

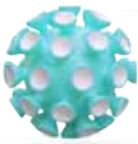
## Ανεκπλήρωτη Ιατρική Ανάγκη: Ένας ορισμός με επίκεντρο τους ασθενείς που προάγει την ανάπτυξη θεραπειών

Η κατανόηση της επιστημονικής προόδου είναι κρίσιμη για την αντιμετώπιση των ανεκπλήρωτων αναγκών και τη βελτίωση των εκβάσεων για τους ασθενείς.

Η ανάπτυξη φαρμάκων καθοδηγείται πάντα από τη φιλοδοξία να καλύψουν ανεκπλήρωτες ιατρικές ανάγκες (ΑΙΑ). Ωστόσο, **οι μεγάλες αλλαγές στον τρόπο κατανόησης των ασθενειών δεν είναι γραμμικές** και η πρόβλεψη του πού θα οδηγήσει η επιστήμη είναι συχνά αδύνατη.

Η έρευνα μπορεί να καταλήξει σε πολλά αδιέξοδα πριν οδηγήσει σε ένα νέο φάρμακο, **ενώ οι προσπάθειες αντιμετώπισης μιας συγκεκριμένης ασθένειας μπορούν να οδηγήσουν σε σημαντικές προόδους σε άλλους τομείς.**

Ο τρόπος με τον οποίο ορίζουμε και ενισχύουμε την ιατρική καινοτομία θα καθορίσει τις μελλοντικές εξελίξεις στην ιατρική πρόοδο. Για να το επιτύχουμε αυτό, **πρέπει να ενισχύσουμε, να επιβραβεύσουμε και να στηρίξουμε ένα ευρύ ερευνητικό οικοσύστημα** που επιτρέπει στην επιστήμη να εξερευνήσει νέους δρόμους. Η αποτελεσματική αντιμετώπιση των ανεκπλήρωτων ιατρικών αναγκών απαιτεί εργαλεία που ευθυγραμμίζονται με την πραγματικότητα της επιστημονικής προόδου και των επενδύσεων στην Έρευνα και Ανάπτυξη.



**Η τεχνολογία mRNA, η οποία αρχικά ερευνήθηκε ως πιθανή θεραπευτική προσέγγιση στην ογκολογία, μελετήθηκε για δεκαετίες με ελάχιστες ή καθόλου κλινικές εφαρμογές. Ωστόσο, αυτή η μακροχρόνια έρευνα μας παρείχε ένα εργαλείο που αξιοποιήθηκε για την προστασία των πολιτών από τον κορωνοϊό.**

### Σωστός στόχος, λανθασμένη προσέγγιση

Η πρόταση της ΕΕ για την αναθεώρηση της ευρωπαϊκής φαρμακευτικής νομοθεσίας περιλαμβάνει έναν περιορισμένο ορισμό της ανεκπλήρωτης ιατρικής ανάγκης. **Αυτό θα αποθαρρύνει τις επενδύσεις σε ορισμένους τομείς, περιορίζοντας τη μελλοντική καινοτομία.**

Σύμφωνα με την πρόταση της Ευρωπαϊκής Επιτροπής, μόνο το **18%** των φαρμάκων είναι πολύ πιθανό να αξιολογηθούν ως φάρμακα που αντιμετωπίζουν μια ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη, προκαλώντας σοβαρό αντίκτυπο σε συγκεκριμένες κατηγορίες ασθενειών, όπως τα καρδιαγγειακά νοσήματα (CVD), ο διαβήτης, η ημικρανία και ορισμένες ενδείξεις στην ογκολογία<sup>1</sup>.

### Χρειάζεται ένας ευρύτες, με επίκεντρο τον ασθενή ορισμός της ανεκπλήρωτης ιατρικής ανάγκης.

**Ο ορισμός της ανεκπλήρωτης ιατρικής ανάγκης είναι προσωπική υπόθεση.** Οι ασθενείς με χρόνιες παθήσεις είναι εκείνοι που μπορούν να ορίσουν τις ανεκπλήρωτες ιατρικές τους ανάγκες διαφορετικά από άτομα που αντιμετωπίζουν μία απειλητική για τη ζωή τους ασθένεια. Ο περιορισμός των ανεκπλήρωτων ιατρικών αναγκών σε ασθένειες απειλητικές για τη ζωή ή σοβαρά εξουθενωτικές κινδυνεύει να υποβαθμίσει καταστάσεις που, αν και δεν πληρούν αυτά τα κριτήρια, επιφέρουν σοβαρές αρνητικές συνέπειες για τους ασθενείς, τους φροντιστές τους και την κοινωνία. **Ένας πιο ευρύς, με επίκεντρο τον ασθενή ορισμός της ανεκπλήρωτης ιατρικής ανάγκης θα ενθάρρυνε την έρευνα για χρόνιες εξουθενωτικές καταστάσεις που επηρεάζουν σημαντικά την ποιότητα ζωής και την υποχώρηση της νόσου, δίνοντας έμφαση στη διαχείριση της νόσου και στην αδυναμία εκτέλεσης καθημερινών δραστηριοτήτων.** Αυτός ο ευρύτερος ορισμός θα πρέπει επίσης να αντικατοπτρίζει τις ανάγκες των ασθενών προάγοντας θεραπείες, μέτρα πρόληψης και εμβόλια που καλύπτουν αυτές τις σημαντικές ανησυχίες.

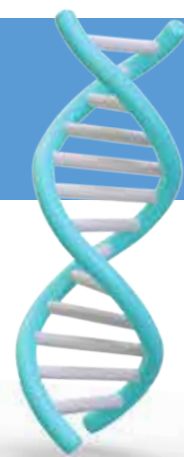
Εάν είχε εφαρμοστεί ένας στενός ορισμός τα τελευταία 20 χρόνια, η αλλαγή παραδείγματος στη διαχείριση του διαβήτη τύπου 2 και οι θεραπείες που έχουν επιφέρει μεγάλα οφέλη στους τομείς των νευροεκφυλιστικών νόσων και των καρδιαγγειακών παθήσεων απλά δεν θα ήταν εφικτό να υλοποιηθούν.

1. EFPIA, The Commission's criteria to define unmet medical need and high unmet medical need. Implications of a proposed incentive framework, <https://efpia.eu/media/4aep340e/criteria-to-define-umn-and-humn-implications-of-a-proposed-incentive-framework.pdf>

Η επιστημονική πρόοδος συντελείται σταδιακά. Καθώς οι επενδύσεις για την αντιμετώπιση μιας ασθένειας μπορεί να εξαρτώνται από την ύπαρξη κατάλληλων κινήτρων, το ευρωπαϊκό νομοθετικό πλαίσιο πρέπει να σχεδιαστεί έτσι ώστε να υποστηρίζει τόσο τις ριζικές όσο και τις σταδιακές καινοτομίες.

**Ένας στενός ορισμός της ανεκπλήρωτης ιατρικής ανάγκης θα παρέβλεπε τη σταδιακή καινοτομία**, όπως η μείωση του πόνου, η επιβράδυνση της εξέλιξης της νόσου ή η βελτίωση της συμμόρφωσης στη θεραπεία, λαμβάνοντας υπόψη τις προτιμήσεις των ασθενών ως προς τον τρόπο χορήγησης των θεραπειών.

Είναι απίθανο για οποιονδήποτε πληθυσμό ασθενών με ανεκπλήρωτη ιατρική ανάγκη να υπάρξει ένα και μοναδικό φάρμακο που θα καλύψει πλήρως αυτήν την ανάγκη. **Πιο πιθανό είναι ότι πολλαπλά φάρμακα θα καλύψουν διαφορετικές πτυχές της ανεκπλήρωτης ιατρικής ανάγκης**, προσφέροντας συμπληρωματική αποτελεσματικότητα.



Η αντιμετώπιση των ανεκπλήρωτων ιατρικών αναγκών μέσω της καινοτομίας είναι στον πυρήνα κάθε δραστηριότητας της φαρμακευτικής βιομηχανίας, οδηγώντας σε σημαντικές προόδους στη φροντίδα των ασθενών. Κάθε θεραπεία που καθίσταται διαθέσιμη στους ασθενείς συμβάλλει στην πρόοδο της έρευνας, κάνοντας τελικά δυνατή την ανάπτυξη νέων καινοτόμων θεραπειών.

Καρκίνος του τραχήλου της μήτρας	Ηπατίτιδα C	Κυστική Ίνωση
Το 2020, 13.437 γυναίκες σε όλη την Ευρώπη έχασαν τη ζωή τους από καρκίνο του τραχήλου της μήτρας. Χάρη στη προστασία που προσφέρει το εμβόλιο κατά του HPV, ο κίνδυνος εμφάνισης της νόσου μειώνεται κατά 90%, σώζοντας 90 εκατομμύρια γυναίκες <sup>1</sup> .	Περίπου 15 εκατομμύρια Ευρωπαίοι ζουν με ηπατίτιδα C. Χάρη στα καινοτόμα φάρμακα, το ποσοστό ίασης φτάνει το 95% <sup>2</sup> .	Μια θεραπεία για την κυστική ίνωση εγκρίθηκε από τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων το 2020, 30 χρόνια μετά την ανακάλυψη της γονιδιακής μετάλλαξης που προκαλεί τη νόσο. Αυτή ήταν η ένατη διαθέσιμη θεραπευτική επιλογή. Από το 2012, έξι φάρμακα προσέφεραν θεραπευτικές επιλογές στους ασθενείς, ανοίγοντας τον δρόμο για την ανάπτυξη της ένατης θεραπείας.
HIV	Ψωρίαση	Προχωρημένο Μελάνωμα
Το πρώτο αντιρετροϊκό φάρμακο για τη θεραπεία του HIV εγκρίθηκε το 1986. Ακολούθησαν αρκετά ακόμη τη δεκαετία του 1990, καθώς και νέες κατηγορίες φαρμάκων που δρούσαν πολύ πιο γρήγορα από τα προηγούμενα. Οι καινοτόμες θεραπείες έχουν μετατρέψει τα τελευταία 30 χρόνια τον HIV από θανατηφόρο νόσημα σε μια διαχειρίσιμη κατάσταση.	Στη δεκαετία του 2000, οι βιολογικές θεραπείες που αναπτύχθηκαν αρχικά για τη ρευματοειδή αρθρίτιδα αποδείχθηκε ότι μείωναν τις δερματικές βλάβες σε ασθενείς με ψωριασική αρθρίτιδα. Αυτές επέφεραν βελτίωση των συμπτωμάτων της ψωρίασης κατά 75% σε περίπου το ήμισυ των ασθενών. Χτίζοντας πάνω σε αυτήν την ανακάλυψη, οι επόμενες ανακαλύψεις αύξησαν τον αριθμό των ασθενών χωρίς ανιχνεύσιμη ψωρίαση από 0,1% με εικονικό φάρμακο σε 4,2% με την πρώτη βιολογική θεραπεία και σε 40% με τις τρέχουσες θεραπείες.	Τα ποσοστά επιβίωσης για το προχωρημένο μελάνωμα έχουν σημειώσει σταδιακή αύξηση τα τελευταία χρόνια – και υπάρχει ακόμη περιθώριο για βελτίωση. Δέκα χρόνια πριν, μόνο το 10-15% των ασθενών επιβίωναν πέντε χρόνια μετά τη διάγνωση. Η ανοσοθεραπεία έφερε κάποια πρόοδο, αλλά οι πρώτες θεραπείες ήταν ακριβές και είχαν ισχυρές παρενέργειες. Σήμερα, χάρη στη σταδιακή καινοτομία έχουν αυξηθεί τα ποσοστά επιβίωσης στο 60%.

## ΚΥΡΙΑ ΣΗΜΕΙΑ

- 1 Οι ορισμοί της Ανεκπλήρωτης Ιατρικής Ανάγκης και της Υψηλής Ανεκπλήρωτης Ιατρικής Ανάγκης στοχεύουν στη δημιουργία ενός πλαισίου που ενθαρρύνει την καινοτομία σε τομείς με την μεγαλύτερη ανάγκη. Παίζουν κρίσιμο ρόλο στις αποφάσεις επένδυσης και προτεραιότητας μεταξύ των ενδιαφερομένων μερών, όπως ρυθμιστικές αρχές, υπηρεσίες Αξιολόγησης Τεχνολογιών Υγείας (ATY), χρηματοδότες, ακαδημαϊκή κοινότητα και η φαρμακευτική βιομηχανία.
- 2 Ο προσδιορισμός μιας κατάστασης ως Ανεκπλήρωτης Ιατρικής Ανάγκης αναδεικνύουν τη σημασία της για την πολιτική υγείας, ενθαρρύνει τις ερευνητικές δραστηριότητες και προάγει την ανάπτυξη καινοτόμων θεραπειών και τεχνολογιών υγείας.
- 3 Ο ορισμός θα πρέπει να αναγνωρίζει την ανάγκη των ασθενών για θεραπείες επιτρέπουν προόδους, πέρα από τα αποτελέσματα νοσηρότητας και θνησιμότητας.
- 4 Είναι απαραίτητη η συμμετοχή όλων των ενδιαφερομένων μερών για τον προσδιορισμό της Ανεκπλήρωτης Ιατρικής Ανάγκης από διάφορες οπτικές γωνίες. Αυτές οι συνεργασίες πολλών ενδιαφερομένων θα πρέπει να περιλαμβάνουν εκπροσώπους από διαφορετικές ομάδες ασθενών, καθώς και ευρύτερους φορείς της κοινωνίας και του συστήματος υγειονομικής περίθαλψης. Για αυτόν τον σκοπό, θα πρέπει να αναπτυχθούν σαφείς κανόνες εμπλοκής.
- 5 Ανάπτυξη ενός πιο περιεκτικού και επικεντρωμένου στον ασθενή ορισμού της Ανεκπλήρωτης Ιατρικής Ανάγκης. Αναγνωρίζοντας την αξία της καινοτομίας και ενθαρρύνοντας τις προόδους στην πρόληψη, τις θεραπείες και τη φροντίδα, η Ευρώπη μπορεί να διασφαλίσει ότι κανένας ασθενής δεν θα αποκλειστεί.