



Брой 1

юни 2010

ЛЕКАРСТВА-СИРАЦИ В БЪЛГАРИЯ

ПЕРИОДИЧЕН ОБЗОР НА ДОСТЪПА ДО ЛЕКАРСТВЕНИ ПРОДУКТИ ЗА РЕДКИ БОЛЕСТИ В БЪЛГАРИЯ

Методология

„Лекарство-сирак“ е лекарствен продукт, който:

- е предназначен за диагностика, профилактика или лечение на животозастрашаващи болести или прогресивно протичащи хронични заболявания, които засягат не повече от 5 на 10 000 човека на територията на страната; или
- е предназначен за диагностика, профилактика или лечение на животозастрашаващи болести и на сериозно увреждащи здравето хронични състояния (заболявания с висок дял на болестно-свързаната неработоспособност и инвалидност) и са приложени доказателства, че продажбата на продукта не осигурява задоволителна възвращаемост, която да оправдае необходимите инвестиции за научноизследователска и развойна дейност, без да има стимули за създателя на продукта; и
- когато няма задоволителен метод за диагностика, профилактика или лечение на съответното състояние, или ако има такъв метод, предложеният лекарствен продукт има значително повече предимства от него и полза за засегнатите от това състояние.

В обзора са включени лекарствени средства, получили към този момент статут на лекарство-сирак (съгласно Регулация (ЕС) No 141/2000) от Европейската лекарствена агенция (ЕМА) и притежаващи маркетингова оторизация с положителна оценка за „значителни ползи“ на територията на Европейския съюз.

Списъкът е подреден по търговско име в азбучен ред, като за всяко лекарство-сирак са посочени неговия АТС код, активна субстанция, притежател на маркетинговото разрешение и датата му на получаване. Указани са състоянията, за които медикаментът се прилага, както и информация за наличие в Позитивния лекарствен списък (ПЛС) на България и Наредба 34 от 25 ноември 2005 г. за реда за заплащане от републиканския бюджет на лечението на българските граждани за заболявания, извън обхвата на задължителното здравно осигуряване (НЗ4).

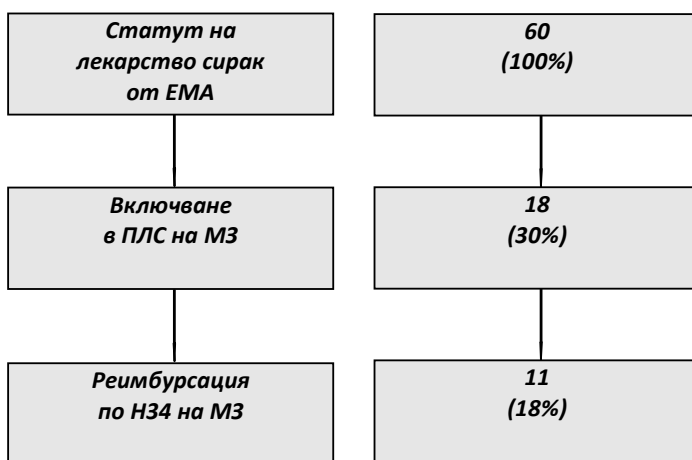
Ползвани източници и връзки:

- Европейската лекарствена агенция (ЕМА) – [Регистър на лекарствените продукти](#)
- Министерство на здравеопазването (МЗ) – [Позитивен лекарствен списък](#)
- Министерство на здравеопазването (МЗ) – [НАРЕДБА № 34 от 25 ноември 2005 г. за реда за заплащане от републиканския бюджет на лечението на българските граждани за заболявания, извън обхвата на задължителното здравно осигуряване](#)
- Изпълнителна агенция по лекарствата (ИАЛ) – [Регистър на лекарствени продукти](#)

За въпроси или коментари: info@raredis.org

РЕЗЮМЕ

Към този момент, 60 медицински продукта имат статут на лекарство-сирак, издаден от Европейската агенция по лекарствата (ЕМА). Те са разрешени за употреба по централизирана процедура съгласно Регламент (ЕО) №726/2004 на Европейския парламент и на Съвета от 31 март 2004 година. Разрешенията за употреба важат за всички страни от Европейския съюз, включително и България. От тях, 18 са включени в новия Позитивен лекарствен списък (ПЛС) (приложения 3 и 4) и 11 се реимбурсират по Наредба 34 (Диаграма 1). Средно 44 месеца е закъснението от получаването на маркетинг оторизация от ЕМА до включването в ПЛС (Таблица 1).



Диаграма 1. Достъп до лекарства сираци в България

Таблица 1*. Време от получаване на статут на лекарство сирак до включване в ПЛС

Търговско наименование	Дата на маркетинг оторизация от ЕМА	Дата на включване в ПЛС	Закъснение (в месеци)
Elaprase	08/01/2007	24/06/2009	29 месеца
Exjade	28/08/2006	24/06/2009	34 месеца
Naglazyme	24/01/2006	24/06/2009	41 месеца
Nplate	04/02/2009	09/02/2010	12 месеца
Somavert	13/11/2002	24/06/2009	79 месеца
Torisel	19/11/2007	21/08/2009	21 месеца
Tracleer	15/05/2002	08/04/2010	95 месеца
		Средно:	44 месеца

*Заб.: Представена е информация само за медикаментите, добавени в новия ПЛС след 1 юни 2009.

Лекарства сираци в Европейския съюз и България

(по търговско име в азбучен ред)

Търговско име	Активна субстанция и АТС код	Индикация при	Притежател на маркетинг оторизация	Дата на маркет. оторизац. от ЕМА	ПЛС (приложение)	Наредба 34 на МЗ
AFINITOR	Everolimus L01XE10	Бъбречно-клетъчен карцином	Novartis Europharm Ltd	03/08/2009		
ALDURAZYME	Laronidase A16AB05	Мукополизахаридоза тип I	Genzyme B.V.	10/06/2003	ДА (П4)	Не
ARCALYST	Rilonacept L04AC08	Периодични синдроми, свързани с криопирин, включващи фамилен студов автовъзпалителен синдром и синдром на Muckle-Wells	Regeneron UK Limited	23/10/2009		
ARZERRA	Ofatumumab L01XC10	Хронична лимфоцитна левкемия	Glaxo Group Ltd.	19/04/2010		
ATRIANCE	Nelarabine L01BB07	Остра лимфобластна левкемия	GlaxoSmithKline Research & Development Limited	22/08/2007	ДА (П3)	Да
BUSILVEX	Busulfan L01AB01	Транслатация на хематопоетични прогениторни клетки	Pierre Fabre Médicament	09/07/2003		
CARBAGLU	N-carbamyl-L-glutamic acid A16AA05	Хиперамонемия при пациенти с недостиг на N-ацетилглутамат синтаза	Orphan Europe	24/01/2003		
CAYSTON	Aztreonam J01DF01	Муковисцидоза	Gilead Sciences International Limited	21/09/2009		
CEPLENE	Histamine dihydrochloride L03AX14	Остра миелоидна левкемия	EpiCept GmbH	07/10/2008		
CYSTADANE	Betaine anhydrous A16AA06	Хомоцистинурия	Orphan Europe	15/02/2007		
DIACOMIT	Stiripentol N03AX17	Остра миоклонична епилепсия	Biocodex	04/01/2007		
ELAPRASE	Idursulfase A16AB09	Мукополизахаридоза тип II (синдром на Hunter)	TKT UK Ltd	08/01/2007	ДА (П4)	Да
EVOLTRA	Clofarabine L01BB06	Остра лимфобластна левкемия	Bioenvision Limited	29/05/2006		
EXJADE	Deferasirox V03AC03	Хронично свръхобременяване с желязо	Novartis Europharm Limited	28/08/2006	ДА (П3, П4)	Да

FABRAZYME	Alpha-Galactosidase A16AB04	Болест на Фабри	Genzyme B.V.	03/08/2001	ДА (П4)	Да
FIRAZYR	Icatibant acetate C01EB19	Наследствен ангиоедем	Jerini AG	11/07/2008		
FIRDAPSE (ex-ZENAS)	Amifampridine N07XX05	Миастенен синдром на Lambert-Eaton	EUSA Pharma SAS	23/12/2009		
GLIOLAN	5-aminolevulinic acid hydrochloride L01XD04	Злокачествен глиом	Medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate mbH	07/09/2007		
GLIVEC	Imatinib mesilate L01XX28	Хронична миелоидна левкемия Pn+ остра лимфобластна левкемия Миелодиспластични или миелопролиферативни заболявания Напреднал хиперезинофилен синдром (ХЕС) или хронична еозинофилна левкемия Гастроинтестинални тумори на съединителната тъкан Дерматофибросаркома протуберанс	Novartis Euro- pharm Limited	07/11/2001	ДА (ПЗ, П4)	Да
ILARIS	Canakinumab L04AC08	Периодични синдроми, свързани с криопирин	Novartis Europharm Ltd	23/10/2009		
INCRELEX	Mecasermin H01AC03	Първичен дефицит на инсулиноподобен растежен фактор-1	Tercica Europe Limited	03/08/2007		
INOVELON	Rufinamide N03AF03	Синдром на Lennox-Gastaut	Eisai Limited	16/01/2007		
KUVAN	Sapropterin dihydrochloride A16AX07	Хиперфенилаланинемия	Merck KGaA	02/12/2008		
LITAK	Cladribine L01BB04	Косматоклетъчна левкемия	Lipomed GmbH	14/04/2004	ДА (ПЗ)	Да
LYSODREN	Mitotane L01XX23	Адренален кортикален карцином	Laboratoire HRA Pharma	28/04/2004		
MEPACT	Mifamurtide L03AX15	Остеосарком	IDM Pharma S.A.	06/03/2009		
MOZOBIL	Plerixafor L03AX16	Лимфом Мултиплен миелом	Genzyme Europe B.V.	31/07/2009		
MYOZYME	Recombinant human acid alpha glucosidase A16AB07	Гликогенна болест на натрупването тип II (болест на Pompe)	Genzyme Europe B.V.	29/03/2006	ДА (П4)	Не
NAGLAZYME	N- acetylgalactosamine- 4- sulfatase A16AB08	Мукополизахаридоза, тип 6 (синдром на Maroteaux- Lamy)	BioMarin Europe Ltd	24/01/2006	ДА (П4)	Не

NEXAVAR	Sorafenib L01XE05	Бъбречно-клетъчен карцином Хепатоцелуларен карцином	Bayer Healthcare AG	19/07/2006	ДА (ПЗ)	Да
NPLATE	Romiplostim B02BX04	Имунна тромбоцитопенична пурпура	Amgen Europe B.V.	04/02/2009	ДА (П4)	Не
NYMUSA	Caffeine citrate N06BC01	Първична апнея	Chiesi Farmaceutici SpA	02/07/2009		
ONSENAL	Celecoxib L01XX33	Фамилна аденоматозна полипоза	Pharmacia-Pfizer EEIG	17/10/2006		
ORFADIN	Nitisinone A16A X04	Тирозинемия тип 1	Swedish Orphan International AB	21/02/2005		
PEDEA	Ibuprofen C01EB16	Отворен ductus arteriosus	Orphan Europe	29/07/2004		
PHOTOBARR	Porfimer sodium L01XD01	Езофагит на Барет	Axcan Pharma International BV	25/03/2004		
PRIALT	Ziconotide N02BG08	Хронична болка, изискваща интраспинална аналгезия	Elan Pharma In- ternational Ltd.	21/02/2005		
REPLAGAL	Alpha-Galactosidase A A16AB03	Болест на Фабри	TKT UK Ltd.	03/08/2001		
REVATIO	Sildenafil citrate G04B E03	Първична пулмонална хипертония	Pfizer Limited	28/10/2005	ДА (П4)	Не
REVLIMID	Lenalidomide L04AX04	Мултиплен миелом	Celgene Europe Limited	14/06/2007		
REVOLADE	Eltrombopag B02BX05	Имунна тромбоцитопенична пурпура	Glaxo-SmithKline Trading Services Limited	11/03/2010		
SAVENE	Dexrazoxane V03AF02	Екстравазация на антрациклини	TopoTarget A/S	28/07/2006		
SIKLOS	Hydroxycarbamide L01XX05	Сърповидноклетъчен синдром	OTL Pharma	29/06/2007		
SOLIRIS	Eculizumab L04AA25	Пароксимална нощна хемоглобинурия	QuadraMed Limited	20/06/2007		
SOMAVERT	Pegvisomant H01AX01	Акромегалия	Pfizer Limited	13/11/2002	ДА (П4)	Да
SPRYCEL	Dasatinib L01XE06	Хронична миелоидна левкемия Остра лимфобластна левкемия	Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG	20/11/2006	ДА (ПЗ)	Да
TASIGNA	Nilotinib L01XE08	Хронична миелоидна левкемия	Novartis Europharm Limited	19/11/2007	ДА (ПЗ, П4)	Да

TEPADINA	Thiotepa L01AC01	Трансплантация на хемopoетични прогениторни клетки	ADIENNE S.r.l.	15/03/2010		
THALIDOMIDE CELGENE	Thalidomide L04AX02	Мултиплена миелома	Celgene Europe Ltd	16/04/2008		
THELIN	Sitaxentan sodium C02KX03	Белодробна артериална хипертония	Encysive (UK) Limited	10/08/2006		
TORISEL	Temsirolimus L01XE09	Бъбречно-клетъчен карцином	Wyeth Europa Limited	19/11/2007	ДА (ПЗ)	Да
TRACLEER	Bosentan monohydrate C02KX01	Първична пулмонална хипертония	Actelion Regis- tration Limited	15/05/2002	ДА (П4)	Не
TRISENOX	Arsenic Trioxide L01XX27	Остра промиелоцитична левкемия	Cell Therapeutics (UK) Limited	05/03/2002		
VENTAVIS	Iloprost B01AC11	Първична пулмонална хипертония	Schering AG	16/09/2003	ДА(П4)	Да
VIDAZA	Azacitidine L01BC07	Миелодиспластичен синдром Хронична миеломоноцитна левкемия Остра миелоидна левкемия	Celgene Europe Ltd	17/12/2008		
VOLIBRIS	Ambrisentan C02KX02	Първична пулмонална хипертония	Glaxo Group Ltd	21/04/2008		
WILZIN	Zinc acetate dihydrate A16AX05	Болест на Уилсън	Orphan Europe	13/10/2004		
XAGRID	Anagrelide Hydrochloride L01XX35	Есенциална тромбоцитонемия	Shire Pharma- ceutical Develop- ment Ltd	16/11/2004		
YONDELIS	Trabectedin L01CX01	Сарком на меките тъкани	Pharma Mar SA	17/09/2007		
ZAVESCA	Miglustat A16AX06	Болест на Гоше Болест на Ниман-Пик тип С	Actelion Regis- tration Limited	20/11/2002		