních odborů. Současný systém vytváří tísnivou situaci finanční nejistoty u nemocných a jejich blízkých, kteří jsou po psychické stránce již tak silně zatíženi okolnostmi vzácného onemocnění samotného
- Léčba v rámci těchto standardů by měla být plně hrazena z veřejných finančních prostředků (základních zdravotního pojištění),

2.2. **Dostupnost léčby – vytvoření sítě center** specializujících se na léčbu jednotlivých (skupin) vzácných onemocnění, legislativní zakotvení jejich existence, kompetencí, zajištění dostatečného počtu odborníků všech kvalifikací (lékařů, terapeutů a psychologa atd..) nutných pro léčbu daného onemocnění a v neposlední řadě legislativní zakotvení finanční samostatnosti a zdrojů financování (přidělovaných specificky na tuto léčbu) těchto center a na ně navazující péče o nemocné se vzácnými onemocněními.

2.3. Centra specializující se na léčbu vzácných onemocnění by měla mít samostatné financování – vlastní rozpočet určený na léčbu vzácných onemocnění – dané specializace (mimo rozpočet nemocnic v rámci kterých působí). Z těchto finančních prostředků (rozpočtu) bude financována léčba, léky (včetně orphan drugs), potraviny pro zvláštní účely, terapie a další úkony nezbytné pro léčbu pacientů se vzácnými onemocněními. Centra by měla zajistit propojení klinické péče, diagnostiky a léčby s výzkumem.

2.4. Počtu a lokality by měli vycházet ze současného stavu, odpovídat četnosti výskytu jednotlivých onemocnění (skupin onemocnění) a být koordinována jak s odborníky z oboru tak s patientskými organizacemi.

2.5. Centra by měla úzce spolupracovat a komunikovat s patientskými organizacemi pro daná vzácná onemocnění s cílem:

- poskytnout aktuální informace (v souladu s nejnovějšími výsledky vědy a výzkumu) o léčbě daného onemocnění nejen v ČR, ale i v zahraničí (např. formou účasti zástupců pac.organizací na odborných seminářích a konferencích a naopak pravidelnou účastí odborníků na léčbu vzácných onemocnění na vzdělávacích akcích pro pacienty či formou článků pro patientské vzdělávací materiály atd).

- pomáhat patientským organizacím propagovat a šířit informace o vzácných onemocněních mezi širokou veřejností, ať již odbornou (praktičtí lékaři, revizní lékaři atd.), tak i laickou, například formou pravidelné účasti zástupců patientských organizací na odborných konferencích a také účastí odborníků (specialistů lékařů) na akcích organizovaných patientskými organizacemi pro pacienty.

2.6. Zajištění péče pro těžce postižené se vzácnými onemocněními ve zdravotnických zařízeních (nemocnicích) s přímou vazbou na centra - pomoc asistentů, případně přizpůsobit podmínky, aby mohl tuto pomoc poskytnout příbuzný.

2.7. Zakotvení přeshraniční spolupráce na léčbě a výzkumu vzácných onemocnění v legislativě/národním plánu pro vzácná onemocnění v souladu se „Směrnicí EP a Rady o uplatňování práv pacientů v přeshraniční péči“

Ukotvit podporu Evropské komise pro spolupráci členských států při rozvoji diagnostických a léčebných kapacit a zejména přitom usiluje o to, aby:

- a) zdravotničtí pracovníci věděli o nástrojích, jež mají k dispozici na úrovni Unie, které jim napomůžou správně diagnostikovat vzácná onemocnění, zejména o databázi Orphanet a o evropských referenčních sítích;

- b) se pacienti, zdravotničtí pracovníci a plátcí zdravotní péče dozvěděli o možnostech, které poskytuje nařízení (ES) č. 883/2004, pokud jde o předání pacientů se vzácnými onemocněními do jiných členských států, a to i pro účely diagnózy a léčby, které nejsou k dispozici v členském státě, v němž je pacient pojištěn.

2.8. Iniciovat vznik národních kontaktních center a zastoupení úřadu evropského ochránce práv pacientů.

3. Samostatně v legislativě zakotvit definici a speciální režim orphan drugs. Zajistit přístup k lékům orphan drugs (v případech, kde jsou dostupné a v Evropě registrované) a do platné legislativy zakotvit proces registrace a stanovení úhrady orphan drugs v plné výši v co nejkratším časovém horizontu bez zbytečných obstrukcí.

4. Včasný přístup k léčbě – vytvoření systému včasné diagnostiky a screeningu pro jednotlivá vzácná onemocnění včetně včasného a efektivního vyhledávání nemocných s vzácnými onemocněními, jejich přesměrování do specializovaných center a následné zajištění včasné léčby již diagnostikovaných nemocných v těchto specializovaných centrech.

5. Legislativní ošetření konkrétních kroků zajišťující podporu patientských organizací a zajištění jejich přístupu k informacím v rámci legislativního procesu, tvorby a aktualizace standardů léčby, tvorby úhrad relevantních léků a PZLÚ, tvorby a aktualizace sociální výhod a dávek pro nemocné vzácnými onemocněními, stejně tak jako přístup patientských organizací a pacientů k odborným informacím především výsledkům vědy a výzkumu v oblasti léčby jednotlivých vzácných onemocnění

5.1. Všechny patientské organizace by měli mít legislativně garantovaný přímý přístup a možnost aktivní účasti na procesech vedených státní administrativou jako tvorba standardů, schvalování, registrace a tvorba úhrad léčiv (léky, PZLÚ) a zdravotnických prostředků (pomůcek):

- zajištění plné informovanosti všech patientských organizací hájících zájmy pacientů se vzácnými onemocněními o krocích a navrhovaných změnách jednotlivých institucí,
- možnost patientských organizací hájících zájmy pacientů se vzácnými onemocněními návrhy a připomínky k navrhovaným krokům a návrhům, mít přístup na jednání zabývající se těmito návrhy a připomínkami.

5.2. Za tímto účelem založit registr všech patientských organizací hájících zájmy pacientů se vzácnými onemocněními.

5.3. Patientské organizace by měli mít garantovány finanční zdroje ze státního rozpočtu, které by financovali činnost a roli patientských organizací v aktivní účasti na procesech vedených státní administrativou jako tvorba standardů, schvalování, registrace a tvorba úhrad léčiv a stejně tak i roli zprostředkování informací mezi odborníky (lékaři) a pacienty a širokou veřejností v problematice vzácných onemocnění. Tyto zdroje by měly být poskytovány buď ve formě stálých dotací nebo ve formě daňových asignací (tím by mohlo dojít ke snížení částek dotací a ke zvýšení adresnosti státem odpuštěných daňových povinností např. v SR daňové asignace 2 %, v Polsku 1%,) nebo oběma těmito způsoby

6. Definování role státu v konkrétních opatřeních při podpoře pacientů se vzácnými onemocněními v oblasti finančního, sociálního a důchodového zabezpečení a při aktivní pomoci v sociálním začlenění do běžné populace – legislativní garance sociální podpory /dávek v závislosti na potřebách jednotlivých diagnóz), vazba na zákony sociální sféry, garance zapojení dětí do školní výuky (asistenti do škol, kde nutno atd...)

6.1. Zavedení ICF (mezinárodní klasifikace funkčních schopností) za součinnosti patientských organizací a odborníků z řad lékařů. Naprosto nezbytná je analýza potřeb osob s vzácným onemocněním dle ICF, neboť z naší zkušenosti vyplývá, že:

- Posudkoví lékaři neznají vzácná onemocnění (ani ta nejčastější jako je cystická fibróza) a neumí je zařadit ani v rámci stávající právní úpravy sociálních dávek a výhod
- Hodnocením „funkčních schopností“ se u řady vzácných onemocnění nezjistí míra omezení, jaká přináší vzácné onemocnění svému nositeli nebo jeho rodině!!! Nemocní mají funkční schopnosti nebo by zvládli daný soubor úkonů provádět, ale léčba jim to neumožňuje,

ba přímo zakazuje. Viz režim u cystické fibrózy (vyvarování se kontaktu se stojatou vodou, nutnost dezinfikovat denně odpady a WC, nemožnost cestovat veřejnou dopravou), podobně i u jiných nemocí (např. speciální strava a výživa u metabolických onemocnění).

6.2. Zlepšení meziresortní spolupráce, neboť problematika léčby a sociálních potřeb nemocných se vzácnými onemocněními se prolíná kompetencemi několika institucí v rámci státní administrativy (především min, zdravotnictví a min. práce a soc. věcí)

Příklady nezbytné spolupráce:

- sociální dávky – příspěvek na zakoupení pomůcek vs. číselník VZP, posuzování dávek na péči o osobu blízkou na základě „fyzického postižení“, nikoli „zdravotního“ atd.
- zavádění ICF do praxe a jeho specifikace k nemocem interního nebo kožního charakteru
- možnost kontroly práce posudkových lékařů z MPSV (zavedení instance, která může posoudit odbornost jejich posudku, zrušení výluky soudního přezkumu)
- podpora škol, aby nabízely dětem potřebné typy diet (fenylketonurie, cystická fibróza, celiakie, alergie a další), v případě nerealizovatelnosti těchto požadavků kompenzace nemožnosti užívání těchto služeb pacientům či jejich rodinám (např. dnes dítě na dietě, která je organizačně, časově i finančně velmi náročná se nejen nemůže ve školní jídelně stravovat, čímž přijde o dotaci na tuto stravu, ale navíc nepobírá ani žádný příspěvek na speciální potraviny, které zajišťují léčbu)
- komunikace a spolupráce příslušných resortů, zejména MPSV, MZ a zdravotních pojišťoven s patientskými organizacemi, např. semináře/vzdělávací akce o životě nemocných pro revizní a posudkové lékaře a další

6.3. Podpora zaměstnanosti jak pacientů se vzácnými onemocněními, tak rodičů nezletilých pacientů se vzácnými onemocněními. I v situaci, kde není viditelné „fyzické poškození zdraví“ mají pacienti určitá omezení daná léčbou za účelem alespoň udržení současného zdravotního stavu, která jim omezují možnosti běžného zapojení do pracovního procesu. Tito pacienti mají těžší uplatnění na trhu práce, i když ve většině případů mohou většinu profesí jen s minimálními omezeními provádět. Zvážit možnost podpory zaměstnávání pacientů se vzácnými onemocněními podle typu onemocnění a omezení např. formou daňových úlev (výše v závislosti na omezení podle typu onemocnění a nutnosti případných úlev)