

Брой 3

Септември 2012

## ЛЕКАРСТВА СИРАЦИ В БЪЛГАРИЯ

ПЕРИОДИЧЕН ОБЗОР НА ДОСТЪПА ДО ЛЕКАРСТВА СИРАЦИ 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, притежаващи към септември 2012 г. (1) статут на лекарство сирак (съгласно Регулация (ЕС) No 141/2000) от Европейската лекарствена агенция (ЕМА) и (2) 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 активна субстанция, състояния, за които медикаментът се прилага, както и информация за наличие в Позитивния лекарствен списък (ПЛС) на България.

Използвани източници и връзки:

- Европейската лекарствена агенция (ЕМА) – [Регистър на лекарствените продукти](#)
- Министерство на здравеопазването (МЗ) – [Позитивен лекарствен списък](#)

### Авторски права

Всички права запазени. Главен редактор: Румен Стефанов. Автор на обзора: Георги Искров.

Съдържанието на обзора е със свободен достъп и безплатно за разпространение, публичен показ и др. при коректно цитиране на първоизточника. Правилният начин за цитиране на първоизточника е следният:

„Лекарства сираци в България, Поредица обзори на ИЦРБЛС, септември 2012,  
[http://raredis.org/pub/OD\\_Report\\_2012\\_BG.pdf](http://raredis.org/pub/OD_Report_2012_BG.pdf)”

За въпроси и коментари: [info@raredis.org](mailto:info@raredis.org)

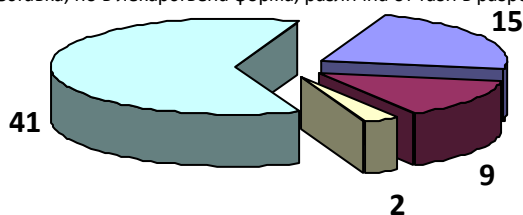
© 2012 БАПОН.

## РЕЗЮМЕ

Година и половина след предишния обзор на тази тема (март 2011 г.) ИЦРБЛС актуализира обзора си за достъпа до лекарствата сираци. В края на 2011 г. бяха направени сериозни промени в националната законовата рамка по този въпрос. Към септември 2012 г. списъкът с достъпните лекарства сираци в България има следния вид:

Търговско име	Активна съставка	Показания	ПЛС
Atriance	nelarabine	T-клетъчна остра лимфобластна левкемия, T-клетъчен лимфобластен лимфом	П2
Cayston	aztreonam lysine	Муковисцидоза	П2*
Elaprase	idursulfase	Мукополизахаридоза тип II	П1, П2
Evoltra	clofarabine	Остра лимфобластна левкемия	П2
Exjade	deferasirox	Бета-таласемия майор	П1, П2
Fabrazyme	agalsidase beta	Болест на Fabry	П1
Glivec	imatinib	Rh+ хронична миелоидна левкемия, Rh+ остра лимфобластна левкемия, миелодиспластични или миелопролиферативни заболявания, напреднал хиперезинофилен синдром или хронична еозинофилна левкемия, гастроинтестинални стромални тумори	П1, П2
Litak	cladribine	Косматоклетъчна левкемия	П2
Lysodren	mitotane	Напреднал карцином на кората на надбъбречната жлеза	П2
Mozobil	plerixafor	Събиране на хемopoетични стволови клетки за трансплантация при пациенти с лимфом или мултиплен миелом	П2
Nexavar	sorafenib	Хепатоцелуларен карцином, авансирал бъбречно-клетъчен карцином	П1, П2
Nplate	romiplostim	Хронична имунна тромбоцитопенична пурпура	П2
Revatio	sildenafil	Белодробна артериална хипертония	П1
Revolade	eltrombopag	Хронична имунна тромбоцитопенична пурпура	П1, П2
Somavert	pegvisomant	Акромегалия	П1, П2
Sprycel	dasatinib	Rh+ хронична миелоидна левкемия, Rh+ остра лимфобластна левкемия	П1, П2
Tasigna	nilotinib	Rh+ хронична миелоидна левкемия	П1, П2
Tobi Podhaler	tobramycin	Муковисцидоза	П1, П2*
Torisel	temsirolimus	Напреднал бъбречноклетъчен карцином, мантийно клетъчен лимфом	П2
Tracleer	bosentan monohydrate	Белодробна артериална хипертония, склеродермия	П1
Ventavis	iloprost	Белодробна артериална хипертония	П1, П2
Volibris	ambrisentan	Белодробна артериална хипертония	П1, П2
Votubia	everolimus	Субependимален гигантоклетъчен астроцитом	П1, П2
Xagrid	anagrelide	Есенциална тромбоцитемия	П2
Yondelis	trabectedin	Авансирал сарком на меките тъкани, овариален рак	П2
Zavesca	miglustat	Болест на Gaucher тип I, болест на Niemann-Pick тип C	П1, П2

\* В ПЛС в включен медикамент със същата активна съставка, но в лекарствена форма, различна от тази в разрешението на ЕМА.



<span style="color: blue;">■</span>	Достъпни (заплащат се от НЗОК)
<span style="color: red;">■</span>	Достъпни (заплащат се от бюджета на лечебните заведения)
<span style="color: yellow;">■</span>	Включени в ПЛС под друга лекарствена форма
<span style="color: lightblue;">■</span>	Недостъпни в България

Към момента, Европейската лекарствена агенция е издала разрешение за употреба на 67 лекарства сираци. У нас, 2/3 от тях са на практика недостъпни предвид факта, че не се реимбурсират. Повече за причините за това може да прочетете в научната статия [Challenges to orphan drugs access: the case of Bulgaria](#), която бе наскоро публикувана в авторитетното международно списание *Health Policy*.