MYKOLO ROMERIO UNIVERSITETAS

Indrė Špokienė

RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO REGLAMENTAVIMAS SVEIKATOS TEISĖJE

Daktaro disertacija

Socialiniai mokslai, teisė (01 S)

Vilnius, 2009

Disertacija rengta 2005–2009 metais Mykolo Romerio universiteto Bioteisės katedroje.

Mokslinis vadovas:

doc. dr. Jonas Juškevičius (Mykolo Romerio universitetas, socialiniai mokslai, teisė – 01 S).

Mokslinis konsultantas:

prof. habil. dr. Donatas Stakišaitis (Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba prie Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministerijos, biomedicinos mokslai, medicina – 07 B).

TURINYS

SANTRUMPŲ SĄRAŠAS **5**

TERMINŲ ŽODYNĖLIS **6**

ĮVADAS **7**

1. RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO REGLAMENTAVIMO PASAULINĖS TENDENCIJOS IR YPATUMAI EUROPOS SĄJUNGOJE **21**

1.1. 1983 metų JAV ,,Retųjų vaistų aktas“ 23

1.2. 1993 metų Japonijos farmacinės veiklos įstatymo pataisos dėl retųjų vaistų 31

1.3. 1999 metų Europos Parlamento ir Tarybos reglamentas (EB) Nr. 141/2000 ,,Dėl retųjų vaistų“ 33

1.3.1. Reglamento 141/2000/EB rengimas ir priėmimas 33

1.3.2. Sąvokos ,,reta liga“ mokslinės ir teisinės apibrėžtys 39

1.3.2.1. Terminų ,,liga“ ir ,,būklė“ bendrosios charakteristikos 39

1.3.2.2. Teisiniai ligos priskyrimo retų ligų kategorijai kriterijai 43

1.3.3. Retojo vaisto samprata 46

1.3.3.1. Sąvokos ,,vaistinis preparatas (vaistas)“ apibrėžimo raida Bendrijos teisėje 46

1.3.3.2. Vaistų priskyrimas retųjų vaistų kategorijai: procedūra ir teisinių kriterijų įrodinėjimo ypatumai 49

1.3 3.3. Vaistų įtraukimo ir pašalinimo iš Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registro teisiniai pagrindai 57

1.4. 141/2000/EB reglamento nuostatų pritaikomumas vaistams ,,atogrąžų ligoms“ gydyti 59

2. RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO TEISINĖS PRIELAIDOS **63**

2.1. Teisės į sveikatos priežiūrą įgyvendinimas 63

2.1.1. Teisė į sveikatos priežiūrą žmogaus teisių doktrinoje, jos užtikrinimo klausimas 63

2.1.2. Teisės į sveikatos priežiūrą sampratos ypatumai ir raiška nacionalinėje teisėje 68

2.1.2.1. Teisės į sveikatos priežiūrą konstitucinė doktrina Lietuvoje 68

2.1.2.2. Teisė į sveikatos priežiūrą ir jos prieinamumą Lietuvos Respublikos pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatyme 74

2.1.2.3. Teisės į sveikatos priežiūrą ir vaistų prieinamumo užtikrinimo sąsajos 77

2.2. Lygiateisiškumo ir solidarumo principų įgyvendinimas 84

3. RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO SKATINIMO TEISINIS REGULIAVIMAS EUROPOS SĄJUNGOJE IR UŽTIKRINIMAS LIETUVOJE **89**

3.1. Prieinamumo skatinimas per ES lygiu įteisintas paskatas retųjų vaistų kūrimui bei lengvatas jų registravimui 90

3.1.1. Protokolinė pagalba 90

3.1.2. Rinkodaros teisių suteikimo retiesiems vaistams lengvatos 91

3.1.2.1. Centralizuotos procedūros taikymo retųjų vaistų registravimui įteisinimas 92

3.1.2.2. ,,Sąlyginių leidimų“ ir ,,išskirtinėmis aplinkybėmis“ suteikiamų leidimų prekiauti vaistu išdavimas 97

3.1.3. Rinkos išimtinumo patvirtintam retajam vaistiniam preparatui paskata ... 99
3.1.3.1. Rinkos išimtinumo sampratos akcentai ... 99
3.1.3.2. Patentuotų retoms ligoms gydyti skirtų vaistų ir retųjų vaistų rinkos išimtinumo statuso interakcijos ... 102
3.1.3.3. Rinkos išimtinumo laikotarpio sutrumpinimo pagrindai ... 105
3.1.4. Finansinė parama retų ligų moksliniams tyrimams ir mokesčių lengvatos ... 109
3.2. Prieinamumo skatinimas ir užtikrinimas įteisintomis išimtimis dėl pacientų gydymo neregistruotais vaistais ... 112
3.2.1. Galimybė dalyvavauti retųjų vaistų klinikiniuose tyrimuose ... 114
3.2.2. Galimybė skirti ir vartoti vardinius vaistus ir dalyvauti labdaringose vaistų programose ... 117
3.2.3. Neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo materialinės teisinės garantijos Lietuvoje ... 123
3.3. Prieinamumo užtikrinimas kompensuojant retoms ligoms gydyti skirtus vaistus ar gydymą užsienyje ... 128
3.3.1. Bendrijos teise nustatyti nacionalinių sprendimų dėl vaistų kainos ir kompensavimo priėmimo terminai ... 128
3.3.2. Retųjų vaistų ekonominio prieinamumo užtikrinimo dilema ... 130
3.3.2.1. Teisingumo teorijos taikymo sveikatos priežiūroje galimybės ir ribos ... 133
3.3.2.2. Polemika dėl retųjų vaistų kompensavimo etinių ir teisinių pagrindų ... 135
3.3.2.3. Farmakoekonominių kriterijų pritaikomumas svarstant retųjų vaistų kompensavimo klausimą ... 139
3.3.3. Retoms ligoms ar būklėms gydyti skirtų vaistų ir gydymo užsienyje ekonominio prieinamumo teisinės garantijos Lietuvoje ... 146
3.3.3.1. Registruotų retųjų vaistų ir retoms onkologinėms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumas Lietuvoje: reglamentavimas ir situacijos apžvalga ... 146
3.3.3.2. Labai retoms ligoms ar būklėms gydyti skirtų vaistų kompensavimo tvarkos ypatumai Lietuvoje ... 150
3.3.3.3. Pacientų siuntimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis Europos Sąjungos ir kitose šalyse tvarka Lietuvoje ir jos teisinis vertinimas ... 156
3.4. Prieinamumo skatinimas gerinant paciento teisės gauti informaciją įgyvendinimą ... 160
3.5. Valstybių ES narių iniciatyvos remiant retųjų vaistų kūrimą, tyrimus ir prieinamumą ... 166
IŠVADOS ... 171
PASIŪLYMAI ... 173
SUMMARY ... 174
NAUDOTOS LITERATŪROS SĄRAŠAS ... 191
PRIEDAI ... 221
AUTORĖS PUBLIKACIJŲ SĄRAŠAS ... 236

SANTRUMPŲ SĄRAŠAS

angl. – angliškai

ASPĮ – asmens sveikatos priežiūros įstaiga

aut. past. – autorės pastaba

EEB – Europos ekonominė bendrija

EEE – Europos ekonominė erdvė

EB – Europos Bendrija

EK – Europos Komisija

ES – Europos Sąjunga

ETT – Europos Bendrijų Teisingumo Teismas

Eurordis – European Organisation for Rare Diseases (angl.), Europos retomis ligomis sergančių pacientų organizacijų aljansas

FĮ – Farmacijos įstatymas

JAV – Jungtinės Amerikos Valstijos

kt. – kiti

liet. – lietuviškai

LR – Lietuvos Respublika

LRK – Lietuvos Respublikos Konstitucija

mln. – milijonas

OJ – ,,Official Journal“ (liet. Oficialusis leidinys)

pan. – panašiai

pastr. – pastraipa

pranc. – prancūziškai

proc. – procentai

PSDF – Privalomojo sveikatos draudimo fondas

PSO – Pasaulio sveikatos organizacija

PTŽSAĮ – Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymas

SAM – Sveikatos apsaugos ministerija

SDĮ – Sveikatos draudimo įstatymas

SSĮ – Sveikatos sistemos įstatymas

str. – straipsnis

v. – versus

VLK – Valstybinė ligonių kasa

VVKT – Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba

žr. – žiūrėti

TERMINŲ ŽODYNĖLIS

Centralizuota (vaistų) registravimo procedūra – vaistų centrinės registracijos būdas Europos Bendrijoje.

Centralizuotai perkami vaistai – brangūs, vartojami pagal apibrėžtas indikacijas vaistiniai preparatai, riboto skaičiaus specialistų skiriami tam tikram pacientų skaičiui.

Farmakoekonomika – optimalaus sveikatos priežiūros išteklių paskirstymo tyrimai, kurių tikslas įvertinti medicinos strategijas bent per vieną iš ekonominių kriterijų (pvz. konsultacijų skaičių, lovadienių ligoninėje skaičių, vaistų kainą ir pan.).

Ligos indikacija – simptomas, požymis, kad reikia, galima taikyti tam tikrą tyrimą, gydymą, vaistą.

Rėmėjas (angl. *sponsor*) – kiekvienas Bendrijoje įsisteigęs fizinis ar juridinis asmuo, siekiantis arba pasiekęs, kad vaistas būtų priskirtas retųjų vaistų kategorijai.

Klinikinis vaistinio preparato tyrimas – bet koks su žmonėmis atliekamas biomedicininis tyrimas, skirtas nustatyti, patikrinti ir patvirtinti vieno arba kelių tiriamųjų vaistinių preparatų klinikinį, farmakologinį ir (ar) kitokį farmakodinaminį poveikį ir (ar) nustatyti nepageidaujamas reakcijas į vieną ar kelis tiriamuosius vaistinius preparatus, ir (ar) ištirti vieno ar kelių tiriamųjų preparatų rezorbciją, pasiskirstymą, metabolizmą ir išskyrimą, siekiant nustatyti tiriamojo vaistinio preparato saugumą ir (ar) veiksmingumą.

Protokolinė pagalba (angl. *protocol assistance*) – tai retųjų vaistų rėmėjams teikiamos mokslinės konsultacijos, patarimai kaip atlikti įvairius mokslinius tyrimus. Tokias konsultacijas dažniausiai teikia Retųjų vaistų komitetas prie Europos vaistų agentūros.

Vardinis vaistas – pavieniam pacientui būtinas neregistruotas vaistas, kuris įvežamas į Lietuvos Respubliką remiantis to paciento gydytojo paskyrimu ir vartojamas gydytojui tiesiogiai atsakant.

Vaistinio preparato rinkodaros teisė – asmens teisė organizuoti vaistinio preparato tiekimą rinkai, reklamą ir rinkodaros valdymo priemones.

ĮVADAS

Tiriamoji problema ir jos aktualumas. Su vaistais susiję probleminiai klausimai dažniau gvildenami biomedicinos moksluose, nei socialinių mokslų srities, juolab teisės krypties darbuose. Todėl iš pirmo žvilgsnio šio disertacinio darbo tema gali pasirodyti šiek tiek neįprasta: mūsų šalies teisės doktrinoje sveikatos priežiūros srityje iškylančių problemų analizė ir teisinis vertinimas, reikalaujantis tarpdisciplininio požiūrio kol kas nėra populiarūs. Tačiau atsižvelgiant į nūdienos tendencijas: biomedicinos mokslų plėtrą bei veržlią jos praktinio taikymo sričių, tokių kaip asmens, visuomenės sveikatos priežiūra, farmacija plėtotę, o ir pačios teisės raidą (pvz.: dabartinę socialinių žmogaus teisių koncepciją; pacientų teisių instituto stiprėjimą), akivaizdu, jog teisininkams būtina aktyviai diskutuoti ir spręsti šių sričių samplaikoje kylančius klausimus, kurie yra aktualūs, nes susiję su asmens teisių ir interesų apsauga. Šiuo metu vienas iš tokių klausimų, prioritetiniu pripažįstamas tiek Europos Sąjungos (toliau – ES), tiek apskritai pasauliniu mastu, – retoms ligoms gydyti skirtų vaistinių preparatų (vadinamųjų *retųjų vaistų*)[1] prieinamumas.

XX amžiaus pabaigoje nepaisant biomedicinos mokslų, biotechnologijų, farmacijos pramonės pažangos retos ligos paprastai gydytos tik simptomiškai (pvz., malšinant skausmą), nes dėl naujų vaistų kūrimui reikalingų didelių investicijų ir siauros paklausos farmacijos ir biotechnologijų įmonių ilgai nedomino retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kūrimas. Netgi jau atrastos veikliosios medžiagos, potencialiai galinčios pagerinti retomis ligomis sergančiųjų sveikatą ar net išgelbėti gyvybes, netobulintos ir neteiktos rinkai pagrinde dėl finansinio nesuinteresuotumo. Todėl *retas ligas*, kurioms priskiriamos genetinės (paveldimos) ligos, retos vėžio formos (pvz., visi vaikų piktybiniai navikai, sarkomos, melanomos, tulžies pūslės, inkstų, kepenų pirminiai navikai, smegenų piktybiniai augliai ir kt.)[2], autoimuninės ligos, įgimtos ydos, apsinuodijimo sukeltos būklės ir kai kurios infekcinės (*atogrąžų*[3]) ligos, imta vadinti „našlaitėmis“ (angl. *orphan diseases*), o jomis sergančius pacientus – ,,našlaičiais“ (angl. *health orphans / orphan patients*).

Nors teisinių priemonių sprendžiant retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kūrimo problemą prieš beveik tris dešimtmečius imtasi Jungtinėse Amerikos Valstijose (toliau – JAV) (1983 metais čia priimtas ,,Retųjų vaistų aktas“[4]), o neužilgo amerikiečių pavyzdžiu pasekė ir kai kurios kitos

[1] Žodžiai *vaistas* ir *vaistinis preparatas* yra sinonimai (*aut. past.*).

[2] Praktiškai visos onkologinės ligos, išskyrus moterų krūties, plaučių, kolorektalinį (tiesiosios žarnos), prostatos ir šlapimo pūslės vėžius ES patenka į retų ligų kategoriją [McCABE, C., BERGMANN, L., BOSANQUET, N., ELLIS, M., ENZMANN, H., von EULER, M., *et al.* Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology* [interaktyvus]. 2009, 20(3): 408 [žiūrėta 2009-06-14]. <http://annonc.oxfordjournals.org/cgi/reprint/20/3/403>.

[3] *Atogrąžų ligomis* (angl. *tropical diseases*) mokslinėje literatūroje vadinamos tokios ligos kaip maliarija, raupsai, leišmaniozė ir pan., daugiausia paplitusios atogrąžų klimatinėje juostoje esančiose silpnai ekonomiškai išsivysčiusiose šalyse. Retoms jos priskiriamos sąlyginai – tik dėl reto paplitimo išsivysčiusiose šalyse (*aut. past.*)

[4] Orphan Drug Act of 1983. *Pub. L.* 1983, No. 97-414.

pasaulio šalys, taip pat ir ES, priimdama Europos Parlamento ir Tarybos reglamentą (EB) Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“[5] (toliau – 141/2000/EB reglamentas), retųjų vaistų prieinamumas tebėra viena iš opiausių sveikatos sistemų problemų: ir dėl to, jog tūkstančiams retų ligų gydyti vaistai vis dar nesukurti; ir dėl to, jog jau sukurtieji dėl įvairių priežasčių pacientams sunkiai pasiekiami.

Šiuo metu ES teritorijoje gyvena 27–36 milijonai retomis ligomis sergančių pacientų[6], JAV – apie 25 milijonus. Paskaičiuota, jog Lietuvoje tokių ligonių yra maždaug apie 200 000–240 000[7,8]. Iš jų genetinėmis ligomis serga apie 160 000 asmenų[9]. Šie pacientai kaip sveikatos priežiūros paslaugų vartotojai susiduria su sunkumais ir tai patvirtina vykstantys teisminiai ginčai: pavyzdžiui, JAV – dėl draudimo naudoti neregistruotus vaistus gyvybei gresiančioms ligoms gydyti po I klinikinių tyrimų fazės[10,11], Didžiojoje Britanijoje – dėl veiksmingų, tačiau labai brangių vaistų krūties vėžiui gydyti nekompensavimo[12], Italijoje – dėl eksperimentinių vaistų vėžiui gydyti kompensavimo[13]. Apie Lietuvos pacientų bei jų artimųjų skaudžias patirtis susidūrus su retos ligos diagnoze iškalbingai byloja 2006-aisiais ir 2007 metais su keliasdešimt tūkstančių parašų aukščiausių Lietuvos Respublikos (toliau – LR) valdžios institucijų vadovams įteiktos peticijos[14,15] reikalaujant retomis vėžio formomis sergantiems pacientams užtikrinti kokybišką gydymą bei lygiateisišką sveikatos priežiūrą, taip pat šalies dienraščiuose ir savaitraščiuose publikuotų

[5] Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. [2000] OL L 18/1. [angl. Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.].

[6] Rare diseases: Europe’s challenges. Public consultation. European Commission, Health and Consumer protection directorate-general. 2007, p. 2.

[7] ŠPOKIENĖ, I. Legal assessment of current situation on orphan patients in Lithuania. *Medicina*. 2008, 44(8): 573.

[8] TUMIENĖ, B., KUČINSKAS, V. Retosios ligos Lietuvoje ir Europoje. *Gydymo menas.* 2008, 11/12: 25–27.

[9] *Ibid*.

[10] Klinikinis tyrimas paprastai klasifikuojamas į IV fazes. Tarp fazių negalima nubrėžti griežtų ribų (I fazės tyrimas – vaisto farmakologija žmogaus organizme, II – gydomojo poveikio nustatymo tyrimas, III – gydomojo poveikio patvirtinimas, IV – terapinio vartojimo tyrimas [STAKIŠAITIS, D., DANILA, E., RAMANAUSKAS, J., *ir kt. Gera klinikinė praktika*. Metodinės rekomendacijos tyrėjui. Vilnius: 2005, p. 34.].

[11] *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, no. 445 F.3d 470, D.C. Cir. 2006; *rev’d*, no. 495 F.3d 695, D.C. Cir 2007; *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, no. 495 F.3d 695, 697, D.C. Cir. 2007 (en banc), *cert. denied*, 128 S. Ct. 1069 (2008).

[12] *Ann Marie Rogers v Swindon Primary Care Trust & Secretary of State for Health* [2006] EWCA Civ 392. Judiciary of England and Wales. Court of Appeal (Civil Division) [interaktyvus]. 12 April 2006 [žiūrėta 2008-02-02]. <http://www.judiciary.gov.uk/judgment_guidance/judgments/summaries/annmarie_ rogers.htm>.

[13] ERNST, E., BARNES, J., ABBOT, C. N., ARMSTRONG, N. C., *et. al.* The Di Bella story: emotion as oposed to fact [interaktyvus]. *Focus Altern Complement Ther.* 1998, 3: 143. <http://beta.medicinescomplete.com/journals/fact/current/fact03 04a02t01.htm#>.

[14] 2006 m. Nacionalinė moterų, sergančių krūties ligomis, organizacijų asociacija bei tarptautinės koalicijos prieš krūties vėžį „Europa Donna“ atstovybė Lietuvoje surinko parašus po peticija už lygių gydymo galimybių modernia biologine terapija suteikimą visoms krūties vėžiu sergančioms moterims. Peticija su daugiau nei 55 000 parašų įteikta Lietuvos Respublikos Prezidentui, Ministrui pirmininkui ir Sveikatos apsaugos ministrui.

[15] 2007 m. lėtine mieloleukemija sergantis Š. Narbutas peticiją dėl vaistų kompensavimo lėtine mieloleukemija sergantiems žmonėms su 80 000 parašų įteikė Seimo Pirmininkui, Ministrui Pirmininkui ir Sveikatos apsaugos ministrui.

straipsnių antraštės: „Retos ligos: aukos ir pinigai“[16], „Sergantieji retomis ligomis – gyvenimo užribyje“[17], „Pacientai retų ligų labirintuose“[18], „Reta liga vargina ne tik ligonį“[19], „Retos ligos – galvosūkis provincijos medikams“[20], „Diagnozuojamos pavėluotai, gydymas nepaprastai brangus“[21], „Vienui vieni su sunkia liga“[22], „Išskirtinis gydymas – išskirtinėms asmenybėms“[23], „Vaistai nuo vėžio – tik kas trečiam“[24], „Medikų galvos skausmas: kaip žmogaus nepasmerkti myriop“[25].

Pastaraisiais metais ES atliktų tyrimų[26] išvados irgi patvirtina temos aktualumą. Jose teigiama, jog ypač naujosiose valstybėse ES narėse, tarp jų ir Lietuvoje, registruotų retoms ligoms gydyti skirtų vaistų teritorinis bei ekonominis prieinamumas yra nepakankamai užtikrinamas: pvz., jų neįmanoma įsigyti šalyje, labai brangūs vaistai nekompensuojami, pacientai patiria sunkumų ir norėdami dalyvauti retųjų vaistų klinikiniuose tyrimuose[27], vykti konsultuotis (išsitirti) ir (ar) gydytis į užsienį. Konstatuota, kad skirtingose ES šalyse pacientams galimybės gydytis retaisiais vaistais yra nevienodos.

Tai rodo nepakankamą pacientų, sergančių retomis ligomis, teisių apsaugą bei retoms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumo teisinio reglamentavimo tobulinimo poreikį tiek ES, tiek nacionaliniu lygiu. Kadangi teisiniu požiūriu retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo tema iki šiol nebuvo nagrinėta ir išvados dėl retomis ligomis sergančių pacientų teisių jiems patiriant vaistų neprieinamumą galimo pažeidimo teisiškai nebuvo įvertintos – tai byloja ir apie šios problemos mokslinio tyrimo sveikatos teisės doktrinoje reikalingumą.

Tyrimo objektas: retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimas sveikatos teisėje.

---

[16] SRĖBALIENĖ, A. Retos ligos: aukos ir pinigai. *Ekstra.* Vilnius, 2004-12-13, p. 50–52.

[17] BUDVYTIENĖ, G. Sergantieji retomis ligomis – gyvenimo užribyje. *Kauno diena.* Kaunas, 2005-04-06.

[18] TARAŠKEVIČIENĖ, M. Pacientai retų ligų labirintuose. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2008-04-05.

[19] JUŠKEVIČIENĖ, J. Reta liga vargina ne tik ligonį. *Klaipėda.* Klaipėda, 2006-06-08.

[20] KURTKUTĖ, A. Retos ligos – galvosūkis provincijos medikams. Naujienų portalas *Alfa.lt.* 2006-09-08. [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-14]. <http://www.alfa.lt/straipsnis/50582>.

[21] BERNOTAITĖ, J. Diagnozuojamos pavėluotai, gydymas nepaprastai brangus. *Lietuvos medicinos kronika.* 2008-03-05.

[22] ŽIČKUS, E., ALASAUSKYTĖ, G. Vienui vieni su sunkia liga. *Vakaro žinios.* Vilnius, 2007-09-22.

[23] KUČINSKAITĖ, J. Išskirtinis gydymas – išskirtinėms asmenybėms. *Veidas.* Vilnius, 2006, Nr. 23.

[24] JANČORIENĖ, M. Vaistai nuo vėžio – tik kas trečiam. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2009-02-21.

[25] SAUKIENĖ, I. Medikų galvos skausmas: kaip žmogaus nepasmerkti myriop. 2009-07-05. Naujienų portalas *Delfi.lt* [interaktyvus] [žiūrėta 2009-07-05]. <http://www.delfi.lt/news/daily/Health/article.php?id=22962273>.

[26] BIGNAMI, F. Eurordis survey on orphan drugs availability in Europe. 6 th Eurordis Round Table of Companies Workshop. Barcelona 9 July, 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/2007 ODsurvey-eurordis.pdf>; De VARAX, A., LERELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005; Rare diseases: understanding this public health priority. Eurordis, November 2005, p. 7 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>; TARUSCIO, D., LOIZZO, A., LOIZZO, S., *et al*. Report on mutual availability of medicines for RD in EU countries. 4 April 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-21]. <http://www.teddyoung.org/download/10_Reportonmutual availability ofmedicinesfor RDinEUcountries.pdf>.

[27] *Klinikiniai tyrimai* – visi su žmonėmis susiję biomedicininiai tyrimai, kuriais siekiama nustatyti tiriamojo vaisto saugumą ir (ar) veiksmingumą. Išsamesnis apibrėžimas disertacijoje vartojamų terminų žodynėlyje (*aut. past.*).

Prieinamas (angl. *accessible, available, affordable*) reiškia įgyjamas, pasiekiamas, galimas gauti, įperkamas[28]. Taigi *prieinamumas* suprantamas kaip buvimo prieinamu – taigi įgyjamu, gaunamu, įperkamu, – būklė arba kokybė. Nors *vaistų prieinamumo* definicija konkrečiai neapibrėžta, bendriausia prasme ji gali būti nusakyta kaip sąlygos, užtikrinančios pacientams galimybes savo šalyje laiku, nepatiriant trukdžių gauti saugius, naujoviškus, įperkamus vaistus. Trumpiau, – kaip teritoriniu bei ekonominiu požiūriu sklandus gyventojų aprūpinimas vaistais[29,30]. Šiame darbe pagrindinė – *retųjų vaistų prieinamumo* samprata. Ji, lyginant su ką tik nusakyta, išplečiama, be paminėtųjų aspektų aprėpiant ir retųjų vaistų kūrimo bei teikimo rinkai skatinimo teisinį reguliavimą kaip esminę retųjų vaistų kaip prekių (produktų) prieinamumo prielaidą.

Toliau konkretinant tyrimo objektą pažymėtina tai, jog atliekant tyrimą koncentruojamasi į vaistų prieinamumo reglamentavimą *ES ir Lietuvos teisėje*, o teisės normos, reguliuojančios retųjų vaistų prieinamumą yra priskirtinos sveikatos teisei.

Tyrimo tikslas – išanalizuoti retųjų vaistų prieinamumo reguliavimą ES ir Lietuvos teisėje, įvertinti jo santykį su valstybės pareiga užtikrinti pacientų aprūpinimą jiems reikalingais vaistais ir nustačius šio reguliavimo disfunkciją nacionalinėje teisėje pasiūlyti galimus sprendimo būdus.

Tyrimo uždaviniai:

1. išnagrinėti retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo ES teisėje istorinius-teisinius bruožus bei teorinius aspektus, ypač, kiek tai susiję su 141/2000/EB reglamente įtvirtintų ,,retos ligos" ir ,,retojo vaisto" sampratų kaip teisinių kategorijų ypatumais.
2. išsiaiškinti valstybės įsipareigojimų pacientams užtikrinti retųjų vaistų prieinamumą teisinius pagrindus ir tuo pačiu įvertinti reta liga sergančio paciento lūkesčių ir interesų, jog egzistuojantys vaistai būtų prieinami teisinį pagrįstumą.
3. išskirti ES teisėje numatytus retųjų vaistų prieinamumo skatinimo ir užtikrinimo būdus, išnagrinėti jų teisinio reglamentavimo ypatumus, įvertinti kaip jie įgyvendinami atitinkamomis Lietuvos teisės normomis bei suformuluoti pasiūlymus šių vaistų prieinamumui Lietuvoje gerinti.

Tyrimo metodai. Tyrimas atliekamas remiantis dokumentų analizės, loginiu-analitiniu, analitiniu-kritiniu, sisteminės analizės, lyginamuoju, istoriniu-teisiniu, filosofinio pažinimo, lingvistiniu metodais. *Dokumentų analizė* taikyta tiriant teisės aktus, tarptautinius dokumentus, Konstitucinio teismo nutarimus, kitų įstaigų medžiagą (protokolus, rekomendacijas, gaires,

[28] PIESARSKAS, B. *Didysis anglų-lietuvių kalbų žodynas*. 7 leid. Vilnius: Alma litera, 2007, p. 21; 62; 29.

[29] JANKAUSKIENĖ, D., PEČIŪRA, R. *Sveikatos politika ir valdymas*. Vilnius: MRU, 2007, p. 125–130.

[30] Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministro 2009 m. liepos 10 d. įsakyme Nr. V-572 ,,Dėl Vaistų prieinamumo gerinimo ir jų kainų mažinimo priemonių plano patvirtinimo" išskirtos tokios pagrindinės vaistų prieinamumo gerinimo kryptys ir priemonės kaip: vaistų kompensavimo sistemos tobulinimas, vaistinių ir vaistų didmeninio platinimo įmonių veiklos reguliavimo tobulinimas, vaistų pardavimo gyventojams kontrolės stiprinimas, gydytojų darbo reglamentavimo tobulinimas ir kt. [*Valstybės žinios.* 2009, Nr. 87-3715.].

pasiūlymus ir kt.). Analizuojant specialiąją literatūrą pasitelkti *loginis analitinis* bei *sisteminės analizės metodai*. Pastarasis paskatino sisteminį požiūrį į tyrimo objektą ir padėjo atskleisti jį platesniame kontekste. Loginis analitinis metodas panaudotas ir sampratoms, apibendrinimams, išvadoms formuluoti. *Lyginamasis metodas* leido palyginti kaip Lietuvos materialinėse teisės normose, reguliuojančiose vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumą perkeltos atitinkamos ES tesės normos, *analitinis-kritinis* – kritiškai įvertinti pastebėtus neatitikimus, trūkumus.

Aiškinantis teisingumo teorijos taikymo sveikatos priežiūroje galimybes ir ribas, teisingumo principo kontroversijas dėl retųjų vaistų kūrimo finansavimo ir kompensavimo taikytas *filosofinio pažinimo metodas*. Pasaulinės retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo tendencijos, 141/2000/EB reglamento priėmimo prielaidos atskleistos pasitelkiat *istorinį-teisinį metodą*.

Teisės normų turinio aiškinimui, o taip pat darbe vartojamai terminologijai reikšmės turėjo *lingvistinis metodas*, nes dėl temos naujumo, tarpdisciplinišKumo, naudojamų šaltinių užsienio kalba gausos ir atitinkamai šaltinių lietuvių kalba šia tema trūkumo susidurta su tam tikromis terminologijos problemomis. Nurodytina, kad tais atvejais, kai angliškam terminui buvo sudėtinga rasti lietuvišką atitikmenį ši problema spręsta parenkant darbo autorės manymu tinkamiausią lietuvišką terminą šalia skliausteliuose nurodant kaip jis vartojamas anglų kalboje. Skliaustuose anglų kalba taip pat nurodomi ir įvairių užsienio institucijų ar organizacijų pavadinimai.

Disertacijos struktūra. Tyrimą sudaro trys dalys, kurios skirstomos į skyrius, poskyrius ir skirsnius. *Pirmoje dalyje* pristatomos pasaulinės retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo tendencijos, išsamiau atskleidžiant pirmųjų teisinių iniciatyvų gerinant retųjų vaistų prieinamumą JAV ir Japonijos teisėje bruožus, nagrinėjami retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo ES istoriniai-teisiniai aspektai. Kadangi pirmasis ir pagrindinis ES teisės aktas šioje srityje yra 141/2000/EB reglamentas, gilinamasi į čia įtvirtintų „retos ligos" ir „retojo vaisto" sampratų kaip teisinių kategorijų ypatumus. *Antroje dalyje* nagrinėjamos išskirtos retųjų vaistų prieinamumo teisinės prielaidos. Siekiama nustatyti viena vertus, valstybės įsipareigojimų pacientams užtikrinti retųjų vaistų prieinamumą teisinius pagrindus ir, antra vertus, išsiaiškinti reta liga sergančio pacientų lūkesčių ir interesų, jog egzistuojantys vaistai būtų prieinami teisinį pagrįstumą. *Trečiojoje* – formuluojamas retųjų vaistų prieinamumo skatinimo bei užtikrinimo reguliavimo koncepcinis modelis arba kitaip tariant, – ES teisės siūloma retųjų vaistų prieinamumo problemos sprendimų (galimybių) visuma ir jų raiška Lietuvos teisėje. Atsižvelgiant į išskirtus ES teisės aktuose numatytus retoms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumo būdus, susistemintos ir išanalizuotos ES teisės aktuose įtvirtintos svarbiausios paskatos bei lengvatos retųjų vaistų rėmėjams, įteisintos išimtys dėl neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo. Atitinkamai išnagrinėtos Lietuvos teisės aktuose įtvirtintos materialinės teisinės garantijos dėl retoms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumo bei pacientų gydymosi užsienyje galimybių. Skyriaus pabaigoje nagrinėjami

retųjų vaistų prieinamumo skatinimo būdai gerinant paciento teisės gauti informaciją įgyvendinimą, apžvelgiamos valstybių ES narių teisinės iniciatyvos remiant retųjų vaistų kūrimą, tyrimus ir prieinamumą.

Disertacijos gale suformuluotos išvados bei pasiūlymai dėl vaistų retoms ligoms ir būklėms gydyti prieinamumo reglamentavimo tobulinimo Lietuvoje. Sudaryti cituotos literatūros ir autorės mokslinių publikacijų sąrašai. Prieduose pateikta lentelė, kurioje palyginti retųjų vaistų reglamentavimo ypatumai skirtingose pasaulio šalyse ir ES bei įsegti svarbiausi retųjų vaistų prieinamumą reglamentuojantys ES ir Lietuvos teisės aktai. Kadangi disertacijos tekste daug nuorodų į juos – tai palengvina disertacijos skaitymą.

Tyrimo šaltiniai. Tyrimui atlikti buvo naudojami JAV, ES ir Lietuvos teisės aktai, Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo jurisprudencija, pasaulio mokslinės literatūros šaltiniai.

Gilinantis į retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo ES teisėje ypatumus pagrindiniai šaltiniai – ES reglamentai, direktyvos, Europos Bendrijų Teisingumo Teismo jurisprudencija, taip pat Europos Komisijos komunikatai, konsultacijos, gairės, Europos Bendrijų Tarybos rekomendacijos, rezoliucijos, kitų kompetentingų ES institucijų (Europos vaistų agentūros, Retųjų vaistų komiteto) aiškinamieji raštai, ataskaitos ir gairės, nors ir nesančios teisiškai privalomos, tačiau itin svarbios, aiškinantis atskirais klausimais reikšmingų ES teisės aktų nuostatų turinio galimas interpretacijas. Pasinaudota ir kitais informatyviais šaltiniais: aprašais, skelbiančiais duomenis apie retųjų vaistų prieinamumą valstybėse ES narėse[31]; 2007 metų valstybių ES narių vaistų agentūrų vadovų ataskaita dėl žmonių vartojimui skirtų vaistų prieinamumo problemų ES[32]; Aukšto lygio farmacijos forumo patvirtintu dokumentu „Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens“ (liet. *„Galimybių visiems sergantiems ES piliečiams gauti retųjų vaistų gerinimas“*)[33]. Taip pat remtasi trijų neseniai atliktų empirinių tyrimų rezultatais: 2005 ir 2007 metais retomis ligomis sergančių pacientų organizacijų aljanso Eurordis (angl. *European Organisation for Rare Diseases, EURORDIS*) užsakytu tęstiniu lyginamuoju tyrimu dėl retųjų vaistų prieinamumo Europos Sąjungoje[34], Europos Komisijos užsakymu nepriklausomų ekspertų iš Prancūzijos A. De Varax, M. Letellier ir G. Börtlein tyrimu dėl prekybos retaisiais vaistais sąlygų

[31] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. 2001; Revision 2002; Revision 2005.

[32] Availability of human medicinal products. Report of Task Force of HMA MG. Adopted by HMA 5th November 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-04-28]. <http://www.hma.eu/uploads/media/Availability_medicines_ HMAMG_TF_ Report.pdf > .

[33] Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens. Working Group on Pricing of the Pharmaceutical Forum, 2008 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-05-29]. <http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/pricing_ orphans_en.pdf>.

[34] Rare diseases: understanding this public health priority. Eurordis, November 2005, p. 7 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>; BIGNAMI, F. Eurordis survey on orphan drugs availability in Europe. 6 th Eurordis Round Table of Companies Workshop. Barcelona 9 July, 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/2007ODsurvey-eurordis.pdf>.

Europoje, paskelbtu 2006-aisiais[35] bei mokslininkų D. Taruscio, A. Loizzo, S. Loizzo ir kt. tyrimo ataskaita apie retųjų vaistų prieinamumo situaciją ES šalyse paskelbta 2007-aisiais[36].

Tiriant retoms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumo teisinį reglamentavimą Lietuvoje, pagrindiniai šaltiniai Lietuvos Respublikos įstatymai, Sveikatos apsaugos ministro bei Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus įsakymai.

Disertacijos praktinė reikšmė. Disertacijoje atliktas tyrimas, pateiktos išvados ir pasiūlymai svarbūs teisėkūroje rengiant ir tobulinant nacionalinių teisės aktų normas dėl vaistų, skirtų retų ligų diagnozavimui, profilaktikai ir gydymui prieinamumo gerinimo. Tyrimo rezultatai gali būti panaudoti formuojant nacionalinę retų ligų gydymui skirtų vaistų prieinamumo gerinimo strategiją. Taip pat disertacija naudinga pacientams, juos atstovaujantiems asmenims ar organizacijoms, nes čia pateikta susisteminta informacija apie retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimą ES ir Lietuvoje, atliktas jo teisinis vertinimas. Nustatytas retųjų vaistų prieinamumo teisines prielaidas ir jų analizę galima panaudoti kaip teisinius argumentus raginant Privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžete skirti daugiau lėšų retųjų vaistų kompensavimui ar manant, jog paciento teisės sveikatos priežiūros srityje, kiek tai susiję su vaistų, skirtų retai ligai gydyti neprieinamumu, yra pažeidžiamos ar buvo pažeistos, siekiant jas ginti.

Disertacija reikšminga ir kaip Lietuvos teisės mokslo atliepis ir indėlis į Europos Bendrijų Komisijos (toliau – Europos Komisija) bei Ministrų Tarybos rekomendaciją socialinių mokslų srityje dirbantiems mokslininkams skirti daugiau dėmesio įvairiems su retų ligų gydymu susijusiems klausimams[37]. Tyrimo rezultatai dėl retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo Lietuvoje gali būti panaudoti 2010 metais teikiant ataskaitas Europos Komisijai apie Lietuvos kaip ES narės iniciatyvas remiant retųjų vaistų kūrimą, tyrimus ir prieinamumą pacientams.

Disertacijoje atliktas tyrimas gali būti įdomus ir Lietuvos biotechnologijų ar biofarmacijos mokslo ir verslo įmonėms, kurios yra potencialiai pajėgios kurti ar bendradarbiauti kuriant retuosius vaistus, ypač turint omenyje numatomą plėtoti „Santaros“ slėnio plėtros programą[38].

---

[35] De VARAX A., LERELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005.

[36] TARUSCIO, D., LOIZZO A., LOIZZO, S., *et al*. Report on mutual availability of medicines for RD in EU countries. 4 April 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-21]. <http://www.teddyoung.org/download/10_Reportonmutual availabilityof medicinesfor RDinEUcountries.pdf>.

[37] Tarybos 2009 m. birželio 8 d. rekomendacija dėl retųjų ligų srities veiksmų. [2009] OL C 151/02.

[38] Santariškių – Visorių teritorijoje įsikūrusios gydymo, medicinos mokslo, studijų įstaigos bei verslo įmonės turėtų vienytis į Vilniaus medicinos ir farmacijos slėnį. Slėnio kūrimo tikslas – telkiant sveikatos priežiūros, mokslo, studijų, inovatyvaus verslo pajėgas skatinti sveikatos priežiūros plėtrą Lietuvoje. Tai leistų efektyviau išnaudoti šioje teritorijoje sutelktas geriausias Lietuvos medicinos studijų, mokslo, praktikos ir biotechnologinės farmacijos pramonės pajėgas, glaudžiau bendradarbiauti kuriant naujausius vaistus bei gydymo metodus. [Plačiau: Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2008 m. lapkričio 24 d. nutarimas Nr. 1263 dėl integruoto mokslo, studijų ir verslo centro (slėnio) „Santara“ plėtros programos patvirtinimo. Integruoto mokslo, studijų ir verslo centro (slėnio) „Santara“ plėtros programa. *Valstybės Žinios*. 2008, Nr. 140-5561.].

Ši disertacija yra ir socialiai reikšminga, nes įtraukia į Lietuvoje kol kas mažai dėmesio sulaukusią diskusiją apie retų ligų gydymo prieinamumo pacientams užtikrinimo svarbą ir teisinio reglamentavimo tobulinimo poreikį šioje srityje.

Ginamieji disertacijos teiginiai:

1. Pasaulinės retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo tendencijos bei ES, turinčios ribotą kompetenciją sveikatos priežiūros srityje, dėmesys retų ligų gydymo klausimui rodo, kad retųjų vaistų prieinamumas negali būti paliktas laisvosios rinkos savireguliaciniams procesams. ES teritorijoje jis geriausiai gali būti užtikrintas tik Bendrijos teisinių iniciatyvų ir valstybių narių nacionalinių priemonių šioje srityje sąveikoje.
2. Vaistų prieinamumas yra teisės į sveikatos priežiūrą įgyvendinimo elementas, o valstybės vaidmuo rūpinantis sveikatos priežiūra neatsiejamas nuo solidarumo ir lygiatesiškumo principų, todėl teoriškai retomis ligomis sergančių pacientų lūkesčiai dėl jiems reikalingų vaistų prieinamumo užtikrinimo vertintini kaip teisėti ir pagrįsti.
3. Dabartinis retų ligų gydymui skirtų vaistų prieinamumo teisinis reguliavimas Lietuvoje nepakankamai užtikrina šiomis ligomis sergančių pacientų galimybes visapusiškai bei lygiateisiai naudotis aukštos kokybės sveikatos priežiūros paslaugomis, todėl yra tobulintinas.

Temos mokslinis naujumas: ankstesnių tyrimų apžvalga. Išskyrus šio darbo autorės publikuotus straipsnius[39], Lietuvos teisės doktrinoje retųjų vaistų prieinamumo teisinio reglamentavimo tema visai netyrinėta. Užsienyje išsami analizė tokia tema taip pat nėra atlikta, tačiau yra pavienių užsienio autorių darbų ir straipsnių, kurie vertingi atskirais šioje disertacijoje nagrinėjamais klausimais. Tai ne tik sveikatos teisės, bet ir sveikatos politikos, sveikatos ekonomikos, medicinos etikos, visuomenės sveikatos sričių mokslininkų publikacijos.

Į 1983 metais JAV priimto ,,Retųjų vaistų akto“ teisėkūros istorinius aspektus gilinosi P. J. KENNEY, J. T. O‘REILLY, D. BROWN-GROSSMAN straipsniuose, paskelbtuose žurnale *Food Drug Cosmetic Law Journal*[40]. Dviejų dešimtmečių JAV retųjų vaistų reglamentavimo patirtį

[39] ŠPOKIENĖ, I. Retųjų vaistų prieinamumo problema įgyvendinant teisę į sveikatos priežiūrą. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 64–72; ŠPOKIENĖ, I. Legal assessment of current situation on orphan patients in Lithuania. *Medicina*. 2008, 44(8): 571–576; ŠPOKIENĖ, I., STAKIŠAITIS, D., JUŠKEVIČIUS, J., VALUCKAS, K. V., BAIARDI, P. Access to information supporting availability of medicines for patients suffering from rare diseases looking for possible treatments: the EuOrphan Service. *Medicina*. 2007, 43(6): 441–446.

[40] KENNEY, P. J. The Orphan Drug Act – is it a barrier to innovation? Does it create unintended windfalls? *Food Drug Cosmetic Law Journal*. 1998, 43: 667–679; O’REILLY, J. T. Orphan Drugs: the strange case of 'baby M. *Food Drug Cosmetic Law Journal.* 1987, 42: 516–526; BROWN-GROSSMAN, D. The Orphan Drug Act: adoption or foster care? *Food Drug Cosmetic Law Journal.* 1984, 39: 128–151.

vertino M. E. HAFFNER, J. WHITLEY ir kt.[41]. Japonijos retųjų vaistų teisinio reglamentavimo aspektus nagrinėjo autoriai: K. UCHIDA, M. SHIRAGAMI ir K. NAKAI, A. S. MEYERS[42]. Kanados retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimas apžvelgtas Toronto universiteto teisės mokslų doktorantės N. De PAULSEN[43].

Retųjų vaistų srities reglamentavimo ES istorinis-teisinis ekskursas atliktas Prancūzijos Liono Claude Bernard universitete apgintoje M. B. COSTILLE daktaro disertacijoje pavadinimu ,,Les Medicaments Orphelins a l'heure de l'Europe: une longue histoire"[44] (liet. *,,Retųjų vaistų istorija Europoje"*), kuri liko neišspausdinta kaip monografija. Kadangi disertacija apginta 2000 metais M. B. Costille gilinosi tik į 141/2000/EB reglamento projektą, taip pat paskatas retųjų vaistų kūrimui įteisinusius atititinkamus JAV, Japonijos teisės aktus, Prancūzijos nacionalinės teisės reglamentuojant retųjų vaistų prieinamumą ypatumus. Kitų disertacijų ar išsamesnių tyrimų panašia tematika nepavyko aptikti, taigi per pastarąjį dešimtmetį ES teisėje įvykę retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo pokyčiai plačiau nebuvo nagrinėti.

Vos įsigaliojus 141/2000/EB reglamentui pirmoji keletą įžvalgų dėl teisinio reglamentavimo spragų retųjų vaistų prieinamumo srityje pateikė A. RAPPAGLIOSI dviejuose nedidelės apimties straipsniuose. Vienas beveik prieš dešimtmetį publikuotas žurnale *Journal of Commercial Biotechnology*[45]. Kitas – žurnalo *Pharmaceuticals Policy and Law* 2001 metų 3 numeryje[46], kuris, beje, visas skirtas temoms, susijusioms su prieš metus įsigaliojusiu 141/2000/EB reglamentu. Vėliau šiame žurnale taip pat yra publikuota keletas straipsnių, susijusių su retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo tematika[47].

Kol kas nėra jokio išsamesnio tyrimo, kuriame būtų svarstytas retųjų vaistų prieinamumo teisinių prielaidų klausimas. Pavieniai autoriai pacientų lūkesčių dėl šių brangių vaistų teisėtumą

---

[41] HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases. *N Engl J Med.* 2006, 35: 445–447; HAFFNER, M. E., WHITLEY, J., MOSES, M. Two decades of orphan product development. *Nat Rev Drug Discov*. 2002, No. 1.

[42] UCHIDA, K. Orphan drugs in Japan. *Drug Information Journal*. 1996, 30: 171–175; SHIRAGAMI, M., NAKAI, K. Development of orphan drug in Japan: characteristics of orphan drug development in Japan. *Drug Information Journal.* 2000, 34: 839–846; MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal.* 1997, 31: 102.

[43] De PAULSEN, N. Abandonment or Access: Canada's Orphan Drug Policy. Working paper [interaktyvus]. University of Toronto Health Law and Policy Group. 2004 [žiūrėta 2008-10-13]. <http://www.law.utoronto.ca/healthlaw/docs/ student_dePaulson-OrphanDrugs.pdf>.

[44] COSTILLE, M. B. Les Medicaments Orphelins a l'heure de l'Europe: une longue histoire. These pour le diplome d'etat docteur en pharmacie [interaktyvus]. Lyon : Universite Claude Bernard – Lyon I, Faculte de pharmacie, Institut des sciences pharmaceutiques et biologiques, 2000 [žiūrėta 2007-12-30]. <http://ispb.univ-lyon1.fr/theses/these_integ/castilleb/thesecostille.pdf>.

[45] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to innovation: biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology.* 2001, 7(4): 299–308.

[46] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to orphan drugs in the European Union. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 55–61.

[47] WESTERMARK, K. The Regulation of Orphan Medicines in the EU: objectives reached and main challenges when facing the future. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2007, 9(3/4): 327–342; TRAMA, A., PIERANNUNZIO, D., LOIZZO, A., TARUSCIO, D., CECI, A. Availability of medicines for rare diseases in EU countries. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2009, 11(1/2): 101–109.

tiesiog susieja su teise į sveikatos priežiūra, solidarumo, lygybės sveikatos priežiūroje principais, tačiau teisiniu požiūriu šios įžvalgos iki šiol niekur nebuvo plačiau išplėtotos ir pagrįstos.

Iki šiol niekur išsamiau nebuvo nagrinėtas ir retųjų vaistų prieinamumo skatinimo bei užtikrinimo teisinio reguliavimo ES klausimas. Tačiau apie problemas ir iššūkius atliekant retųjų vaistų klinikinius tyrimus savo straipsniuose rašė B. M. BUCKLEY, E. TAMBUYZER ir kt., R. JOPPI ir kt., M. E. HAFFNER[48]. Daug lėšų reikalaujančio retųjų vaistų kūrimo finansavimo ir jų kompensavimo dilemą yra svarstę C. A. GERICKE ir kt., C. MØLDRUP, R. JOPPI ir kt.[49], Kalgario universiteto (Kanada) prof. A. HOLLIS[50], žymus ekonomikos specialistas M. F. DRUMMOND[51]. Itin įdomi akademinė diskusija retųjų vaistų ekonominio prieinamumo tema vyko tarp Didžiosios Britanijos sveikatos ekonomikos specialistų D. A. HUGES ir kt.[52] bei C. McCABE ir kt.[53], kuri 2005–2006 metais išspausdinta žurnale *QJM: an International Journal of Medicine*. Viena naujausių publikacijų, kur svarstomas brangių naujų vaistų vėžiui gydyti (tarp jų ir retųjų) prieinamumo rinkoje ir pacientams klausimas 2009 metais išspausdinta žurnale *Annals of Oncology*[54].

Pastaruoju metu tiek JAV, tiek ES vis aktyviau diskutuojama dėl neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo įteisinimo privalumų ir pavojų. Kad ir tarp ES šalių teisininkų turėtų išaugti dėmesys šiai temai rodo JAV autorių darbai: Džordžtauno universiteto (JAV) teisės centro mokslininkės J. N. VALE 2008 metais publikuotas daugiau nei trisdešimties puslapių apimties darbas apie tiriamųjų vaistų (angl. *new investigational drugs*) prieinamumo reglamentavimo ypatumus ir raidą JAV[55] ir naujausias tendencijas šioje srityje apžvelgiantis ir diskutuojantis L. V.

---

[48] BUCKLEY, B. M. Cinical trials of orphan medicines. *Lancet.* 2008, 371: 2051–2055; TAMBUYZER, E., MOONEY, P., INCERTI, C. The new EU clinical trials directive and orphan medicinal products: current status and recommendations. *The Quality Assurance Journal.* 2004, 8: 102–109; JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology.* 2006, 61: 355–360; JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Disappointing biotech. *BMJ*. 2005, 331: 895–897; HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases. *N Engl J Med.* 2006, 354(2): 445–447.

[49] GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics.* 2005, 31: 164–168; MØLDRUP, C. No cure, no pay. *BMJ*. 2005, 330: 1262–1264; JOPPI, R., BERTELE, V., GARRATTINI, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology*. 2006, 61: 355–360.

[50] HOLLIS, A. Drugs for rare diseases: paying for inovation. Calgary, Canada: University of Calgary, November 2005, p. 1–16 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-07-01]. <http://www.irpp.org/books/archive/IRPP-JDI/hollis.pdf>.

[51] DRUMMOND, M. F., WILSON, D. A., KANAVOS, P., *et al.* Assesing the economic challenges posed by orphan drugs. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2007, 23(11): 36–42.

[52] HUGES, D. A., TUNNAGE, B., YEO, St. T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *Q J Med*. 2005, 98: 829–836; HUGES, D. A. Orphan drug revisited: author‘s respons. *QJM*. 2006, 99(5): 350–351.

[53] McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., *et al.* Orphan drug revisited. *Q J Med.* 2006, 99: 341–345.

[54] McCABE, C., BERGMANN, L., BOSANQUET, N., ELLIS, M., ENZMANN, H., von EULER, M., *et al.* Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology* [interaktyvus]. 2009, 20: 403–412 [žiūrėta 2009-06-14]. <http://annonc.oxfordjournals.org/cgi/reprint/20/3/403>.

[55] VALE, J. Expanding expanded access: how the Food and Drug Administration can achieve better access to experimental drugs for seriously ill patients. *The Georgetown Law Journal* [interaktyvus]. 2008, 96: 2143–2175 [žiūrėta 2009-02-21]. <http://www.georgetownlawjournal.org/issues/pdf/96-6/Vale.PDF>.

ROMANO ir P. D. JACOBSON straipsnis pavadinimu „Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine and law“ (liet. *„Neregistruotų vaistų prieinamumas pacientams: teisės ir medicinos pažanga”*)[56], paskelbtas 2009 metais žurnale *Journal of Health & Life Sciences Law*.

Glaudžiai su disertacijoje nagrinėjama problematika susijęs ir 2008 metais Jungtinėje Karalystėje išleistas leidinys pavadinimu „Orphan drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues“ (liet. *„Retieji vaistai Europoje: kainodaros, kompensavimo, finansavimo ir patekimo į rinką klausimai“*)[57]. Jame susisteminta ir palyginta informacija apie retiesiems vaistams taikomas paskatas, finansavimą, kompensavimą Vokietijoje, Didžiojoje Britanijoje, Prancūzijoje, Italijoje bei Ispanijoje; sudarytos įvairios lentelės, daug kitos naudingos statistinės informacijos. Tačiau šis tarptautinio farmacijos verslo konsultanto ir nepriklausomo analitiko D. MACHARTUR parengtas leidinys yra ne mokslinio-tiriamojo, o komercinio-informacinio pobūdžio.

Tyrimo rezultatų aprobavimas. Disertacija 2009 metų spalio 1 dieną apsvarstyta Mykolo Romerio universiteto Teisės fakulteto Bioteisės katedroje. Tyrimo rezultatai buvo publikuoti moksliniuose straipsniuose[58], dalis išdėstyta tarptautinėje mokslinėje konferencijoje skaitytame pranešime[59], taip pat jais naudotasi dėstant disciplinas sveikatos teisė bei biomedicininių tyrimų priežiūra Mykolo Romerio universitete.

Pastabos dėl terminijos. Atsižvelgiant į temos naujumą, šaltinių lietuvių kalba nebuvimą ir atitinkamai šaltinių užsienio kalba gausą, tikslinga iš anksto atkreipti dėmesį į pagrindinių darbo sąvokų *retieji vaistai* (angl. *orphan drugs; orphan medicinal products;* pranc. *médicaments orphelin)* bei *retos ligos ir būklės* (angl. *rare disease; orphan disease; rare condition;* pranc. *maladie rare; affection rare)* vartojimo užsienio šalių bei Lietuvos teisės aktuose, kituose šaltiniuose ypatumus.

Kalbėdami apie retas ligas ar būkles tiek amerikiečių, tiek Europos šalių autoriai terminą *orphan*[60] paprastai vartoja įvairiai – t. y.: (1) kaip žodžio *rare* sinonimą, turėdami omenyje tiesiog

[56] ROMANO, L. V., JACOBSON, P. D. Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine and law. *Journal of Health & Life Sciences Law* [interaktvus]. 2009, 2(2): 47–72 [žiūrėta 2009-08-13]. <http://www.hallrender.com/ library/articles/497/1226_001a.pdf.>.

[57] MACHARTUR, D. Orphan Drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues. Macarthur West Sussex, UK: Justpharmareports, 2008 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-08-13]. <http://www.researc handmarkets.com/reports/607381>.

[58] Žr. 39 išnašą.

[59] 2007 m. birželio 20-23 d. Vilniuje vykusioje 9-ojoje tarptautinėje Baltijos šalių vaikų neurologų asociacijos konferencijoje skaityto pranešimo „Orphan patients and orphan medicines: situation in Lithuania“ santrauka išspausdinta žurnale *Neurologijos seminarai*. [2007, T. 11. Priedas Nr. 1.].

[60] Anglų kalbos žodis *orphan* kilęs iš graikų kalbos žodžio *orphanos* [gr. *ορφανός*], reiškiančio vaiką, netekusį vieno iš tėvų ar abiejų tėvų arba suaugusįjį, netekusį vaiko [ARONSON, J. Rare diseases and orphan drugs. *Br J Clin Pharmacol* [interaktyvus]. 2006, 61(3): 243–245]. Dabartinės anglų kalbos žodžio *orphan* pagrindinė reikšmė lietuvių kalboje – *našlaitis* [PIESARSKAS, B. *Didysis anglų-lietuvių kalbų žodynas*. Vilnius: Alma littera, 1998, p. 154, 630.].

retai paplitusias ligas[61]; (2) kaip terminą, aprėpiantį ne tik retas, bet ir *atogrąžų ligas*; (3) kaip vaizdingą terminą, pabrėžiantį visuomenės dėmesio stokojančią problemą – t. y., kad retos ligos užmirštos, apleistos, našlaitės. Taigi konstatuotina, jog terminologija galutinai nenusistovėjusi.

Ištyrus aptariamų terminų vartojimą lietuvių kalboje matyti, jog pavieniuose mokslinės vertės neturinčiuose šaltiniuose (pvz., populiariosios žurnalistikos spaudinių straipsniuose, informaciniuose pranešimuose ir pan.) pasitaiko tik lietuvišką galūnę turintys pažodiniai vertiniai *orfaninės ligos* ir *orfaniniai vaistai*. Tai netaisyklingi terminai. Lietuvos Respublikos teisės aktuose sąvoka *orfaninis (-ė)* nevartojama. 2002 metais priimtuose trijuose tarpusavyje turiniu susijusiuose sveikatos apsaugos ministro įsakymuose[62] kalbant apie vaistus retoms ligoms gydyti vartotas *našlaitėlinių vaistų* terminas. Tuo tarpu ligos ar būklės juose apibūdintos vartojant žodį *reta(-os).* Vėlesnėje Lietuvos teisėkūroje terminas *našlaitėliniai vaistai* daugiau nebevartotas. 2005 metais priimtame Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus įsakyme „Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“[63], keletame kitų šiuo metu jau nebegaliojančių poįstatyminių teisės aktų, o taip pat autentiškuose Europos Parlamento ir Tarybos reglamentų (pvz., 141/2000/EB reglamente ,,Dėl retųjų vaistų“[64]), kitų ES teisės aktų vertimuose vartojami terminai *reta liga* ir *retieji vaistai*.

Valstybinės lietuvių kalbos komisijos (toliau – VLKK) konsultantai pataria vartoti būtent pastarąsias sąvokas teigdami, jog *našlaitėlinis vaistas ar našlaitėlinė liga* – tik perrašytas angliškas, o ne išverstas sąvokų *orphan medicinal product* bei *orphan disease* variantas. Lietuvių kalboje, pasak specialistų, ,,tokie terminai yra beprasmiai, nenusakantys nei perkeltinės, nei tiesioginės reikšmės“. ,,Kadangi iš vienos kalbos į kitą versti reikia būtent prasmę“, kalbininkų teigimu, –

[61] 1954 m. amerikiečių mokslininkas J. L. Melnick terminą *orphan* pavartojo savo straipsnyje kalbėdamas apie mažai žinomus, neaiškias ligas sukeliančius virusus (angl. *orphan viruses*) [MELNICK, J. L. Application of tissue culture methods to epidemiological studies of poliomelitis. *Am J Public Health.* 1954, 44(5): 571–580.].

[62] Jis įtvirtintas ir Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. gruodžio 24 d. įsakymo Nr. 684 pavadinime „Dėl mokesčio dydžio nustatymo už Valstybinėje vaistų kontrolės tarnyboje prie Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministerijos atliekamą labai *retoms ligoms* gydyti vartojamų *(našlaitėlinių) vaistų* ir retai vartojamų vaistų ekspertizę ir registraciją [*Valstybės žinios.* 2000, Nr. 4-132.]. Kiti du teisės aktai: Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. kovo 21 d. įsakymas Nr. 143 ,,Dėl mokesčio dydžio nustatymo už valstybinėje vaistų kontrolės tarnyboje prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos atliekamą vaistų ekspertizę ir registraciją“. [*Valstybės žinios.* 2002, Nr. 31-1184] ir Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. spalio 22 d. įsakymas Nr. 521 ,,Dėl mokesčio dydžio nustatymo už Valstybinėje vaistų kontrolės tarnyboje prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos atliekamą vaistų ekspertizę ir registraciją“. [*Valstybės žinios.* 2002, Nr. 104-4676.].

[63] Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymas Nr. 1K-149 ,,Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2005, Nr. 139-5037; 2008, Nr. 68-2612.

[64] Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 ,,Dėl retųjų vaistų“. [2000] OL L 18/1. Išvertė Viešoji įstaiga Vertimo, informacijos ir dokumentacijos centras, Europos Parlamentas. [angl. Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.].

„taisyklingiausias vertimas – *retasis vaistas*, *reta liga*“[65]. Nors įsigilinus į termino *reta liga* vartojimo užsienio šaltiniuose kontekstą tokiam kategoriškam kalbininkų tvirtinimui būtų galima paprieštarauti, – vis dėlto skirtumą (nors ir subtilų) tarp angliškų terminų *orphan diseases* (liet. *ligos „našlaitės“*) ir *rare diseases* (liet. *retos ligos*) prasmių galima įžvelgti (jis labiausiai pastebimas nagrinėjant literatūrą vaistų *atogrąžų ligoms* gydyti prieinamumo klausimu[66]), šiame moksliniame darbe dėl terminijos aiškumo ir vieningumo, taip pat siekiant išlaikyti teksto stilistinį vientisumą vartojami VLKK specialistų pripažinti taisyklingais *retojo vaisto*, *retos ligos* bei *retos būklės* terminai.

Taip pat svarbu atkreipti dėmesį į tai, kad šioje disertacijoje yra dažnai naudojamas ir žodžių junginys: *retoms ligoms gydyti skirti vaistai* ir jo variacijos. Atkreiptinas dėmesys, jog formaliai Europos Sąjungoje *retaisiais vaistais* gali būti vadinami tik tie vaistai, kurie yra įtraukti į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą[67], kaip nustato 141/2000/EB reglamento 5 straipsnis. Tačiau gali būti (ir yra) vaistų, nesančių šiame registre, tačiau irgi skirtų sunkių ligų, tarp jų ir retų ligų, gydymui, diagnozavimui ar profilaktikai. Paprasčiau tariant, visi retieji vaistai yra retoms ligoms gydyti skirti vaistai, tačiau ne visi retoms ligoms gydyti skirti vaistai formaliai gali būti vadinami retaisiais. Disertacijoje stengiamasi laikytis formalios šių terminų skirties, tačiau reikia pabrėžti, jog retųjų vaistų kategoriją liečiančius klausimus kartais sunku arba neįmanoma nagrinėti atsietai nuo platesnio konteksto, pavyzdžiui, atriboti nuo „vaistų, skirtų retų ligų ar būklių gydymui“ prieinamumo teisinio reglamentavimo[68], – tuomet vartojama tiesiog platesnė samprata. Be to, kalbant apie retuosius vaistus atitinkamuose kontekstuose neišvengiamai minima ir jų paskirtis, todėl tokios formuluotės kaip pavyzdžiui, „vaistai, skirti retoms ligoms gydyti“ ir pan. neturėtų būti traktuojami kaip netikslūs ar klaidinantys.

Svarbios ir kelios išankstinės pastabos dėl angliškos sąvokos *compassionate use* prasmės ir vartojimo lietuvių kalboje. Anglų kalboje „šis žodžių junginys reiškia galimybę dar tiriamais – t. y. kol kas neregistruotais vaistais gydyti pacientą, sergantį sunkia ar gyvybei pavojinga liga, kuriai gydyti jokių kitų alternatyvų nėra“[69]. Žodžio *compassionate* lietuviškos reikšmės – gailintis,

[65] Šiuo klausimu į VLKK specialistus <konsultacijos@vlkk.lt> kreiptasi ir atsakymas gautas 2007-03-21.

[66] Žr. 3 išnašą. *Atogrąžų ligos* nėra retos, turint omenyje sergančiųjų jomis žmonių skaičių pasauliniu mastu. Azijoje, Afrikoje, Lotynų Amerikoje šiomis ligomis serga milijonai žmonių, tačiau Europos žemyne jomis susergama labai retai. Kadangi farmacijos įmonių dėl pelno kriterijaus nedomina vaistų joms gydyti kūrimas, šiuo aspektu tikslesnis būtų terminas *našlaitėlinės ligos* (angl. *orphan diseases*), tačiau jis nėra taisyklingas (*aut. past.*).

[67] Remiantis 141/2000/EB reglamento 5 str. įtvirtinta procedūra, visi vaistai priskirti retiesiems yra įrašomi į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą (angl. *Register of designated Orphan Medicinal Products*), kuris randamas per prieigą internete: <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/orphreg.htm>.

[68] Pavyzdžiui Lietuvos teisės aktuose kalbama ne apie *retuosius vaistus*, bet apie *labai retoms ligoms ar būklėms skirtus vaistus* arba apie *retai vartojamus vaistus*, nors faktiškai į abiejų pastarųjų terminų apimtį gali patekti ir patenka *retieji vaistai* (*aut. past.*).

[69] MOREHEAD, J. Single-patient access to investigational drugs: friend or foe? *Biotechnology Law Report.* 2002, 21(3): 231.

užjaučiantis; gailiaširdis; labdaringas[70]. ES dokumentų lietuviškose versijose *compassionate use* išversta kaip ,,vaistų panaudojimas labdaros tikslu“. Pastebėtina, kad toks vertimas yra pažodinis ir neišreiškia prasmės – juk tiriamųjų vaistų skyrimo tikslas nėra labdarystė (šelpimas), o sunkiai sergančių pacientų gydymas neregistruotais vaistais, jų prieinamumas. Atsižvelgiant į tai, tačiau nepavykus rasti priimtinesnių aptariamo žodžių junginio vertimo į lietuvių kalbą variantų, disertacijoje bus vartojami patikslinti terminai: ,,labdaringai naudojami vaistai“ ir ,,labdaringos vaistų programos“ (angl. *compassionate use programms*), tačiau pabrėžtina, jog jie nepretenduoja į galutinį aptariamo angliško žodžių junginio vertimą.

[70] PIESARSKAS, B. *Didysis anglų-lietuvių kalbų žodynas*. Vilnius: Alma littera, 1998.

1. RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO REGLAMENTAVIMO PASAULINĖS TENDENCIJOS IR YPATUMAI EUROPOS SĄJUNGOJE

XX amžiaus paskutiniais dešimtmečiais įvykęs mokslo pažangos progresas suteikė viltį, jog ilgainiui taps įmanoma įveikti tokias žmogaus sveikatos problemas, kurios buvo laikomos neįveikiamomis, jog atsiras galimybė pakoreguoti ar netgi peržengti anksčiau nekintamomis ir neperžengiamomis laikytas natūralias gamtos ribas, pavyzdžiui, gydyti retas ligas[71].

Retų ligų problemos mastą geriausiai atskleidžia statistiniai sergamumo jomis duomenys. Apie 10 proc. visų ligų, kuriomis serga žmonės (maždaug 8 000) yra priskirtinos retoms[72]. Nuo jų kenčia 6–8 proc. pasaulio gyventojų populiacijos. Tai sudaro apie 400–530 milijonų žmonių[73]. Vien tik JAV ir ES retomis ligomis sergančiųjų yra daugiau nei 50 milijonų[74]: 27 valstybėse ES narėse retomis ligomis serga 27–36 milijonai[75], JAV – apie 25 milijonus gyventojų[76]. Kitose šalyse sergamumo retomis ligomis statistika taip pat didelė: pavyzdžiui, Indijoje nuo retų ligų kenčia net 80 milijonų žmonių[77], Kanadoje sergančiųjų yra apie 3 milijonus[78], Australijoje – 1,2 milijono[79], Japonijoje – apie 9 milijonus.

Darbo įvade jau užsiminta, jog vienas iš retų ligų gydymo problemos aktualumo aspektų yra tas, jog šiais biotechnologijų pažangos laikais net ir toms retoms ligoms, kurias būtų įmanoma

[71] Stulbinantys moksliniai pasiekimai elektronikoje, milžiniška informacinių technologijų pažanga, nanotechnologijų atsiradimas, fizikos, biologijos, kombinatorinės chemijos tobulėjimas, genomikos, proteomikos, molekulinės medžiagotyros ir kitų naujų integracinių mokslo sričių atsiradimas ir plėtra jau XX amžiaus paskutinių dešimtmečių pradžioje medicinos, o tuo pačiu ir farmacijos srityse įgalino pasiekti istorijoje precedento neturintį progresą. Išrastos įvairių ligų vakcinos, antibiotikai, priešinfekciniai vaistai, didelių laimėjimų pasiekta diagnozuojant ir gydant onkologines, širdies ir kraujagyslių sistemos ligas.

1990–2003 m. vykdyto Žmogaus genomo projekto (angl. *The Human Genome Project*) metu išanalizuota žmogaus genomo (paveldimos organizmo informacijos, esančios DNR) struktūra, replikacija, pažeidimai ir genetinių mutacijų pasekmės. Svarbiausias žmogaus genomo iššifravimo rezultatas – naujų genomo vietų, lemiančių įvairias ligas, kurias būtų galima paveikti vaistais, identifikavimas. Dabartiniu metu atliekami defektų, atsakingų už retas ligas (įgimtus medžiagų apykaitos ir kitus genetinius sutrikimus) bei daugumą sindromų, tyrimai palaipsniui skina kelią naujų gydymo metodų sukūrimui [JURGELEVIČIUS, V., KUČINSKAS, V., BENIUŠIENĖ E. Prenatalinė molekulinė genetinė paveldimų ligų diagnostika: rezultatai ir perspektyvos. *Laboratorinė medicina.* 2001, 3(11): 35; TORRENT-FARNELL, J., MARROS, R. The EU challenges on the designation of orphan medicinal products. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 22; CASKEY, T. C. The drug development crisis: efficiency and safety. *The Annual Review of Medicine.* February 2007, 58: 1–16.].

[72] WATSON, R. Health ministers to help orphan drugs. *British Medical Journal.* 1995, 310: 1557–1578; CAMPOS-CASTELLO, J. Orphan drugs and orphan diseases. *Rev Neurol.* 2001, 33(3): 216–220.

[73] French National Plan on Rare Diseases (2005–2008). Ensuering equity in the access to diagnosis, treatment and provision of care. 20 November 2004, p. 20.

[74] TORRENT-FARNELL, J., MARROS, R. The EU challenges on the designation of orphan medicinal products. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 20.

[75] Orphan drugs and rare diseases at a glance [interaktyvus]. London: European Medicines Agency, 3 July 2007 [žiūrėta 2008-12-12]. <http://www.emea.europa.eu/htms/human/orphans/ guidance.htm>.

[76] MAEDER, T. The Orphan Drug Backlash. *Scientific American.* 2003, 288(5): 81.

[77] European Platform for Patients' Organisations. Science & Industry (EPPOSI). Sixth Workshop on Partnering for Rare Disease Therapy Development. London, 25–27 October 2005, p. 3.

[78] Canadian Organization for Rare disorders. Prieiga per internetą: <http://www.raredisorders.ca/>.

[79] KNIGHT, A. W., SENIOR, T. P. The common problem of rare disease in general practice. *Med J Aust.* 2006, 185(2): 82–83.

išgydyti vaistai nebuvo kuriami daugiausia dėl finansinių veiksnių, kas lėmė, jog retomis ligomis sergantys pacientai buvo atsidūrę sveikatos sistemos užribyje. Ši problema didesnio dėmesio sulaukė vos prieš tris dešimtmečius. Kadangi JAV 1983 metais priimtas „Retųjų vaistų aktas“[80] pasirodė veiksmingas, po dešimtmečio – t. y. 1993-aisiais metais JAV pavyzdžiu priimdama atitinkamas Farmacinės veiklos įstatymo pataisas pasekė ir Japonija, o ES institucijose panašiu metu buvo pradėtas rengti reglamentas „Dėl retųjų vaistų“.

Sėkmingai įgyvendinant JAV numatytas teisines iniciatyvas ir rinkoje pasirodžius veiksmingų kai kurioms retoms ligoms gydyti skirtų vaistų, kitose pasaulio šalyse pradėtos įteisinti jų prieinamumo garantijos: Singapūre 1991 metų lapkričio 4 dieną priimtas įstatymas dėl organizuoto pacientų aprūpinimo retaisiais vaistais, kuriuo įteisintas retųjų vaistų importas, nepaisant to, jog jie nėra registruoti Singapūro nacionalinės kompetentingos institucijos[81]. Taip pat sudarytas šalyje diagnozuotų retų ligų sąrašas ir nustatytos sąlygos, kad egzistuojantys vaistai šioms ligoms gydyti esant poreikiui būtų tiekiami ir pacientui prieinami[82]; 1993 metais Pietų Korėjos sveikatos ir socialinių reikalų instituto mokslininkai pradėjo kurti pacientų aprūpinimo retaisiais vaistais strategiją[83]. Per įkurtą Pietų Korėjos retųjų vaistų centrą bei farmacijos įmones retieji vaistai pradėti tiekti šios šalies rinkai. Nutarta kompensuoti nuo pusės iki dviejų trečdalių jų kainos[84]; Australijoje 1998 metų pradžioje priimta Australijos retųjų vaistų programa (angl. *Australian Orphan Drug Program*)[85]. Čia nutarta pripažinti JAV registruotus retuosius vaistus, su sąlyga, jei Australijoje sergančiųjų atitinkama reta liga, kuriai gydyti tas vaistas skirtas yra ne daugiau nei 2 000[86]. Kitiems vaistams, kurie pretenduotų į retųjų vaistų statusą, Australijoje nustatyti atskiri vertinimo ir registravimo kriterijai. Vaistų ekonominį prieinamumą pacientams numatyta užtikrinti per vyriausybės finansuojamą vaistų įsigijimo sistemą (angl. *Pharmaceutical Benefit Scheme*) subsidijuojant registruotus retuosius vaistus ir derantis dėl jų kainų su farmacijos įmonėmis arba per gyvybiškai svarbių vaistų programą (angl. *Life Saving Drugs Program*)[87]; Taivanyje 2000 metų vasario 9 dieną priimtas „Retų ligų kontrolės ir retųjų vaistų aktas“, kuriuo reglamentuotos retųjų

[80] Orphan Drug Act of 1983. *Pub. L.* 1983, No. 97-414, 96 Stat. 2094.

[81] CHEUNG, R. Y., COHEN, J. C., ILINGWORTH, P. Orphan Drug Policies: Implications for United States, Canada and Developing Countries. *Health Law Journal.* 2004, 12: 190.

[82] MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal.* 1997, 31: 102.

[83] HAFFNER, M. E. Rare diseases and orphan drugs – the US experience. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 38.

[84] GROSS, A. Orphan drugs in Asia. *Pacific Bridge Medical* [interaktyvus]. 2006 September/October [žiūrėta 2008-01-15]. <http://www.pacificbridgemedical.com/publications/html/AsiaOrphan DrugsSept 2006.htm>.

[85] *The Orphan drug program and improving community acess to efective drugs for rare diseases*. Canberra: Australian Government Publishing service, December 2001.

[86] MINGHETTI, P. A. Proposal to improve the supply of orphan drugs. *Pharmacological Research.* 2000, 42(1): 33.

[87] SANSOM, L. Evaluation and subsidy of orphan drugs in Australia. *Ital J Public Health.* 2005, 2: 87.

vaistų įsigijimo sąlygos, retųjų vaistų bei specialių maisto papildų, reikalingų retomis ligomis sergantiems pacientams kompensavimo tvarka[88,89].

Retųjų vaistų prieinamumo problemą teisiniais būdais aktyviai mėginama spręsti ir Kanadoje[90,91](teikiamos subsidijos vaistus kuriančioms įmonėms; pacientai gali dalyvauti retųjų vaistų klinikiniuose tyrimuose; įteisintas Kanadoje neregistruotų vaistų importas konkretaus paciento reikmėms; JAV registruoti retieji vaistai priskiriami ,,pažangiųjų" kategorijai, kuriems farmakoekonominiai kriterijai nėra taikomi taip griežtai; dėl ypatingai retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kompensavimo Kanadoje sprendžia speciali Komisija[92]). Pastaraisiais metais teisės aktų retųjų vaistų srityje priėmimo klausimas svarstomas Naujojoje Zelandijoje bei Indijoje[93].

Autoriai, nagrinėjantys retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo ypatumus minėtose šalyse, vieningai konstatuoja, jog šalių kompetentingas institucijas imtis veiksmų retų ligų gydymo ir retųjų vaistų prieinamumo srityse paskatino pažangūs teisėkūros pavyzdžiai JAV ir Japonijoje. 1999 metų gruodžio 16 dieną priimto Europos parlamento ir Tarybos reglamento (EB) Nr. 141/2000 ,,Dėl retųjų vaistų"[94] preambulėje taip pat teigiama, jog rengiant šį teisės aktą remtasi JAV ir Japonijos patirtimi (2 ir 8 pastr.). Todėl prieš pradedant gilintis į retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo ypatumus ES, dera plačiau panagrinėti istorinį-teisinį pastarųjų šalių teisinių iniciatyvų kontekstą, atitinkamas jų teisės aktų normas, nes kaip taikliai yra pastebėjęs vokiečių teisininkas E. Zitelman, ,,kiekvienas įstatymas yra istoriškai nulemtas praeities ir todėl gali būti teisingai interpretuotas tik istorijai tarpininkaujant"[95].

1.1. 1983 metų JAV ,,Retųjų vaistų aktas"

Amerikiečių autoriai, nagrinėdami 1983 metais JAV priimto ,,Retųjų vaistų akto" teisėkūros istorinius aspektus, šio teisės akto taikymo ypatumus kelia klausimą, kodėl retos ligos tapo ,,našlaitėmis". Aiškindamiesi priežastis D. Loughnot[96], D. M. Richardson[97], P. J. Kenney[98], M. E.

[88] CHUING, Ch. New hope for rare disorders suffers. *Taiwan panorama* [interaktyvus]. 2000, 3: 118 [žiūrėta 2008-01-15]. <http://www.sinorama.com.tw/en/index.php>.

[89] GROSS, A. Orphan drugs in Asia. *Pacific Bridge Medical* [interaktyvus]. 2006 September/October [žiūrėta 2008-01-15]. <http://www.pacificbridgemedical.com/publications/html/AsiaOrphan DrugsSept2006.htm>.

[90] CHEUNG, R. Y., COHEN, J. C., ILINGWORTH, P. Orphan drug policies: implications for United States, Canada and developing Countries. *Health Law Journal.* 2004, 12: 188.

[91] FERNANDEZ, C. V. Our moral obligations in caring for patients with orphan cancers. *CMAJ*. 2007, 176(3).

[92] De PAULSEN, N. Abandonment or Access: Canada's Orphan Drug Policy. Working paper [interaktyvus]. University of Toronto Health Law and Policy Group. 2004 [žiūrėta 2008-10-13]. <http://www.law.utoronto.ca/healthlaw/docs/ student_dePaulson-OrphanDrugs.pdf>.

[93] RANDHAWA, G. K. Orphan diseases and drugs. *Indian Journal of Pharmacology.* 2006, 38(3): 172.

[94] Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.

[95] VAIŠVILA, A. *Teisės teorija*. Vilnius: Justitia, 2005, p. 39.

[96] LOUGHNOT, D. Potential interactions of the Orphan Drug Act and pharmacogenomics: A flood of orphan drugs and abuses? *American Journal of Law and Medicine.* 2005, 31(2/3): 367; HAFFNER, M. E., WHITLEY, J., MOSES, M. Two decades of orphan product development. *Nat Rev Drug Discov*. 2002, 1: 821.

Haffner[99], pamini vadinamąją „talidomido tragediją“[100], kuri, nors įvyko ne JAV, o Europoje, įtakojo ir tai, jog 1962 metais JAV Kongresas pakeitė Maisto ir vaistų administracijos (angl. *Food and Drug Agency, FDA*) vaistų registravimo procedūrą, įterpdamas reikalavimą, jog siekiant gauti leidimą prekiauti vaistu būtina įrodyti ne tik to vaisto veiksmingumą, bet ir saugumą. Kadangi sudėtingėjant klinikinių tyrimų procedūroms išaugo vaistų pateikimo rinkai sąnaudos, todėl JAV farmacijos įmonės didžiausias pastangas sutelkė gamindamos paklausius vaistus. Tuo tarpu vaistų retoms ligoms gydyti kūrimas ir gamyba nekėlė susidomėjimo ne tik dėl mažos potencialios rinkos kiekvienos atskiros ligos atveju ir nepelningumo, bet ir dėl jau minėtos sudėtingesnio nei paprastai klinikinių tyrimų proceso priežasties[101]. Taigi retos ligos liko „našlaitės“, nes neatsirado įmonių, norinčių investuoti į vaistų joms gydyti kūrimą.

XX amžiaus 7–8 dešimtmetyje retomis ligomis sergantiems pacientams ir jų artimiesiems sunkiai sekėsi atkreipti valstybės institucijų ir visuomenės dėmesį bei įtikinti, jog retų ligų gydymo problemą būtina spręsti[102]. Kaip pastebi J. Henkel, pacientų pagalbos šauksmas buvo išgirstas tik kilus didžiuliam visuomenės spaudimui, po to kai 1981 metais žinomas aktorius J. Klugman tuomet populiariame JAV televizijos seriale suvaidino keletą tikrais faktais paremtų epizodų retų ligų ir joms gydyti skirtų vaistų neprieinamumo tema[103], o šią sritį reglamentuojančių teisės nuostatų spragomis susidomėjo didieji JAV dienraščiai[104].

Kilus ažiotažui, 1981 metais JAV Kongreso narys H. Waxman pateiktame teisės akto projekte[105] pasiūlė farmacijos įmonių gaminamiems nepatentuotiems retoms ligoms gydyti skirtiems vaistams suteikti rinkos išimtinumą – t. y. išskirtines teises šiuo vaistu prekiauti tam tikrą laikotarpį nuo jo įregistravimo[106]. Kongresas šiam H. Waxman pasiūlymui netrukus pritarė. Beje,

---

[97] RICHARDSON, D. M. The orphan drug tax credit: an inadequate response to an ill-defined problem. *The American Journal of Tax Policy*. 1987, 6: 135–210.

[98] KENNEY, P. J. The Orphan Drug Act – is it a barrier to innovation? Does it create unintended windfalls? *Food Drug Cosmetic Law Journal*. 1998, 43: 667–679.

[99] HAFFNER, M. E., WHITLEY, J., MOSES, M. Two decades of orphan product development. *Nat Rev Drug Discov*. 2002, 1: 821–825.

[100] Europoje 1960–1961 m. įvyko vadinamoji „talidomido tragedija“, kurios metu buvo užregistruota apie 30 000 naujagimių apsigimimų, kuriuos kaip išsiaiškinta vėliau atlikus tyrimus sukėlė migdomasis ir raminamasis preparatas Talidomidas (jo buvo rekomenduojama skirti nėščioms moterims rytinio pykinimo simptomams slopinti) [STAKIŠAITIS, D., DANILA, E., RAMANAUSKAS J., *ir kt. Gera klinikinė praktika*. Metodinės rekomendacijos tyrėjui. Vilnius: 2005, p. 23–24.].

[101] LOUGHNOT, D. Potential interactions of the Orphan Drug Act and pharmacogenomics: a flood of orphan drugs and abuses? *American Journal of Law and Medicine*. 2005, 31(2/3): 367.

[102] HAFFNER, M. E., WHITLEY, J., MOSES M. Two decades of orphan product development. *Nat Rev Drug Discov*. 2002, 1: 821.

[103] Serialo serijų scenarijus buvo paremtas realia istorija apie reta nervų sistemos liga – Tureto (*Tourette*) sindromu sergantį berniuką, kurio motinai buvo uždrausta iš Kanados į JAV įvežti jos sūnui reikalingus vaistus, nes jie pastarojoje šalyje nebuvo registruoti (*aut. past.*).

[104] HENKEL, J. How TV launched the Orphan Drug Law. *FDA Consumer* [interaktyvus]. 1999, 33(3): 34 [žiūrėta 2008-01-15 d.]. <http://www.fda.gov/fdac/features/1999/399_orph.html#tv>.

[105] Waxman Bill. [1981] HR 5238.

[106] TROUILER, P., BATTISTELLA, C., PINEL, J., PÉCOUL, B. Is orphan drug status beneficial to tropical disease control? Comparison of the American and future European orphan drugs acts. *Tropical Medicine and International Health*. 1999, 4: 412–420.

įdomu tai, jog keletą mėnesių prieš tai JAV Kongreso narės E. Holtzman pateiktas teisės akto dėl retųjų vaistų projektas[107] kolegų dėmesio ir palaikymo nebuvo sulaukęs. Tai rodo, kokia svarbi buvo retomis ligomis sergančių pacientų bendruomenės iniciatyva, taip pat visuomenės ir žiniasklaidos įtaka tam, kad JAV Kongresas pagaliau atkreiptų dėmesį į ilgus dešimtmečius trečiaeiliu laikytą retų ligų gydymo klausimą ir pagaliau pradėtų jį spręsti.

H. Waxman projekto pagrindu 1982 metais Kongresas priėmė ,,Retųjų vaistų aktą“[108]. Nors JAV prezidentas R. Reiganas šį aktą vetavo, jo administracijai baiminantis farmacijos įmonėms žadamų mokesčių lengvatų, tačiau pakartotinai kilus pacientų, jų artimųjų ir visuomenės raginimams ,,Retųjų vaistų aktą“ priimti, 1983-ųjų pradžioje R. Reiganas pasirašė jį tardamas: ,,Tetrokštu vieno, – kad šio rašiklio brūkštelėjimu galėčiau pasirašyti ir tokį dekretą, kuriuo baigtųsi kenčiančiųjų nuo retų ligų žmonių skausmas ir širdgėla“[109].

1983 metų sausio 4 dieną įsigaliojusiame ,,Retųjų vaistų akte“ buvo suformuluotos ir teisiškai įtvirtintos sampratos „reta liga“ bei „retasis vaistas“, nustatyti vaistinių preparatų priskyrimo retiesiems vaistams kriterijai, farmacijos ir biotechnologijų įmonėms numatytos paskatos: mokslinė arba dar kitaip vadinama protokolinė pagalba vykdant vaistų klinikinius tyrimus; greitesnis paraiškų registruoti retuosius vaistus peržiūrėjimas; įvairios finansinės paskatos (mokesčių nuolaidos; dotacijos; subsidijos); rinkos išimtinumas registruotam retajam vaistui iki 7 metų[110].

Nors šiomis paskatomis JAV įmonėms buvo sukurtos palankios sąlygos pradėti kurti retų ligų gydymui skirtus vaistus, vis dėlto iš pradžių ,,Retųjų vaistų aktas“ farmacijos pramonininkų buvo sutiktas ne itin palankiai. Pasak A. S. Meyers, farmacijos įmonės, atstovaujamos Vaistų gamintojų asociacijos, netgi prieštaravo tokio teisės akto priėmimui, nes traktavo jį kaip, neva, nepagrįstą valstybės ,,kišimąsi“ į privatų verslą, o vaistų retoms ligoms poreikį teigė esant tik pacientų bendruomenės dirbtinai ,,išpūsta“ problema. Nors konkrečių iniciatyvų nerodė, pramonininkai tvirtino, jog dauguma didelių farmacijos įmonių ir be paskatų galėtų kurti nepelningus vaistus, pavyzdžiui, tik vedinos ,,geranoriškumo ir solidarumo“[111].

Dėl tokių neigiamų nuostatų, pirmuosius dvejus metus po ,,Retųjų vaistų akto“ įsigaliojimo vaistai retoms ligoms gydyti JAV praktiškai nebuvo kuriami. Tik praėjus maždaug trejiems metams farmacijos pramonininkai susivokė, jog ,,Retųjų vaistų akte“ siūloma 7 metų rinkos išimtinumo

[107] Holtzman bill. [1980] H.R. 7089.

[108] Orphan Drug Act of 1983. *Pub. L.* 1983, No. 97-414, 96 Stat. 2094.

[109] MEYERS, A. Pain versus Promises. *VHL Family Forum* [interaktyvus]. 2003, 11(3): 6 [žiūrėta 2008-02-02]. <http://www.vhl.org/newspdf/vhln0309.pdf>.

[110] TROUILER, P, BATTISTELLA, C., PINEL, J., PÉCOUL, B. Is orphan drug status beneficial to tropical disease control? Comparison of the American and future European orphan drugs acts. *Tropical Medicine and International Health.* 1999, 4: 415.

[111] MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal.* 1997, 31: 101.

paskata gali būti labai parankus patento pakaitalas[112], o kuriami ar jau sukurti vaistai, skirti retoms ligoms gydyti – pelningi. Nauji vaistai ir biotechnologijų preparatai, tokie kaip žmogaus augimo hormonas, vaistas *Zidovudine* ŽIV/AIDS sindromui, *Erythropoieten*, skatinantis raudonųjų kraujo kūnelių gamybą kaulų čiulpuose sergant vėžiu ar AIDS, *Cerezyme* Goše (*Gaucher*) ligai buvo pirmieji, kurių pardavimai įrodė, jog šių vaistų pelningumas gali būti tikrai ne mažesnis nei tas, kuris gaunamas parduodant vaistus įprastoms ir dažnai pasitaikančioms ligoms (pvz., hipertenzijai ar artritui) gydyti[113,114]. Nuo tada JAV Maisto ir vaistų administracijai buvo pateikiama vis daugiau paraiškų dėl vaistų priskyrimo retiesiems.

Netrukus išryškėjo ir keletas ,,Retųjų vaistų akto“ spragų, kuriomis netruko pasinaudoti pelno besivaikančios retuosius vaistus užregistravusios farmacijos įmonės[115]. Nepaisant to, istorinius-teisinius ,,Retųjų vaistų akto“ priėmimo aspektus nagrinėjantys autoriai vienbalsiai sutaria, jog svarbiausias šio teisės akto priėmimo tikslas buvo įgyvendintas – pagaliau atkreiptas dėmesys į retų ligų gydymo problemą ir jomis sergančių pacientų teisėtus lūkesčius.

,,Retųjų vaistų aktas“ buvo papildytas tris kartus: 1984, 1985 ir 1988 metais[116]. 1984 metais – įtvirtintas aiškus retos ligos ar būklės apibrėžimo epidemiologinis rodiklis – ne daugiau nei 200 000 sergančiųjų JAV[117,118]; 1985-aisiais rinkos išimtinumo paskatą pradėta taikyti ir patentuotiems

---

[112] *Ibid.*

[113] Pavyzdžiui, *Zidovudinas* (*Zidovudine*, AZT) vaistas farmacijos įmonei *Glaxo Wellcome* atnešė 471 milijoną JAV dolerių pelno; *Eritropoetinas* (*Erythropoiten*) 1997 m. farmacijos įmonei *Amgen* atnešė 2 milijardus JAV dolerių pelno; *Cerezyme* – farmacijos įmonei *Genzyme* – 500 milijonų JAV dolerių pelno [CHEUNG, R. Y. COHEN, J. C., ILLINGWORTH, P. Orphan drug policies: implications for United States, Canada and Developing Countries. *Health Law Journal*. 2004, 12: 191–192.].

[114] MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal*. 1997, 31: 102.

[115] Literatūroje dažniausiai minimas nedidelės Kalifornijos (JAV) biotechnologijų įmonės Amgen, sukūrusios vaistą *epoetin alfa (Epogen)* pavyzdys. *Epogen* kaip vaistas, skirtas anemijai esant paskutinėms inkstų nepakankamumo stadijoms gydyti, 1986 m. buvo užregistruotas kaip retasis, o 1989 m. pateiktas į rinką. Gydytojams supratus, jog šis vaistas puikiai tinka ir kitokioms anemijos formoms nei tik registruotoji vaisto indikacija (t. y. nebūtinai sergant anemija, sukelta inkstų nepakankamumo) ir ėmus jį skirti pacientams, vaistas tapo įspūdingai pelningas. Įmonė gaudavo daugiau nei milijardą dolerių įplaukų kasmet. Tikėtina, jog Amgen tikrai žinojo apie plačias gydymo *Epogenu* galimybes, tačiau nutylėjo tai ir siekdama pasinaudoti ,,Retųjų vaistų akto“ teikiamomis paskatomis pateikė paraišką registruoti vaistą tik kaip skirtą konkrečiai ligai - inkstų nepakankamumo sukeltai anemijai gydyti, taip septyneriems metams užsitikrindama sau išimtines prekybos tuo vaistu teises.

Atsižvelgiant į tai ir siekiant išvengti ateityje galinčių pasitaikyti panašių piktnaudžiavimo atvejų buvo priimti ,,Retųjų vaistų akto“ papildymai. 1992 m. JAV Maisto ir vaistų tarnyba apibrėžė, jog rinkos išimtinumo paskata baigiasi, kai įplaukos už vaistą viršija 200 milijonų dolerių, išskyrus atvejus, jei šią sumą viršija vaisto kūrimo išlaidos. Pastaroji nuostata reiškia, jog vaistų rėmėjai bandydami nepagrįstai pasipelnyti iš didesnės rinkos per tai, jog retasis vaistas skiriamas nepatvirtintoms indikacijoms praranda pagrindinę ,,Retųjų vaistų akto“ pagrindu suteiktą rinkos išimtinumo paskatą. [LOUGHNOT, D. Potential interactions of the Orphan Drug Act and pharmacogenomics: a flood of orphan drugs and abuses? *American Journal of Law and Medicine*. 2005, 31(2/3): 371–377.].

[116] Health Promotion and Disease Prevention Amendments of 1984. *Pub. L.* 1984, No. 98-551, 98 Stat. 2815; Orphan Drug Amendments of 1985. *Pub. L.* 1985, No. 99-91, 99 Stat, 387; Orphan Drug Amendments of 1988. *Pub. L.* 1988, No. 100-290, 102 Stat, 90.

[117] ,,Retųjų vaistų akte“ ,,reta liga ar būklė“ buvo apibrėžta kaip ,,bet kuri liga ar būklė, kuri JAV pasitaiko taip nedažnai, jog nėra įtikima, kad pardavus šį vaistą JAV būtų gauta pakankamai įplaukų, kad būtų susigrąžintos investicijos“. 1984 m. buvo aiškiau nusakyta mažo ligos paplitimo koncepcija – t. y. reta liga apibrėžta kaip tokia, kuria serga mažiau nei 200 000 asmenų JAV; arba tokia, kuria serga daugiau nei 200 000 asmenų JAV nesant tikimybės, jog pardavus jai gydyti skirtą vaistą JAV būtų gauta pakankamai įplaukų, kad būtų susigrąžintos investicijos.

vaistams[119]; 1988 metais – įtvirtintas reikalavimas retųjų vaistų rėmėjams (angl. *sponsors*) – t. y. farmacijos ir biotechnologijų įmonėms prieš kreipiantis į JAV Maisto ir vaistų administraciją dėl rinkodaros teisių suteikimo pirmiausia pateikti paraišką dėl vaisto priskyrimo retųjų kategorijai. Taip pat, siekiant užtikrinti nenutrūkstamą neretai gyvybiškai svarbių vaistų pacientams tiekimą, rėmėjai įpareigoti pranešti apie ketinimus nutraukti retojo vaisto gamybą prieš vienerius metus iki jos sustabdymo[120].

Dar vienas svarbus žingsnis, skirtas retųjų vaistų prieinamumui gerinti – 1987 metais priimtos teisės normos, įteisinančios tiriamųjų ir JAV neregistruotų vaistų prieinamumą pacientams. Nuolat susiduriant su gyvybei gresiančiomis ligomis sergančių pacientų ir jų artimųjų prašymais ir net bylinėjimusi teismuose leisti naudoti naujausius vaistus, nepaisant to, jog jie dar nėra registruoti (t. y. dar nepatvirtintas vaistinio preparato veiksmingumas, saugumas ir kokybė)[121], JAV atsakingos institucijos ėmėsi atitinkamų teisinių priemonių. Siekiant ,,paspartinti ir palengvinti naujų tiriamųjų vaistų (angl. *investigational new drugs*) prieinamumą nepagydomai sergantiems pacientams“[122], JAV įteisintas individualaus paciento reikmėms skirto neregistruoto vaisto naudojimas (angl. *individual patient use / single patient access*) ir vadinamasis labdaringas naujų tiriamųjų vaistų panaudojimas daugiau nei vienam pacientui – t. y. mažoms pacientų grupelėms (angl. *compassionate use treatment of investigational new drugs*)[123]. Taip pat nustatyti teisėti tokių vaistų skyrimo ir naudojimo kriterijai: (1) vaistas turi būti skirtas gydyti ,,sunkiai ar greitu laiku mirtimi gresiančiai ligai“ (angl. *for serious or immediately life-threatening disease*)[124]; (2) neturi būti panašaus ar pakankamai gero alternatyvaus registruoto vaisto ar kito gydymo tokiems pacientams

---

[118] 200 000 asmenų sergamumo rodiklis pasirinktas atsižvelgiant į narkolepsijos ir išsėtinės sklerozės paplitimą JAV [The Orphan Drug Act. Implementation and impact. San Francisco: Office of Inspector General. May 2001, p. 4 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-05-21]. <http://oig.hhs.gov/oei/reports/oei-09-00-00380.pdf >.].

[119] *Ibid.*

[120] RIN-LAURES, L., JANOVSKY, D. Recent developments concerning the Orphan Drug Act. *Harvard Journal of Law and Technology* [interaktyvus]. 1991, 4: 274–275 [žiūrėta 2007-05-21]. <http://jolt.law.harvard.edu/articles/pdf/v04/04 HarvJLTech269.pdf>.

[121] Žr. *Carnohan* v. *United States*, 616 F.2d 1120, 1122 (9th Cir. 1980) (dėl konstitucinės teisės į privatumą ir asmens laisvės teisėto suvaržymo neleidžiant asmenims laisvai įsigyti vaisto *Laetril* (vėžio gydymui); *Duncan* v. *United States*, 590 F. Supp. 39, 44 (W.D.Okla. 1984); *Rutherford v. United States*, 438 F. Supp. 1287, 1301 (W.D. Okla. 1977), *aff'd*, 582 F.2d 1234 (10th Cir. 1978), *rev'd*, 442 U.S. 544 (1979) (dėl konstitucinės teisės į privatumą leidžiant nepagydomai sergantiems pacientams naudoti netoksišką vaistą *Laetril* asmeninio gydymo reikmėms). In VALE, J. Expanding expanded access: how the Food and Drug Administration can achieve better access to experimental drugs for seriously ill patients. *The Georgetown Law Journal* [interaktyvus]. 2008, 96: 2149 [žiūrėta 2009-02-21]. <http://www.georgetownlawjournal.org/issues/pdf/96-6/Vale.PDF>.

[122] Investigational New Drug Application, 21 C.F.R. § 312.34(a). Taip pat žr.: FDA Proposals To Ease Restrictions on the Use and Sale of Experimental Drugs: Hearing Before the Subcomm. on Human Resources and Intergovernmental Relations of the H. Comm. on Gov. Operations, 100th Cong. 67 (1987) (statement of Dr. Frank E. Young, Commissioner, FDA). In *Ibid.*, p. 2151.

[123] US Code - Title 21, Chapter 9, Subchapter V, Part E, § 360bbb.

[124] Ligos ,,sunkumo“ kriterijus neapibrėžtas, o ligos ,,pavojingumas gyvybei“ nusakytas kaip pagrįsta mirties tikimybė keleto mėnesių eigoje ar priešlaikinė mirtis negydant [Investigational New Drug Application, 21 C.F.R. § 312.34(b)(3)(ii).].

tokioje ligos stadijoje; (3) vaistas turi būti tiriamas kontroliuojamame klinikiniame tyrime[125] ar tokie tyrimai turi būti užbaigti; (4) vaisto rėmėjas turi turėti rimtų ketinimų, kad toks vaistas būtų registruotas artimiausiu laiku[126]. Siekiant užtikrinti tokių vaistų naudojimo kontrolę, JAV Maisto ir vaistų administracijos komisijai suteikti įgaliojimai leisti arba sustabdyti ar uždrausti gydymą tokiais vaistais. Numatyta, jog sunkiai sergantiems pacientams gydymas tiriamuoju vaistu gali būti sustabdytas ar uždraustas, jei jis pasirodo nepakankamai saugus ar veiksmingas. Taip pat, kad nepagydomai sergantiems pacientams gali būti neleista naudoti naujų tiriamųjų vaistų, jei nepakanka mokslinių įrodymų, jog tokie vaistai yra veiksmingi. Pabrėžta, jog tokių vaistų vartojimas neturi kelti pacientams nepagrįstos rizikos. Kokie kriterijai turėtų būti įvykdyti, kad vaistas galėtų būti naudojamas individualaus paciento gydymui 1987 metais priimtose teisės nuostatose plačiau neišdėstyta[127].

Toks JAV Maisto ir vaistų administracijos sprendimas sulaukė ne tik pritarimo, bet ir nemažai kritikos. Pacientai ir jų artimieji džiaugėsi galėsiantys teisėtai ,,griebtis paskutinio šiaudo“. Tuo tarpu kritikai teigė, jog JAV Maisto ir vaistų administracija peržengė savo kompetencijos ribas: nuogąstauta dėl tiriamųjų vaistų kokybės ir veiksmingumo, pacientų saugumo. Taip pat baimintasi, jog bus tyčia delsiama registruoti naujus vaistus, jei sergantys pacientai galės įsigyti eksperimentinių vaistų net ir nedalyvaudami klinikiniuose tyrimuose.

Nepaisant išdėstytų abejonių pagrįstumo, vis dėlto vadinamosios išplėsto vaistų prieinamumo programos (angl. *expanded access programs*) JAV buvo įteisintos. Dėl to labai sunkiai ar mirtinai sergantiems pacientams naujausi vaistiniai preparatai tapo prieinami po II ar III klinikinių tyrimų fazės – t. y. net iki penkerių metų anksčiau, nei jie būtų pateikti rinkai[128]. Tačiau atsižvelgiant į tebevykstančias aštrias diskusijas ir kritiką dėl tiriamųjų vaistų skyrimo ir naudojimo tvarkos, ji šiek tiek pakoreguota 1997 metais priėmus Maisto ir vaistų administracijos modernizavimo aktą (angl. *Food and Drug Administration Modernization Act*[129]), papildžiusį Federalinį maisto, vaistų ir kosmetikos aktą[130].

Radikalių šios tvarkos pokyčių tikėtasi 2003–2008 metais vykstant permainingam teismo procesui byloje *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*[131], kuriame argumentuojant paciento autonomijos ir laisvo pasirinkimo teise siekta, jog mirtinai

[125] *Kontroliuojamas klinikinis tyrimas* reiškia, jog tiriamojo vaisto veiksmingumo tyrimas yra kontroliuojamas palyginamuoju preparatu arba placebu. Tai vyksta II ir III klinikinių tyrimų fazėse.

[126] Investigational New Drug Application, 21 C.F.R. § 312.34(b)(1)(i)-(iv).

[127] Expanded access investigational drugs for treatment use; Final Rules. *Federal Register* [interaktyvus]. 2009, 74(155) [žiūrėta 2009-08-14]. <http://edocket.access.gpo.gov/ 2009/pdf/E9-19005.pdf>.

[128] VALE, J. Expanding expanded access: how the Food and Drug Administration can achieve better access to experimental drugs for seriously ill patients. *The Georgetown Law Journal*. 2008, 96: 2152–2153.

[129] Food and Drug Administration Modernization Act of 1997. *Pub. L.* 1997, No. 105-115, 111 Stat. 2296(1997).

[130] Expanded Access to Unapproved Therapies and Diagnostics, section 561 of the act (21 U.S.C. 360bbb)).

[131] *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 445 F.3d 470 (D.C. Cir. 2006), *rev'd*, 495 F.3d 695 (D.C. Cir 2007) (en banc). *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 495 F.3d 695, 697 (D.C. Cir. 2007) (en banc), *cert. denied*, 128 S. Ct. 1069 (2008).

sergantys pacientai galėtų teisėtai gauti neregistruotų vaistų pasibaigus I klinikinių tyrimų fazei, tačiau galiausiai byla buvo pralaimėta. Kolumbijos apeliacinis teismas 2008-aisiais pakartotinai svarstęs šią bylą nepatenkino *Abigail Alliance* prašymo, teigdamas, jog nepagydomai sergantys pacientai neturi Konstitucijos ginamos teisės vartoti neregistruotus eksperimentinius vaistus, nes jų gydomasis poveikis kol kas nėra įrodytas[132]. Vis dėlto neslopstant pacientų ir pacientų organizacijų spaudimui dėl asmens „teisės likti gyvam“ įgyvendinimo[133] 2009 metų rugpjūčio 12 dieną JAV Maisto ir vaistų tarnyba paskelbė priėmusi porą pakeitimų nuostatose dėl vaistų prieinamumo[134].

Pirmuoju pakeitimu buvo aiškiau nusakyta procedūra ir kriterijai, kuriais reikia vadovautis, jei pacientams reikalingi eksperimentiniai vaistai. Šalia 1987 metais įtvirtintų kriterijų papildomai nustatyta, jog tiriamieji vaistai per išplėsto prieinamumo programas gali būti naudojami pacientų gydymui, jei: a) sergama liga ar būkle, kurios gydymui nėra tinkamo registruoto vaisto; b) eksperimentinių vaistų nauda pacientams didesnė nei galima rizika (pvz., ilgesnės gyvenimo trukmės sergant atitinkama liga ar būkle galimybė); c) išplėstas vaistų prieinamumas nesutrikdys tolesnių to vaisto tyrimų – t. y. ir toliau turi būti vykdomi to vaisto klinikiniai tyrimai, siekiant įrodyti jo saugumą, veiksmingumą.

Aiškiau nei 1987-aisiais reglamentuotas tiriamųjų vaistų naudojimas pavienių pacientų gydymui. Nustatyta, kad JAV Maisto ir vaistų administracija gali leisti naudoti vaistą paciento gydymui, jei įgyvendinami anksčiau nurodyti kriterijai ir jei: a) licenciją turintis gydytojas nusprendžia, kad tiriamojo vaisto vartojimo rizika yra ne didesnė, nei galinti kilti dėl paciento ligos ar būklės; b) pacientas negali gauti vaistų dalyvaudamas kitose išplėsto prieinamumo programose ar klinikiniame tyrime.

Paraišką dėl pavienio paciento gydymo nauju tiriamuoju vaistu reikalingumo suteikta teisė pateikti arba vaisto rėmėjui, arba gydytojui. Kaip „saugikliai“ priimtos nuostatos: kad pavienio paciento gydymas nauju tiriamuoju vaistu apribojamas vienu gydymo kursu nustatytam laikotarpiui, iki tol, kol JAV Maisto ir vaistų administracija suteiks leidimą didesniam gydymo kursų skaičiui ar ilgalaikiam gydymui; kad baigus gydymą JAV Maisto ir vaistų administracijai reikia pateikti

[132] Plačiau apie šią bylą: CHIN, B. R. One last chance: *Abigail Alliance v. von Eschenbach* and the right to access experimental drugs. Note. University of California, Davis [interaktyvus]. 2008, 41: 1969–2000 [žiūrėta 2009-05-23]. < http://lawreview.law.ucdavis.edu/issues/41-5_Chin.pdf >.

[133] ROMANO, L. V., JACOBSON, P. D. Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine and law. *Journal of Health & Life Sciences Law* [interaktyvus]. 2009, 2(2): 49 [žiūrėta 2009-08-14]. <http://www.hallrender.com/library/articles/497/1226_001a.pdf.>; CHIN, B. R. One last chance: *Abigail Alliance v. von Eschenbach* and the right to access experimental drugs. Note. University of California, Davis [interaktyvus]. 2008, 41: 1985.

[134] Expanded access investigational drugs for treatment use. Final Rules. *Federal Register* [interaktyvus]. 2009, 74(155) [žiūrėta 2009-08-14]. <http://edocket.access.gpo.gov/ 2009/pdf/E9-19005.pdf>; Charging for investigational drugs under and investigational new drug application; Final Rules. *Federal Register* [interaktyvus]. 2009, 74(155) [žiūrėta 2009-08-14]. <http://edocket.access.gpo.gov/2009/pdf/E9-19004.pdf>.

išvadas apie gydymo rezultatus bei šalutinį vaisto poveikį; kad, vaisto rėmėjas gali būti paprašytas stebėti pavienio paciento gydymo eigą, jei gydymas trunka ilgesnį laiką[135].

Antruoju pakeitimu JAV Maisto ir vaistų administracija numatė aplinkybes, kurioms esant vaisto gamintojas gali imti mokestį iš paciento už eksperimentinį vaistą pacientui dalyvaujant klinikiniame tyrime ar išplėsto prieinamumo programoje bei nurodyta, kad vaisto gamintojas gali prašyti, kad pacientas apmokėtų vaisto gamybos išlaidas ir išplėsto prieinamumo programos administravimo išlaidas[136]. Šiomis nuostatomis farmacijos įmonėms užkirstas kelias pasipelnyti iš eksperimentinių vaistų pardavimo. Priimtos pataisos įsigaliojo nuo 2009 metų spalio 13-osios.

Sprendžiant retų ligų gydymo problemą JAV yra priimti dar du dokumentai: ,,Retų ligų aktas“[137] ir ,,Retoms ligoms gydyti skirtų retųjų vaistų plėtros aktas“[138]. Remiantis jais dar 2002 metais JAV įsteigta Retų ligų tarnyba prie Nacionalinio sveikatos instituto (angl. *Office of Rare Diseases within National Institutes of Health*) ir įteisinti asignavimai regioniniams retų ligų kompetencijos centrams (angl. *Rare Disease Regional Centers of Excellence*),[139] padidintas finansavimas retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kūrimui[140]. Taip pat įteisintas greitesnis paraiškų dėl retųjų vaistų registravimo peržiūrėjimas JAV Maisto ir vaistų administracijoje (angl. *fast-track drug approval*).

Apibendrinant JAV ,,Retųjų vaistų akto“ reikšmę pastebėtina, jog literatūroje jis įvardijamas kaip vienas sėkmingiausių ir pažangiausių teisės aktų JAV sveikatos teisės istorijoje[141,142]. Tai pripažįsta tiek retomis ligomis sergančių pacientų organizacijos, kurias vienija nacionalinė retų ligų organizacija NORD (angl. *National Organization for Rare Diseases*)[143], tiek politikai, gydytojai, teisės, farmacijos ir kitų sričių specialistai. Jo įtaką retųjų vaistų prieinamumui rodo lyginamoji statistika: per dvidešimt šešerius metus – t. y. nuo 1983-ųjų iki 2008-ųjų metų pradžios, JAV daugiau nei 320 vaistų tapo prieinami sergantiesiems retomis ligomis, tuo tarpu kai per 8–10 metų iki šio teisės akto įsigaliojimo buvo užregistruota tik 10 vaistinių preparatų retoms ligoms

[135] Expanded access investigational drugs for treatment use; Final Rules. *Federal Register*. 2009, 74(155): 40944.

[136] FDA expands access to investigational drugs. *FDA Consumer Health Information* [interaktyvus]. Agust 2009 [žiūrėta 2009-08-13]. <http://www.fda.gov/downloads/ForConsumers/ ConsumerUpdates/UCM177001.pdf>.

[137] Rare Diseases Act of 2002. *Pub. L.* 2002, No.107-280 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-08-15]. <http://ftp.resource.org/gpo.gov/laws/107/publ280.107.pdf >.

[138] Rare Disease Orphan Product Development Act of 2002. *Pub. L.* 2002, No. 107-281.

[139] IRIBARNE, A. Orphan diseases and adoptive initiatives. *JAMA.* 2003, 290(1): 116.

[140] CHEUNG, R. Y. COHEN, J. C., ILLINGWORTH, P. Orphan drug policies: implications for United States, Canada and developing Countries. *Health Law Journal.* 2004, 12: 186.

[141] MAEDER, T. The Orphan Drug backlash. *Scientific American*. May 2003, p. 87;

[142] HAFFNER, M. E., WHITLEY, J., MOSES, M. Two decades of orphan product development. *Nature Reviews.* 2002, 1(10): 821.

[143] JAV retomis ligomis sergančių pacientų organizacijas vienija nacionalinė retų ligų organizacija NORD (angl. *National Organization for Rare Diseases*). Jos tinklapį galima rasti internete per prieigą: <http://www.rarediseases. org/>.

gydyti[144,145]. Iki 2007 metų pabaigos JAV Maisto ir vaistų administracijoje užregistruoti retieji vaistai yra skirti 238 skirtingoms retoms ligoms[146]. Daugiausia iš jų (apie 30 proc.) skirti retoms onkologinėms ligoms ir medžiagų apykaitos sistemos ligoms gydyti (apie 10 proc.). Maždaug pusė visų registruotų ir rinkoje esančių retųjų vaistų naudojami pediatrijoje (vaikų gydymui)[147]. Šis teisės aktas ne tik sudarė sąlygas tam, jog būtų išgelbėtos sergančiųjų retomis ligomis pacientų gyvybės, pagerinta jų gyvenimo kokybė ir sveikatos priežiūra, bet taip pat paskatino ir visos biotechnologijų pramonės augimą, vaistinių preparatų tobulėjimą. Tai nauda globaliu mastu visai pacientų bendruomenei[148,149].

1.2. 1993 metų Japonijos farmacinės veiklos įstatymo pataisos dėl retųjų vaistų

Japonija – pirmoji Azijos valstybė, kurioje sprendžiant retų ligų gydymo problemą imtasi teisinių priemonių skatinant retųjų vaistų kūrimą ir prieinamumą. Víešos diskusijos šia tema Japonijoje kilo 1985 metais, o 1986-aisiais intensyviai pradėta svarstyti retųjų vaistų programa[150]. 1990 metais pasirodžiusioje Y. Minamida knygoje „Retieji vaistai Japonijoje“ buvo pateikti visuomenės debatai šia tematika. O po trijų metų – 1993-aisiais Japonijos Vaistų saugumo ir tyrimų organizacija (angl. *Organization for Pharmaceutical Safety and Research*) pradėjo programos, skatinančios retųjų vaistų kūrimą ir tyrimus, įgyvendinimą[151]. Universitetų bei ligoninių mokslininkų grupėms, vykdančioms 3–5 metų trukmės mokslinius retų ligų ir vaistų tyrimų projektus, skirtos subsidijos nuo 10 iki 30 milijonų jenų kasmet[152]. Kadangi programos įgyvendinimas vyko sklandžiai, tais pačiais metais buvo papildytas Japonijos farmacinės veiklos įstatymas, įtvirtinant specialias nuostatas, įteisinančias paskatas retųjų vaistų kūrimui (angl. *Japan Orphan Drug Amendment to the Pharmaceutical Affairs Law*).

---

[144] HAFFNER, M. E., TORRENT-FARNELL, J., MAHER, D. P. Does orphan drug legislation really answer the needs of patients? *Lancet* [interaktyvus]. 2008, 371: 2041 [žiūrėta 2009-01-14]. <http://www.myelin.org/en/art/39/>.

[145] HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases. *N Engl J Med* [interaktyvus]. 2006, 354: 445 [žiūrėta 2007-07-15]. <http://content.nejm.org/ cgi/content/full/354/5/445>.

[146] SEOANE-VAZQUEZ, E., RODRIGUEZ-MONGUIO, R., SZEINBACH, S. L. Incentives for orphan drug research and development in the United States. *Orphanet J Rare Dis* [interaktyvus]. 2008, 3: 33 [žiūrėta 2008-12-20]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/articlerender.fcgi?artid=2631478>.

[147] HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases. *N Engl J Med* [interaktyvus]. 2006, 354: 446 [žiūrėta 2007-07-15]. <http://content.nejm.org/ cgi/content/full/354/5/445>.

[148] HAFFNER, M. E., WHITLEY, J., MOSES, M. Two decades of orphan product development. *Nat Rev Drug Discov*. 2002, 1: 821–825.

[149] MAHER, P. D., HAFFNER, M. Orphan drug designation and pharmacogenomics. *Biodrugs.* 2006, 20(2): 71–79.

[150] UCHIDA, K. Orphan drugs in Japan. *Drug Information Journal*. 1996, 30: 171–175.

[151] SEGET, S. Orphan drugs to 2008. Understanding regulation and opportunity in Europe. London: Urch Publishing Ltd., 2008 [žiūrėta 2008-02-13]. <http://www.urchpublishing.com/publications/Exec_summary_orphan_ drug_ 2008.pdf>.

[152] HAFFNER, M. E. Rare diseases and orphan drugs – the US experience. *Pharmaceuticals Policy and Law*. 2001, 3: 38.

Japonija reglamentuodama retųjų vaistų sritį sekė JAV pavyzdžiu ir patirtimi, todėl, nors yra ir skirtumų, iš esmės Japonijoje įtvirtintas retųjų vaistų kūrimo ir prieinamumo skatinimo modelis yra panašus į nustatytąjį JAV. Pavyzdžiui, Japonijoje teisiškai reta liga pripažįstama tokia, kuria serga ne daugiau nei 50 000 žmonių Japonijoje[153] – t. y. kai sergančiųjų žmonių skaičius neviršija nustatyto 4 iš 10 000 gyventojų rodiklio[154] (JAV – ne daugiau nei 200 000 žmonių). Tai sudaro mažiau nei 0,04 proc. Japonijos gyventojų populiacijos[155]. Kaip ir JAV, retiesiems vaistams Japonijoje numatyta priskirti tik alternatyvų neturinčius arba kokybiškesnius ir saugesnius lyginant su jau esamais rinkoje preparatus, skirtus konkrečiai retai ligai ar būklei[156]. Norint, jog vaistas būtų priskirtas retųjų kategorijai turi būti įrodyta, jog vaistą įmonė galės sėkmingai gaminti[157] (tokios nuostatos JAV „Retųjų vaistų akte“ nėra). Japonijoje įmonėms kuriančioms ir tiriančioms retuosius vaistus numatytos įvairios lengvatos: nemokama protokolinė pagalba; subsidijos; 6 procentų mokesčių lengvata atliekant mokslinius tyrimus, įskaitant ir ikiklinikinius tyrimus[158]; garantuojama pirmenybė peržiūrint paraiškas dėl naujo retai ligai skirto vaisto registravimo; suteikiama 10 metų rinkos išimtinumo paskata[159] (JAV – 7 metai). Įdomu tai, jog skirtingai nei JAV, Japonijoje įtvirtinta išlyga, jog farmacijos įmonė turi mokėti vieno procento pelno mokestį nuo sumos, kuri viršija 100 milijonų jenų pelną, gautą parduodant retąjį vaistą, tol, kol grąžins valstybės jai suteiktas subsidijas[160]. Be to, Japonijoje numatytos paskatos ne tik vaistams, vakcinoms bei biologiniams preparatams, bet ir retoms ligoms skirtiems medicinos prietaisams. Šios Japonijos farmacinės veiklos įstatymo pataisos įsigaliojo nuo 1993 metų spalio 1 dienos[161].

Per trylika metų – t. y. nuo 1993-ųjų iki 2006 metų spalio Japonijoje retųjų vaistų kategorijai buvo priskirti 182 vaistai, iš kurių 97 naujai sukurti. Dauguma šių vaistų yra skirti infekcinėms, kraujo apytakos, nervų sistemų ligoms gydyti[162].

---

[153] MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal.* 1997, 31: 102.

[154] UCHIDA, K. Orphan drugs in Japan. *Drug Information Journal*. 1996, 30: 171–175.

[155] SHIRAGAMI, M., NAKAI, K. Development of orphan drug in Japan: characteristics of orphan drug development in Japan. *Drug Information Journal* [interaktyvus]. 2000, 34: 839 [žiūrėta 2008-02-12]. <http://www.diahome.org/ content/Abstract/2000/dij1549.pdf>.

[156] UCHIDA, K. Orphan drugs in Japan. *Drug Information Journal*. 1996, 30: 171–175.

[157] SHIRAGAMI, M., NAKAI, K. *op. cit.*, p. 839–846.

[158] *Ikiklinikiniai tyrimai* – tai tyrimai su gyvūnais. Norint nustatyti bendrą vaisto poveikį ir saugumą, pirmiausia atliekami tyrimai su gyvūnais, kurie vadinami ikiklinikiniais tyrimais ir tik po to naujasis vaistas pirmą kartą skiriamas žmonėms – t. y. pradedami vykdyti klinikiniai tyrimai [STAKIŠAITIS, D., DANILA, E., RAMANAUSKAS J., *ir kt. Gera klinikinė praktika*. Metodinės rekomendacijos tyrėjui. Vilnius: 2005, p. 34.].

[159] MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal.* 1997, 31: 102.

[160] SHIRAGAMI, M., NAKAI, K. *op. cit.*, p. 839–846; TROETEL, W. Orphan drugs in the USA and Japan. *Regulatory Affairs Journal.* September 1999, p. 723–730; UCHIDA, K. *op. cit.*, p. 171–175.

[161] UCHIDA, K. Orphan drugs in Japan. *Drug Information Journal*. 1996, 30: 171–175.

[162] GROSS, A. Regulatory changes in Japan's pharmaceutical industry. *Pacific Bridge Medical – Japan Medical Publications.* November, 1998.

1.3. 1999 metų Europos Parlamento ir Tarybos reglamentas (EB) Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“

1.3.1. Reglamento 141/2000/EB rengimas ir priėmimas

Literatūroje lakoniškai užsimenama, jog ,,dar 1980 metais buvo pripažinta būtinybė priimti Europos Bendrijos lygmens teisės aktą, skirtą vaistams retoms ligoms gydyti“[163]. Tačiau istorinė-teisinė retrospektyva liudija, jog teisiškai šią idėją pradėta realizuoti tik praėjus maždaug penkiolikai metų, – t. y., kuomet Europos Komisijoje prasidėjo diskusijos dėl atitinkamo teisės akto priėmimo, o ES institucijose imti rengti reglamento, skirto retiesiems vaistams, projektai. Tuo tarpu farmacijos veiklą reguliuojančiuose ES teisės aktuose, priimtuose XX amžiaus paskutiniame ketvirtyje galima aptikti vos porą teisės nuostatų, galėjusių būti naudingomis vaistų, skirtų retų ligų gydymui, gamintojams. Tai 1975 metais priimtos Tarybos direktyvos 75/318/EEB[164,165] priedo 4 G dalyje numatytos lengvatos teikiant paraiškas registruoti vaistus retoms ligoms gydyti ir 1987 metais priimtos Tarybos direktyvos 87/22/EEB dėl nacionalinių priemonių, susijusių su vaistų, pagamintų taikant sudėtingas technologijas, ypač biotechnologijas, pateikimu rinkai, suderinimo[166] 2 ir 3 straipsniuose nustatytas bendras koordinavimo Bendrijos lygmenyje mechanizmas, veikiantis prieš priimant nacionalinius sprendimus dėl aukštųjų technologijų vaistų.

Retųjų vaistų prieinamumo problemos sprendimo ES teisėkūroje pradžia – 1993–1994 metai. 1993 metų lapkričio 24 dienos Komisijos komunikate[167] retos ligos buvo išskirtos kaip vienas iš aštuonių Bendrijos prioritetų visuomenės sveikatos srityje, o Tarybos reglamentu (EEB) Nr. 2309/93[168] įsteigta Europos vaistų vertinimo agentūra[169] (angl. *Eropean Medicines Evaluation*

[163] TROUILLER, P., BATTISTELLA, C., PINEL, B., *et al*. Is orphan drug status beneficial to tropical disease control? Comparison of the American and future European orphan drugs acts. *Tropical Medicine and International Health*. 1999, 4: 415.

[164] Council Directive 75/318/EEC of 20 May 1975 on the approximation of the laws of member states relating to analytical, pharmaco-toxicological and clinical standarts and protocols in respect of the testing of proprietary medicinal products. [1975] OJ L 147.

[165] 1991 metais 75/318/EEC direktyvą pakeitė Komisijos direktyva 91/507/EEB [Commission Directive 91/507/EEC of 19 July 1991 modifying the Annex to Council Directive 75/318/EEC on the approximation of the laws of Member States relating to analytical, pharmacotoxicological and clinical standards and protocols in respect of the testing of medicinal products. [1991] OJ L 270.].

[166] Council Directive 87/22/EEC of 22 December 1986 on the approximation of national measures relating to the placing on the market of high-technology medicinal products, particulary those derived from biotechnology. [1987] OJ L 105.

[167] Commission Communication on the Framework for Action in the Field of Public Health. COM (93) 559 final, 24 November 1993.

[168] Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. [1993] OJ L 214.

[169] 1993 metais 2309/93/EEB reglamentu [Council Regulation (EEC) No 2309/93/EEC of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. [1993] OJ L 214] buvo įsteigta *Europos vaistų vertinimo agentūra* (toliau – Agentūra), kuri pradėjo savo veiklą 1995 m. sausio 1 d. 2004 m. gegužės mėn. įsigaliojus 726/2004/EB reglamentui [Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of

Agency, EMEA), kuriai be kitų funkcijų pavesta ir biotechnologijų pagrindu sukurtų vaistų centralizuota registravimo procedūra. Kadangi dauguma retųjų vaistų yra kuriami pasitelkiant sudėtingas modernias technologijas ir biotechnologijas E. Tambuyzer manymu, būtent pastarasis faktas laikytinas konstruktyvių debatų Europoje dėl specialaus ES teisės akto, skirto retųjų vaistų kūrimo skatinimui gerinant jų prieinamumą, pradžia[170].

Kalendorine seka paeiliui rikiuojant įvairiuose literatūros šaltiniuose padrikai paminėtus kitus su retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo pradžia sietinus faktus ir įvykius, dar viena verta paminėti data – 1994-ųjų metų spalio mėnuo, kuomet Prancūzijos, tuomet pirmininkavusios Europos Sąjungos Taryboje, vyriausybės iniciatyva buvo paskelbtas Prancūzijos nacionalinio sveikatos ir medicinos tyrimų instituto (pranc. *Institut de la Santé et de la Recherche Médicale*, INSERM) atstovų P. Lazar ir A. Wolf pranešimas[171]. Juo visos tuometinės 14 valstybių ES narių pakviestos sutelkti žmogiškuosius ir finansinius išteklius formuojant bendrą požiūrį į retųjų vaistų prieinamumą, o tokio požiūrio ir veiksmų būtinybė argumentuota akivaizdžiu visuomenės sveikatos gerinimo valstybėse ES narėse poreikiu, taip pat tuo, jog būtina vytis JAV ir Japoniją, kur teisės aktai, sprendžiantys retų ligų gydymo problemą įgyvendinami atitinkamai nuo 1983 ir 1993 metų. Pranešime taip pat pristatyta galima paskatų sistema retųjų vaistų kūrėjams ir gamintojams, siūlyta įsteigti specialią ES instituciją, kuri būtų atsakinga už retų ligų sritį. Taip pat akcentuotas informacijos apie retuosius vaistus sklaidos visuomenei poreikis bei tai, jog būtina kurti bendrą duomenų bazę, kurioje būtų kaupiama informacija apie retas ligas ir vaistus joms gydyti[172].

Netrukus po to, kai buvo paskelbtas šis pranešimas – t. y. 1994 metų gruodžio 15 dieną, Taryba priėmė sprendimą dėl mokslinių tyrimų ir plėtros programos (1994–1998), kurioje retos ligos ir vaistai joms gydyti buvo įtraukti į biomedicinos ir sveikatos specialiųjų tyrimų sritį (priedo 1 ir 4.6 dalys) [173].

Sekančiais metais Europos Komisija Briuselyje sušaukė tarptautinį retų ligų ir farmacijos specialistų seminarą, kuriame aptarti kai kuriose pasaulio valstybėse jau galiojančių teisės aktų ar nuostatų, reglamentuojančių retųjų vaistų sritį, privalumai ir trūkumai[174]. Buvo pripažinta, jog Europoje apie retas ligas žinoma itin mažai, todėl pacientams taikomas gydymas dažnai nėra

---

31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136], *Europos vaistų vertinimo agentūra* pavadinta *Europos vaistų agentūra*. Šiame darbe dėl vartojamos terminologijos aiškumo ir nuoseklumo minint Agentūros pavadinimą atsižvelgiama į aukščiau minėtų teisės aktų nuostatų dėl Agentūros pavadinimo chronologinį eiliškumą (*aut. past.*).

[170] TAMBUYZER, E. The European orphan medicinal products regulation and the biotechnology-based industry in Europe. *Journal of Commercial Biotechnology.* 2000, 6: 342.

[171] WOLF, A. *Les orphelins de la Santé*. Paris: Rapport INSERM. 1994, p. 26.

[172] LEWIS, S. EU policy on orphan drugs. *The Lancet*. 1995, 345.

[173] Council Decision 94/913/EC of 15 December 1994 adopting a specific programme of research and technological development, including demonstration, in the field of biomedicine and health (1994 to 1998). [1994] OJ L 361.

[174] MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal.* 1997, 31: 103.

savalaikis, veiksmingas ir tinkamas, o kai kuriais atvejais netgi žalingas. Vyko diskusija dėl retųjų vaistų klinikinių tyrimų, kuriuos atskirose valstybėse ES narėse keblu vykdyti pirmiausia dėl mažo potencialių dalyvių skaičiaus problema[175].

1995 metų gruodžio 20 dieną ES Taryba priėmė rezoliuciją dėl retųjų vaistų[176], kurioje pabrėžė bendro Europos valstybių požiūrio į retas ligas ir retuosius vaistus būtinybę. Europos Komisija kviesta bendradarbiaujant su valstybėmis narėmis atkreipti dėmesį į retų ligų gydymo situaciją ES ir, jei būtina, parengti atitinkamus pasiūlymus tam, kad retomis ligomis sergantiems pacientams reikalingi vaistai taptų prieinamesni.

1998 metų gegužės 5 dieną Briuselyje Europos medicinos pažangos fondas (angl. *European Foundation for Advancement of Medicine*) ir Europos Komisija surengė seminarą pavadinimu "Rare diseases and orphan drugs – European perspective" (liet. „*Retos ligos ir retieji vaistai – Europos perspektyva*“)[177]. Seminaro dalyviai pritarė būtinybei užpildyti retųjų vaistų reglamentavimo spragą ES teisėje. Valstybės narės paskatintos pasinaudoti jas siejančios bendrosios rinkos privalumais telkiant žinias apie retas ligas bei jomis sergančius pacientus, tarpusavyje keistis informacija, organizuojant retųjų vaistų klinikinius tyrimus, vertinant naujųjų vaistų veiksmingumą, saugumą ir kokybę.

1998 metų liepos 27 dieną Europos Komisija priėmė Europos Parlamentui ir Tarybai skirtą pasiūlymą dėl reglamento „Dėl retųjų vaistų“[178]. Atsižvelgdama į šių institucijų papildymus ir nuomones diskusiniais klausimais, naują pasiūlymą Komisija dėl aptariamo reglamento priėmė 1999 metų birželio 15 dieną[179]. Po dviejų pakartotinių svarstymų, atsižvelgiant į EB steigimo sutartį, ir ypač jos 95 straipsnį[180], Komisijos pasiūlymą[181], Ekonomikos ir socialinių reikalų komiteto nuomonę[182] ir laikantis EB steigimo sutarties 251 straipsnyje numatytos procedūros[183], po

[175] FRACCHIA, G. N. The Biomedicine and Health Programme; Development of orphan medicinal products and support of fundamental clinical and epidemiological research on rare diseases in the European Union. In Workshop on "Rare diseases and Orphan Drugs - European Perspective“. Brussels, 5 May 1998, p. 13 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-04-23]. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/proc5598.pdf>.

[176] Council Resolution of 20 December 1995 on orphan drugs. [1995] OJ C 350.

[177] Workshop on "Rare diseases and orphan drugs – European perspective". Brussels, 5 May 1998 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-04-23]. <http://ec.europa.eu/enterprise/ pharmaceuticals/orphanmp/doc/ proc5598.pdf>.

[178] Proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. COM (1998) 450, 1998/0240/COD [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-12]. <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri =CELEX: 51998PC0450:EN:NOT>.

[179] Amended proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. [2000] OJ C 177 E/1 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-12]. <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do? uri=OJ:C:2000:177E:0001:0010:EN:PDF >.

[180] EB steigimo sutarties 95 str. įgalina Tarybą, pasikonsultavus su Ekonomikos ir socialinių reikalų komitetu, nustatyti priemones valstybių narių įstatymų ir kitų teisės aktų nuostatoms, skirtoms vidaus rinkos sukūrimui ir veikimui, suderinti (95 str. 1 d.), o Komisija savo pasiūlymuose dėl sveikatos, saugos, aplinkos apsaugos ir vartotojų apsaugos dėmesį kreipia į aukšto lygio apsaugą ir ypač atsižvelgia į visas mokslo faktais pagrįstas naujoves. Pagal atitinkamą kompetenciją šio tikslo taip pat siekia Europos Parlamentas ir Taryba. (95 str. 3 d.). [Consolidated Version of the Treaty Establishing the European Community. [2002] OJ C 325.].

[181] Proposal for a European Parliament and Council Regulation on orphan medicinal products. OJ [1998] C 276.

[182] Opinion of the Economic and Social Committee on the „Proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products". [1999] OJ C 101.

pusmečio – t. y. 1999 metų gruodžio 16 dieną Europos Parlamentas ir Ministrų Taryba priėmė reglamentą (EB) Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“[184]. Reglamentas priimtas įgyvendinant 1999 metų balandžio 29 dieną Europos Parlamento ir Tarybos sprendimu 1295/1999/EB patvirtintoje Bendrijos veiksmų dėl retų ligų programoje pagal veiksmų visuomenės sveikatos srityje apmatus (1999–2003) numatytą vieną iš uždavinių – kovoti su retomis ligomis[185]. Reglamentu kaip specializuotu teisės aktu nustatyta Bendrijos procedūra, įgalinanti potencialius vaistus priskirti retųjų vaistų kategorijai, įteisintos retųjų vaistų mokslinių tyrimų, kūrimo ir jų teikimo rinkai paskatos[186]. Taip sudarytos teisinės prielaidos imtis iniciatyvų kurti vaistus retoms ligoms gydyti ES. 2000 metų balandžio 14 dieną Europos Komisija remdamasi 141/2000/EB reglamento 4 straipsniu paskyrė Retųjų vaistų komiteto (angl. *Committee for Orphan Medicinal Products*), kuris buvo įsteigtas prie Europos vaistų vertinimo agentūros 2000 metų kovą, narius.

141/2000/EB reglamentas įsigaliojo jo paskelbimo Europos Bendrijų oficialiajame leidinyje dieną – t. y. 2000 metų sausio 22-ąją, tačiau galėjo būti pradėtas taikyti tik Komisijai priėmus reglamento 3 straipsniui būtinas įgyvendinti nuostatas ir patvirtinus jame vartojamų sąvokų „panašus vaistas” ir „klinikinis pranašumas” apibrėžimus. Tai buvo padaryta 2000 metų balandžio 27 dieną, priėmus Europos Komisijos (EB) reglamentą Nr. 847/2000 (toliau – 847/2000/EB reglamentas)[187] (žr. Priedai). Abu reglamentai pradėti taikyti nuo 2000 metų balandžio 28 dienos. Kadangi EB sutarties 249 straipsnio 2 dalis numato, jog reglamentai yra visuotinai taikomi – t. y. juose įtvirtintų normų galiojimui valstybės narės teritorijoje nereikalingos papildomos valstybių narių teisės aktų leidybos institucijų priemonės, nuo minėtos datos abu teisės aktai tapo visų valstybių ES narių *corpus iuris* – t. y. teisinės sistemos dalimi. Kartu tai išreiškė retųjų vaistų prieinamumo problemos aktualumą, vieningo ir koordinuoto Europos Bendrijos požiūrio retųjų vaistų kūrimo klausimu svarbą ir būtinybę, poziciją, jog Bendrijos lygiu ši problema bus sprendžiama geriau nei pavienių valstybių ES narių pastangomis.

---

[183] 1999 m. kovo 9 d. Europos Parlamento nuomonė [[1999] OJ C 175], 1999 m. rugsėjo 27 d. Tarybos bendroji pozicija [[1999] OJ C 317] ir 1999 m. gruodžio 15 d. Europos Parlamento sprendimas.

[184] Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.

[185] Decision No 1295/1999/EC of the European Parliament and of the Council of 29 April 1999 adopting a programme of Community action on rare diseases within the framework for action in the field of public health (1999 to 2003). [1999] OJ L 155.

[186] ES teisės aktuose (anglų kalba) nusakant bet kurį Bendrijoje įsisteigusį fizinį ar juridinį asmenį, siekiantį arba pasiekusį, kad vaistas būtų priskirtas retųjų vaistų kategorijai, vartojamas terminas *sponsor*. Į lietuvių kalbą jis verčiamas kaip *rėmėjas* [žr. Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. [2000] OL L18/1]. Kadangi dauguma *rėmėjų* yra farmacijos ir biotechnologijų įmonės, terminai *rėmėjas* ir *farmacijos / biotechnologijų įmonė* šiame darbe vartojami kaip sinonimai (*aut. past.*).

[187] Commission Regulation (EC) No 847/2000 of 27 April 2000 laying down the provisions for implementation of the criteria for designation of a medicinal product as an orphan medicinal product and definitions of the concepts „similar medicinal product“ and „clinical superiority“. [2000] OJ L 103.

Turint omenyje EB teisėje[188] vyraujantį subsidiarumo principą reiškiantį, jog ,,Bendrija imasi veiksmų srityse, kurios nepriklauso jos išimtinei kompetencijai, tik tada ir tokia apimtimi, kai siūlomo veiksmo tikslų valstybės narės negali deramai pasiekti, o Bendrija dėl siūlomo veiksmo masto arba poveikio gali juos pasiekti geriau“[189], verta dėmesio skirti ir 141/2000/EB reglamento priėmimo Bendrijos lygiu teisėtumo pagrindų klausimui.

Atsakymas į jį išryškėja analizuojant 141/2000/EB reglamento preambulę, kurios nuostatose kalbama apie tai, kad: retomis ligomis sergantys pacientai yra verti tokių pat kokybiškų, saugių ir veiksmingų vaistų (7 pastr.); kad palankiausios sąlygos imtis priemonių retųjų vaistų kūrimo skatinimo srityje yra Bendrijos lygiu, nes taip galima pasinaudoti kuo plačiausia rinka ir išvengti ribotų išteklių išsklaidymo, konkurencijos iškraipymo ir vidaus prekybos trukdžių (8 pastr.); pripažįstama, jog moksliniai retų ligų tyrimai yra Bendrijos prioritetas, todėl reikalingos paskatos, kad farmacijos pramonė atitinkamus vaistus kurtų ir kad šių mokslinių tyrimų rezultatus būtų galima įdiegti greitai ir veiksmingai (2, 10, 11 pastr.)[190].

Turint omenyje Bendrijos kompetencijos teisinius rėmus, akivaizdu, jog deramas šių nuostatų įgyvendinimas nebūtų įmanomas, jei Bendrija neturėtų kompetencijos visuomenės sveikatos priežiūros srityje. Sveikatos teisės klausimais rašanti akademinė bendruomenė sutaria, jog oficialiai Bendrijos kompetenciją šioje srityje galima pripažinti tik nuo 1992 metų, kai Europos Sąjungos (Mastrichto) sutarties[191] 3 straipsnio (o) punkte buvo įtvirtinta nuostata dėl Bendrijos įnašo ,,siekiant aukšto lygio sveikatos apsaugos“ ir įtrauktas 129 straipsnis ,,Visuomenės sveikata“, kurio 1 dalyje Bendrija savo veikla įsipareigojo *prisidėti* prie žmonių sveikatos aukšto lygio apsaugos užtikrinimo, skatindama valstybių narių bendradarbiavimą ir prireikus remdama jų veiksmus[192].

Kaip antrasis svarbus teisinis pagrindas reguliuoti retųjų vaistų prieinamumą įvardintinas siekis užtikrinti sklandžią vidaus prekybą Bendrijos farmacijos rinkoje. 141/2000/EB reglamento nuostata, jog retųjų vaistų kūrimo skatinimo srityje ,,veiksmai Bendrijos lygiu yra tinkamesni už nesuderintas valstybių narių priemones“ akivaizdžiai atspindi Bendrijos siekį užtikrinti sklandų vieningos farmacijos rinkos funkcionavimą, palankią ir stabilią aplinką inovacijoms. Kartu neprieštarauja ir ES farmacijos rinkos teisinio reguliavimo koncepcijai, kurios determinantėmis laikomi laisvas vaistinių preparatų kaip prekių judėjimo principas, visuomenės sveikatos apsaugos

[188] Terminai *ES teisė, EB teisė, Bendrijos teisė* tekste vartojami kaip sinonimai. Nors šie terminai nėra visiškai tapatūs, darbe jų turinio skirtingi aspektai neturi esminės reikšmės (*aut. past*.).

[189] 5 str. [Konsoliduota Europos Bendrijos Steigimo Sutartis. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 2-2.].

[190] Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.

[191] Treaty on the European Union (Maastricht Treaty). [1992] OJ C 191.

[192] HERVEY, T. K., McHALE, J. V. *Health Law and the European Union*. Cambridge: Cambridge university press, 2004, p. 72.

interesas bei vartotojų saugumo užtikrinimas[193]. Pastebėtina, kad nors vaistai ir negali būti traktuojami kaip *įprastos* prekės ar produktai (pirmiausia todėl, jog neturintys specialių žinių vartotojai negali patys įvertinti jų kokybės ir saugumo[194]), laisvo prekių judėjimo principas farmacijos produktų rinkai taikomas taip kaip ir kitoms prekėms[195]. Kita vertus, siekiant užtikrinti visuomenės sveikatos apsaugą bei vartotojų (tarp jų ir pacientų) saugumą šio principo taikymui EB steigimo sutarties 30 straipsnyje nustatytos bendrosios ribos, o idant rinkai būtų lengviau tinkamai veikti EB steigimo sutarties 95 straipsnyje numatyti platūs Bendrijos įgaliojimai leisti antrinius teisės aktus, skirtus valstybių narių nacionalinės teisės derinimui[196]. Reikia pasakyti, jog vaistų saugumo ir veiksmingumo standartus valstybėse narėse Bendrija derina jau nuo 1965 metų, kuomet buvo priimta Tarybos 65/65/EEB direktyva dėl įstatymų ir kitų teisės aktų, susijusių su patentuotais vaistais, suderinimo[197] (toliau – 65/65/EEB direktyva). Ji galiojo iki pat 2001 metų pabaigos, kuomet buvo priimtas ir įsigaliojo konsoliduotas teisės aktas – Europos Parlamento ir Tarybos 2001/83/EB direktyva dėl Bendrijos kodekso, susijusio su žmonėms skirtais vaistais[198] (toliau – 2001/83/EB direktyva). Šioje direktyvoje buvo susisteminta ankstesnė ES farmacijos sektorių reglamentuojanti teisinė bazė (vienuolika direktyvų) ir reglamentuoti visi pagrindiniai farmacijos sektoriaus reguliavimo aspektai: vaistų gamyba, importas, didmeninė prekyba ir tiekimas į rinką, vaistų registracija, reikalavimai vaistų žymėjimui, reklamai ir kontrolei. Ši direktyva ir Tarybos reglamentas (EEB) Nr. 2309/93[199] iki 2005 metų buvo ES farmacijos rinkos teisinio reguliavimo pagrindu[200].

Trečiasis pagrindas imtis teisėtai reguliuoti retųjų vaistų kūrimą – Bendrijos siekis plėtoti mokslo pažangą. Vadinasi, tos preambulėje įtvirtintos nuostatos, kurioje kalbama, kad priimtas 141/2000/EB reglamentas leis greitai ir veiksmingai įdiegti retų ligų ir vaistų mokslinių tyrimų rezultatus Bendrijoje, ištakos – EB sutarties 3 straipsnio 1 dalies n punktas, nustatantis, jog viena iš Bendrijos veiklos sričių yra „mokslinių tyrimų ir technologijų plėtros skatinimas“ ir dešimt EB

[193] HARTMAN, H., HARTMAN-VAREILLES, F. Recent developments in European pharmaceutical law 2004: a legal point of view. *Drug Information Journal.* 2005, 39(2): 193–207.

[194] BÜHRLEN, B., BLIND, K., MENRAD, K. *New products and services. Analysis of regulations shaping new markets.* Third report. Part B: the impact of regulation on the development of new products in the pharmaceutical sector. Karlsruhe, August 2003, p. 8.

[195] JUNEVIČIUS, A., SCHÄFER, H. M. *Europos Bendrijos bendrosios rinkos teisė*. Kaunas: Aušra, 2005, p. 28.

[196] Konsoliduota Europos Bendrijos Steigimo Sutartis. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 2-2.

[197] Council Directive of 26 January 1965 on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products (65/65/EEC). [1965] OJ L 22.

[198] Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. [2001] OJ L 311.

[199] Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. [1993] OJ L 214.

[200] Šiuo metu 2001/83/EB direktyva iš dalies pakeista Europos Parlamento ir Tarybos 2004/27/EB direktyva [[2004] OJ L 136]. 2309/93/EB reglamentas jau visiškai pakeistas nauju Europos Parlamento ir Tarybos reglamentu (EB) Nr. 726/2004 [[2004] OJ L 136.].

sutarties straipsnių (163–173 str.)[201], nurodančių Bendrijos kompetencijos mokslinių tyrimų ir technologijų plėtros srityje apimtį.

Taigi pagrindiniai retųjų vaistų srities reglamentavimo Bendrijos lygiu teisėtumo pagrindai yra EB steigimo sutartimi Bendrijai suteikta kompetencija veiksmų visuomenės sveikatos, vartotojų apsaugos, mokslinių tyrimų ir plėtros srityse bei reguliuoti bendrąją vidaus rinką.

1.3.2. Sąvokos „reta liga“ mokslinės ir teisinės apibrėžtys

Išanalizavus istorinius-teisinius 141/2000/EB reglamento rengimo bei priėmimo bruožus, toliau dera atskleisti kitus šio reglamento ypatumus, tačiau pirmiausia reikia išsiaiškinti *retos ligos* ir *retojo vaisto* sąvokas. Jų, kaip teisinių kategorijų turinio aiškumas ir teisinis apibrėžtumas yra vienas iš teorinių tyrimo uždavinių, be to įgalins geriau suprasti kituose disertacijos skyriuose aptariamus klausimus. Kadangi Lietuvoje šios sąvokos bei jų apibrėžtys nagrinėjamos pirmą kartą, tikslingai atkreiptinas dėmesys ir į kai kuriuos lingvistinius jų vartojimo aspektus, kurie pastebėti palyginus 141/2000/EB ir 847/2000/EB reglamentų bei 2001/83/EB direktyvos tekstus lietuvių kalba su tekstais anglų bei prancūzų kalbomis.

1.3.2.1. Terminų „liga“ ir „būklė“ bendrosios charakteristikos

Prieš pradedant aiškintis *retos ligos* sampratos ypatumus pirmiausia reikia patikslinti porą probleminių aspektų, iš kurių vienas susijęs su retuosius vaistus reglamentuojančių ES teisės aktų lietuviško vertimo netikslumais, kitas – su juose vartojamų terminų *liga* ir *būklė* tarpusavio skirtumu.

141/2000/EB ir 847/2000/EB reglamentuose bei 2001/83/EB direktyvoje anglų kalba atitinkamose teisės normose vartojami du terminai – *disease* ir *condition*, prancūzų kalba – atitinkamai *maladie* ir *affection*. Tuo tarpu šių teisės aktų lietuviškose versijose – visuomet žodis *liga*. Iš tiesų, žodynuose pateikiamos aptariamų užsienietiškų terminų kai kurios lietuviškos reikšmės medicinos moksle sutampa – *disease* – liga, *condition* – (sveikatos) būklė; būsena; liga[202] (pranc. *maladie* – liga; *affection* – susirgimas, negalavimas[203]). Tačiau atidžiau žvelgiant į teisės aktų užsienio kalbomis tekstus bei įsigilinus į atitinkamų nuostatų turinį matyti, kad jose šie žodžiai ne visuomet yra vartojami kaip atsitiktiniai sinonimai – t. y. tik *ligos* reikšme. Pavyzdžiui

[201] Konsoliduota Europos Bendrijos Steigimo Sutartis. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 2-2.

[202] PIESARSKAS, B. *Dvitomis anglų-lietuvių kalbų žodynas.* I tomas. Vilnius: Alma litera, 2004, p. 264, 374.

[203] MELNIKIENĖ, D. *Didysis lietuvių-prancūzų kalbų žodynas.* Vilnius: In Re, 2006, p. 310; *Prancūzų-lietuvių kalbų žodynas* (sud. A. Juškienė, M. Katilienė, K. Kaziūnienė). Vilnius: Valstybinės leidybos centras, 1992, p. 28, 559.

Žodžio *affection* atitikmuo anglų kalboje – *condition* [*Oxford Hachette french dictionary.* French-English. (ed. by M. H. Corréard). 3rd ed. Oxford University Press, 2001, p. 16.].

akivaizdu, jog žodis *condition* reikšme *būklė* yra vartojamas 847/2000/EB reglamento 2 straipsnio 1 dalies a ir d punktuose, 4 dalies b punkte, nes jis nuo termino *disease* atskirtas jungtuku *or* (liet. *ar (arba)*). Tuo tarpu lietuviškame šio reglamento vertime jungtukas ignoruojamas ir žodžių junginys *disease or condition* išverstas tiesiog vienu žodžiu – *liga*[204]. Kadangi tarp pastarųjų nuostatų yra aiškus neatitikimas, kyla abejonių ar pagrįstai teisės aktuose lietuvių kalba aptariami terminai sutapatinami. Norint išsiaiškinti ar pastarasis trūkumas yra teisiškai reikšmingas – t. y. ar jis galėtų būti traktuojamas kaip klaidinantis, vertėtų pasitikslinti aptariamų terminų reikšmes tiek medicinos moksle, tiek teisės doktrinoje.

Dar 1988 metais byloje C-369/88[205] Europos Bendrijų Teisingumo Teismui (toliau – ETT) buvo pateiktas klausimas: – ar Bendrija formuluoja ir įtvirtina vieningus terminų *liga* (angl. *disease*) ir *susirgimas* (angl. *illness*) apibrėžimus[206]? Jei ne, tuomet – ar kiekviena valstybė narė gali įgyvendinti tada galiojusios 65/65/EEB direktyvos[207] nuostatas vadovaudamasi savo suformuluotais jų apibrėžimais? ETT atsakydamas į šį klausimą konstatavo, jog nekart pildyta 65/65/EEB direktyva pastarųjų terminų neapibrėžia ir, kad tinkamiausi ligos ar susirgimo apibrėžimai yra labiausiai priimtinos moksliškai pagrįstos jų apibrėžtys[208]. Ši ETT išvada iš esmės atkartoja vieną iš teisėkūros juridinės technikos principų, jog specialiuose teisės aktuose gali būti vartojami specialieji terminai, tačiau tik įprasta tai mokslo ar veiklos sričiai prasme[209]. Taigi ETT išsakyta pozicija reiškia, jog valstybės ES narės gali pačios apsispręsti dėl joms priimtiniausių aptariamų terminų apibrėžimų. Tai nestebina, nes pasak I. Jakušovaitės, beveik visose šalyse rastume skirtumų moksliškai apibrėžiant ne tik tokią sąvoką kaip ,,liga“, bet ir terminus ,,sveikata“, ,,negalavimas“,

[204] Neatitikimai lyginami išskiriant juos pasvirusiu tekstu (*aut. past.).* Pavyzdžiui, 847/2000/EB reglamento 2 str. 1 d. a punktas: angl. ,,The documentation shall include appended authoritative references which demonstrate that *the disease or conditions* for which the medicinal product would be administered, affects not more than five in 10 000 persons in the Community...“ [liet. ,,Dokumentams priklauso pridedamos nuorodos į patikimus šaltinius, kurie rodo, kad *ta liga*, kuriai gydyti tas vaistas būtų skirtas, paraiškos dėl priskyrimo padavimo metu Bendrijoje serga ne daugiau kaip penki iš 10 000 asmenų...“]. To paties reglamento 2 str. 4 d. b punktas: angl. ,,More than one sponsor may obtain designation as an orphan medicinal product for the same medicinal product intended to prevent, treat or diagnose the same *disease or condition*, provided that a complete application for designation.... “ [liet. Priskyrimą prie retųjų vaistų tam pačiam vaistui, skirtam *tos pačios ligos* profilaktikai, gydymui ar diagnozavimui, gali gauti daugiau kaip vienas rėmėjas, jeigu kiekvienu atveju (...) yra išsamus priskyrimo prašymas“].

[205] Judgement of the Court of 21 March 1991. Criminal proceedings Jean-Marie Delattre. Reference for preliminary ruling. Tribunal de grande instance de Nice-France. Interpretation of Articles 30 and 36 the EEC Treaty – Concepts of ,,disease“ or ,,illness“ and ,,medicinal product“ – Pharmacists‘ monopoly of the right to sell certain products. Case C-369/88 of 21 March 1991. *European Court Reports.* 1991, p. I-01487.

[206] Anglų kalboje žodis ,,illness” yra žodžio ,,disease” sinonimas [*Oxford English Reference Dictionary* (ed. J. Pearsall and B. Trumble). 2nd ed. Oxford University Press, 2003, p. 405; *Collins English Dictionary.* Millenium edition. 4th ed. Glasgow: Harper Colllins Publisher, 1998, p. 447.].

[207] Council Directive of 26 January 1965 on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products. [1965] OJ L 22.

[208] Case C-369/88 12 paragrafas.

[209] VAIŠVILA, A. *Teisės teorija*. Vilnius: Justitia, 2004, p. 238.

„susirgimas“ ar „patologija“[210]. Žinoma, šie skirtumai nėra esminiai, tačiau suvienodinti juos visų valstybių ES narių lygiu, matyt, būtų pakankamai keblu, o galbūt ir neprasminga.

Kadangi visuotinai priimtino sąvokos *liga* apibrėžimo paieška nėra šiame darbe atliekamo tyrimo uždavinys, verta akcentuoti tik tai, jog mokslinėje literatūroje neretai ligos terminas apibrėžiamas kaip priešingybė sveikatai. Nors ir pastarosios sąvokos reikšmių diapazonas gana platus[211], mediciniškai *sveikata* dažniausiai suvokiama kaip normalus organizmo būvis esant optimaliai suderintai organų veiklai ir pusiausvyrai tarp jų funkcijų ir išorinės aplinkos. Taigi liga pasireiškia kaip „žalingų veiksnių sukeltas organizmo veiklos sutrikimas, kuris reiškiasi pablogėjusiu jo prisitaikymu prie aplinkos ir suintensyvėjusiomis apsauginėmis reakcijomis“[212]. Apibendrinus užsienio literatūros šaltiniuose pateikiamus įvairius *ligos* apibrėžimus, suformuluotas trumpai jis galėtų skambėti ir taip: „liga – tai normalių organizmo gyvybinių procesų sutrikimas, pasireiškiantis atitinkamais simptomais“[213].

Kitas klausimas – dėl minėtuose ES teisės aktuose anglų kalba vartojamo termino *condition* prasmės ypatumų. Jau minėta, jog viena šio žodžio reikšmių sutampa su termino *disease* reikšme – t. y. reiškia *ligą*. Kita jo reikšmė sveikatos srityje – *būklė*. Europos Komisijos Verslo generalinio direktorato 2004 metų viduryje išleistose gairėse[214] sąvoka *condition* nusakyta kaip „bet koks nukrypimas ar nukrypimai nuo normalaus organizmo funkcionavimo, pasireiškiantys būdingų požymių ir simptomų visuma (dažniausiai pripažįstama kaip atskira liga ar sindromas)“[215] ir papildomai paaiškinta, jog 141/2000/EB reglamente žodis *condition* vartojamas siekiant užtikrinti, kad pastarasis reglamentas būtų taikomas ir toms (sveikatos) būklėms, kurių negalima priskirti

[210] JAKUŠOVAITĖ, I. Etinės ir teisinės vertybės medicinoje globalizacijos kontekste. In *Globalizacijja: taikos kultūra, žinių visuomenė, tolerancija.* Monografija (sud. dr. J. Morkūnienė). Vilnius: Lietuvos Teisės Universitetas, 2003, p. 136.

[211] *Sveikatos* sąvoka gali būti apibrėžiama pradedant nuo siaurai techninių (medicininių) reikšmių – t. y. sveikatą suvokiant kaip gerą savijautą, ligos nebuvimą ir baigiant visa apimančiomis moralinėmis ar filosofinėmis reikšmėmis. Pavyzdžiui 1946 m. Pasaulio sveikatos organizacija (PSO) savo Konstitucijoje sveikatą apibrėžė kaip visišką fizinę, dvasinę ir socialinę gerovę, o ne tik ligų ar negalavimų nebuvimą. Tai vadinamoji holistinė sveikatos samprata, daugiau akcentuojanti ne medicininę bet socialinę dimensiją. Kadangi sąvokos „visiška“ bei „gerovė“ yra pakankamai abstrakčios ir dėl galimybės jas įvairiai interpretuoti problemiškos, todėl toks apibrėžimas labiau tinka sveikatos politikai, o ne teisei, nes neturi praktinės reikšmės, yra neįgyvendinamas. Lietuvoje (LR Sveikatos sistemos įstatyme) apibrėžiant sveikatą taip pat iš dalies vadovaujamasi PSO formuluojamu apibrėžimu. Čia sveikata apibrėžta kaip asmens ir visuomenės fizinė, dvasinė ir socialinė gerovė [*Valstybės žinios.* 1994, Nr. 63-1231; 1996, Nr. 102-2315; 1997, Nr. 64-1507, Nr. 67-1661. 2 str.].

[212] *Medicinos enciklopedija*. Vilnius: Valstybinė enciklopedijų leidykla, 1991, p. 494.

[213] DIRCKX, J. H. *Stedman's concise medical dictionary for the health professions and nursing: concise medical dictionary*. 3rd edition, 1997; *The free dictionary by Farlex* [interaktyvus] [žiūrėta 2008-07-03]. <http://medical-dictionary.thefreedictionary.com/disease>.

[214] Guideline on the format and content of applications for designation as orphan medicinal products and on the transfer of designations from one sponsor to another. Brussels, European Commission Enterpraise directorate – general, 22 July 2004.

[215] „Condition: any deviation(s) from the normal structure or function of the body, as manifested by a characteristic set of signs and symptoms (typically a recognised distinct disease or a syndrome)” [Guideline on the format and content of applications for designation as orphan medicinal products and on the transfer of designations from one sponsor to another. Brussels, European Commission Enterpraise directorate – general, 22 July 2004, p. 3]; *The free dictionary by Farlex* [interaktyvus] [žiūrėta 2008-07-03]. <http://medical-dictionary.thefreedictionary.com/syndrome>.

„klasikinėms“ ligoms, kaip tarkim tokioms, kurios pasireiškia dėl tam tikrų genetinių sutrikimų[216]. Be to, pastebėtina, jog teisės aktuose apsiriboti tik *ligos* sąvoka, matyt, būtų netikslu turint omenyje tai, jog pasaulyje kasmet diagnozuojama apie pustrečio šimto naujų retų ligų ir būklių[217]. Kadangi vis dar nėra tinkamos jų klasifikavimo, kodavimo ir registravimo sistemos[218] tokios ligos ar būklės dažniausiai grupuojamos po bendrais pavadinimais (pavyzdžiui tokiais, kaip „kiti endokrininiai ir medžiagų apykaitos sutrikimai“ ir panašiais)[219], kurie nėra įtraukiami į Tarptautinę ligų klasifikaciją, koduojami, todėl formaliai taip pat ne visuomet galėtų patekti į sąvokos *liga* apimtį. Taip pat atkreiptinas dėmesys ir į tai, jog vadinamosios retos būklės ne visuomet yra ligos, pavyzdžiui: apsinuodijimas kokainu, apsinuodijimas tricikliniais antidepresantais ir pan.[220]. Kad *ligos* ir *būklės* terminai lietuvių kalboje nėra visiškai tapatūs iliustruoja ir Lietuvoje priimtų atitinkamų poįstatyminių teisės aktų pavadinimų bei jų atitinkamų nuostatų lingvistinės formuluotės (tarp šių terminų vartojami jungtukai *ir*, *ar*). Pavyzdžiui, Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 metų lapkričio 22 dienos įsakymo Nr. 1K-149 pavadinime „Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms *ligoms ir būklėms* gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“. Taip pat šio teisės akto 3; 5; 8.1; 11; 13.3; 13.6; 19.3 punktuose[221].

Išsakyti argumentai atskleidžia pasitaikančio netikslaus ES teisės aktų vertimo, galinčio inspiruoti neteisingą atitinkamų teisės normų supratimą, aiškinimą, taikymą, problemą. Išryškinti skirtumą tarp terminų *liga* ir *būklė* taip pat buvo svarbu ir dėl disertacijoje vartojamų terminų aiškumo bei tikslumo. Esant būtinybei galimybė ištaisyti klaidas ES teisės aktuose lietuvių kalba numatoma atlikus procedūrą, kurios eiga ir subjektai išdėstyti LR Vyriausybės nutarime „Dėl Europos Sąjungos teisės aktų ir kitų teisės aktų bei jų projektų vertimo“[222]. Iniciatyvos turėtų imtis valstybės institucija ar įstaiga, kuri pagal kompetenciją yra atsakinga už atitinkamo ES teisės akto perkėlimą ir (ar) įgyvendinimą. Nustačiusi, kad atitinkamame ES teisės akte lietuvių kalba ES teisės akto nuostata (jos dalis) yra klaidinanti ir (ar) sunkiai suprantama dėl kalbos klaidų ir (ar)

[216] „The word “condition” used in the text of the regulation is intended to ensure that the regulation applies also to treatments for conditions which are not classical diseases, in particular genetic disorders”. [Guideline on the format and content of applications for designation as orphan medicinal products and on the transfer of designations from one sponsor to another. Brussels, European Commission Enterpraise directorate-general, 22 July 2004, p. 3.].

[217] French National Plan on Rare Diseases (2005–2008). Ensuiring equity in the access to diagnosis, treatment and provision of care. 20 November 2004, p. 6; WASTFELT, M., FADEEL, B., HENTER, J. I. A journey of hope: lessons learned from studies on rare diseases and orphan drugs. *Journal of Internal Medicine.* 2006, 260: 2.

[218] ALWAN, A., MODELL, B. *Community control of genetic and congenital disorders.* World Health Organization: EMRO Technical Publications Series 24, 1997.

[219] Rare diseases: understanding this public health priority. Eurordis, November 2005, p. 7 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-11]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>.

[220] Šioms retoms būklėms yra kuriami vaistai, įtraukti į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą, kurį galima rasti per interneto prieigą: <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/index.htm>.

[221] *Valstybės žinios.* 2005, Nr. 139-5037; 2008, Nr. 68-2612.

[222] Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2007 m. gruodžio 19 d. nutarimas „Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 1999 m. vasario 13 d. nutarimo Nr. 159 "Dėl Europos Sąjungos teisės aktų ir kitų teisės aktų bei jų projektų vertimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 136-5524.

redagavimo metu atsiradusių trūkumų ir dėl to ES teisės akto nuostatą galima aiškinti kitaip, nei buvo numatyta priimant šį ES teisės aktą ji turi kreiptis į Vyriausybės kanceliariją, o pastaroji į Lietuvos nuolatinę atstovybę ES[223]. Kadangi procedūra pakankamai sudėtinga, todėl aptariamu atveju, pirmiausia reikėtų įvertinti pastebėtų netikslumų įtaką atitinkamų teisės normų supratimui, aiškinimui ir taikymui.

1.3.2.2. Teisiniai ligos priskyrimo retų ligų kategorijai kriterijai

Pasaulyje priskaičiuojama net iki 8 000 retų ligų. Jos sunkios, lėtinės, sekinančios, pavojingos gyvybei. Kai kurios ligos, nors ir priskiriamos retoms yra pakankamai gerai žinomos (pvz.: Alzhaimerio (*Alzheimer*) liga, cistinė fibrozė, hemofilija, leukemija, raumenų distrofija, fenilketonurija, Krono (*Crohn*) liga). Su daugybe kitų didelė dalis bendrosios praktikos gydytojų savo darbe niekuomet nesusiduria, nes jos pasitaiko vos keliolikai ar tik vienam kitam asmeniui iš šimtų tūkstančių ar net milijonų žmonių (pvz.:, mukopolisacharidozės, Kroicfeldo-Jakobo (*Creutzfeldt-Jakob*) liga, lipodistrofija ir t. t.).

Termino *reta liga* etimologija susijusi su paplitimo veiksniu, nes žodis *retas* – reiškia netankus, nedažnas, unikalus[224]. Pirmą kartą šis terminas pavartotas prieš tris dešimtmečius N. A. Holzman straipsnyje ,,Rare diseases, common problems: recognition and management“[225] (liet. ,,*Retos ligos: pripažinimo ir administravimo problemos*“). Nei JAV ,,Retųjų vaistų akte“, nei jo pavyzdžiu priimtame 141/2000/EB reglamente nėra pateikto konkretaus sąvokos *reta liga* apibrėžimo. Tačiau šios sąvokos, kaip teisinės kategorijos turinys aiškėja iš 141/2000/EB reglamento 3 straipsnyje nustatytų vaistinių preparatų priskyrimo retiesiems vaistams kriterijų. Analizuojant juos matyti, jog svarbu, kad liga, kurios diagnozavimo, profilaktikos ar gydymo siekiama atitiktų du kriterijus: **epidemiologinį** – t. y. būtų atitinkamai retai paplitusi bei (arba) pavojinga gyvybei arba chroniškai sekinanti ar (ir) lėtinė ir sunki (angl. *life-threatening or chronically debilitating, chronic and serious*)[226] bei **ekonominį** – t. y. dėl ligos retumo farmacijos įmonėms įprastomis sąlygomis yra finansiškai nenaudinga kurti vaistus jai gydyti[227].

---

[223] *Ten pat.*

[224] LYBERIS, A. *Sinonimų žodynas.* Vilnius: Lietuvių kalbos instituto leidykla, 2002, p. 402.

[225] HOLZMAN, N. A. Rare diseases, common problems: recognition and management. *Paediatrics.* 1978, 62(6): 1056–1060. In TUMIENĖ, B., KUČINSKAS, V. Retosios ligos Lietuvoje ir Europoje. *Gydymo menas.* 2008, 11/12: 25–27.

[226] 141/2000/EB reglamente anglų kalba vartojamas žodžių junginys ,, chronically debilitating*”* , kuris į lietuvių kalbą autentiškame šio dokumento tekste išverstas kaip ,,*chroniškai sekinanti*“. Tai netaisyklingas vertimas, nes ,,ilga, progresuojanti liga su nedidele išgijimo tikimybe vadintina **lėtine liga**, o ne chronine ar chroniška, plg. angl. *chronic illness“* [žr. *Socialinės apsaugos terminų žodynas.* Vilnius: Sveikatos Ekonomikos Centras, 1999, p. 43], manytina, jog tikslesnis vertimas yra ,,lėtinė ir sekinanti“ (*aut. past.*).

[227] Tokia retos ligos samprata pirmą kartą buvo apibrėžta Bendrijos veiksmų programoje dėl retų ligų (1999-2003) [Decision No 1295/99/EC of the European Parliament and of the Council. Programme on Community action on rare diseases (1999-2003). [1999] OJ L 155.].

Šiame darbo skirsnyje apsiribosime tik epidemiologinio kriterijaus analize. Ekonominis kriterijus, apimantis investicijų į vaisto kūrimą ir tyrimus, jų grąžos bei pelno aspektus yra glaudžiai susijęs su retųjų vaistų ekonominio prieinamumo užtikrinimo teisiniu reguliavimu ir plačiai nagrinėjamas trečiojoje disertacijos dalyje[228].

Vienas iš epidemiologinio kriterijaus turinio aspektų – ligos paplitimas. Jis tradiciškai apibrėžiamas kaip žmonių, kuriems pasireiškia tam tikra liga ar būklė apibrėžtu laikotarpiu tam tikroje populiacijoje, skaičius. Šis kriterijus akcentuojamas visuose teisės aktuose, skirtuose retiesiems vaistams, tačiau skirtinguose kontinentuose ar šalyse retumo rodiklis įvairuoja. Pasaulinė sveikatos organizacija (angl. *World Health Organization*, WHO, – toliau PSO) retą ligą apibrėžia kaip bet kurią patologiją, pasitaikančią 0,65–1 atvejų iš 1 000 žmonių[229]. JAV teisiškai įtvirtintas rodiklis – ne daugiau nei 7,5 sergančiųjų iš 10 000 gyventojų – t. y., jei liga ar būklė pasireiškia mažiau nei 200 000 žmonių JAV[230]; Japonijoje – 4 atvejai iš 10 000 gyventojų arba ne daugiau nei 50 000 sergančiųjų Japonijoje[231]; Australijoje – 1 iš 10 000 gyventojų – t. y. ne daugiau nei 2 000 Australijos gyventojų[232]. Tuo tarpu 141/2000/EB reglamente įtvirtintas rodiklis – ne daugiau nei 5 sergantys asmenys iš 10 000 gyventojų[233]. Tai reiškia, kad teisiškai tam tikrą ligą reta galima pripažinti tik, jei sergamumo ja dažnis ES neviršija 1 asmens iš 2 000 ES gyventojų. Turint omenyje, jog JAV gyvena apie 300 milijonų gyventojų, Japonijoje – 129 milijonai, Australijoje – 20 milijonų, ES – 493 milijonai žmonių, matyti, jog teisės aktuose įtvirtinti ligos epidemiologijos rodikliai priklauso nuo šalių gyventojų populiacijos dydžio ir svyruoja nuo 1 iki 8 sergančiųjų 10 000 gyventojų[234].

Taip pat pabrėžtina ligos paplitimo kriterijaus sąveika su teritoriniu veiksniu. Nesvarbu, kad tam tikra sunkia, gyvybei pavojinga arba lėtine ir sekinančia liga kituose pasaulio regionuose serga daug žmonių, tačiau teisiniu požiūriu, jei tokios ligos paplitimo rodiklis yra žemas ES teritorijos ribose, ji priskirtina retų ligų kategorijai. Tai daugiausia tinka *atogrąžų ligoms*[235].

Kitas retos ligos epidemiologinio kriterijaus ypatumas – kompleksinė sąsaja su ligos charakteristikos kriterijumi. Skirtingai nei JAV, kad liga pagal 141/2000/EB reglamentą būtų pripažįstama reta ji turi būti ne tik retai paplitusi, bet ir gyvybei pavojinga arba labai sekinanti,

---

[228] Žr. 3.3. skyrių.

[229] LAVANDEIRA, A. Orphan drugs: legal aspects, current situation. *Haemophilia*. 2002, 8: 195.

[230] Orphan Drug Act, 1983. 21 USC 360 bb (a) (2) [interaktyvus] [žiūrėta 2008-08-09]. <www.fda.gov/orphan/oda.htm>.

[231] GROSS, A. Regulatory changes in Japan's pharmaceutical industry. *Pacific Bridge Medical – Japan Medical Publications.* November, 1998; NARUKAWA, M. Japanese approach to orphan products. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 41.

[232] LAVANDEIRA, A. *op. cit.*, p. 196.

[233] 3 str. 1 d. [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18].

[234] ARONSON, J. Rare diseases and orphan drugs. *Br J Clin Pharmacol* [interaktyvus]. March 2006, 61(3): 243–244 [žiūrėta 2008-03-01]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/articlerender. fcgi?artid=1885017>.

[235] GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *Journal of Medical Ethics.* 2005, 31: 164.

sunki ir lėtinė[236]. Taigi pagal ES teisę reta pripažįstama ne bet kokia retai pasitaikanti liga, o tik labai sunki arba mirtina. Tokios yra maždaug 65 procentai retai paplitusių ligų[237]. Dažniausiai pasireiškiančios ankstyvoje vaikystėje retos ligos pasižymi lėtiniu skausmu, judesių, jutimų ar intelekto sutrikimais ir dideliu mirtingumu. Statistika rodo, jog 30 procentų jomis sergančiųjų miršta nesulaukę 5 metų, 50 procentų išgyvena iki 30 metų. Nustatyta, kad 35 procentai vaikų iki vienerių metų mirčių priežastis yra retos ligos[238].

Svarbu pastebėti, kad šiuo metu svarstoma galimybė teisiškai įtvirtinti ir labai retos ligos ir būklės (angl. *ultra-orphan disease / ultra-rare disease*) sąvoką. Pirmasis tokį modelį, siekdamas atkreipti dėmesį būtent į itin retus susirgimus aptarė amerikiečių mokslininkas M. Zitter[239]. Pasak jo, JAV įtvirtinta reto ligos paplitimo kriterijaus riba – 200 000 asmenų – yra tarsi „demarkacinė linija“, o juk iki šios ribos ligų paplitimas yra nepaprastai įvairus. Autorius kaip sąlyginai kontrastingą pavyzdį pateikė daugybinės mielomos, kuria serga apie 63 000 amerikiečių ir sergamumo labai retomis ligomis statistiką: Fabrio (*Fabry*) liga – apie 5 000 atvejų, Gošė (*Gaucher*) liga – apie 2 500 atvejų ar mukopolisacharidoze (*MPS I*) – tik apie 200 atvejų JAV. Pasak M. Zitter, pastarosios trys pavyzdžiu pateiktos ligos, taip pat ir daugybė kitų, kuriomis serga vos vienas kitas asmuo iš milijonų, JAV jau galėtų būti priskirtos labai retoms ligoms, kurių gydymui reikalingų vaistų kūrimui reikėtų teisiškai įtvirtinti ypatingas paskatas. M. Zitter įsitikinimu, labai retų ligų kategorijai turėtų būti priskirtos ligos, kuriomis sergančiųjų yra mažiau nei 10 000 JAV teritorijoje.

Trumpai pakomentuojant išdėstytą argumentą, reikia pastebėti, jog panašių, tačiau kol kas tik akademinio pobūdžio svarstymų galima rasti ir retųjų vaistų prieinamumo problemą ES gvildenančių autorių straipsniuose[240], nes ES statistika rodo, jog tiktai 10 procentų atvejų sergamumas retomis ligomis yra artimas teisiškai nustatytam rodikliui – t. y. pasitaiko nuo 3 iki 5 atvejų iš 10 000 gyventojų ir net 90 procentų retų ligų yra paplitusios kur kas mažiau: pasitaiko ne daugiau kaip 3 atvejai iš 10 000 gyventojų, o iš jų 43 procentus sudaro ligos, kuriomis serga ne

[236] JAV „Retųjų vaistų akte“ reta liga nusakyta kaip *bet kuri* liga ar būklė: (a) kuria serga mažiau nei 200 000 asmenų JAV (angl. *...any disease or condition* which affects less than 200 000 (6.6 in 10 000) persons in the United States); (b) kuria serga daugiau nei 200 000, tačiau nėra įtikima, kad to vaisto pardavimai JAV atpirks vaisto kūrimui skirtas lėšas (angl. …affects more than 200,000 in the United States and for which there is no reasonable expectation that the cost of developing and making available in the United States a drug for such disease or condition will be recovered from sales in the United States of such drug).

[237] TORRENT-FARNELL, J., MARROS, R. The EU challenges on the designation of orphan medicinal products. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 20.

[238] Eurordis Position Paper on the WHO Report on Priority Medicines for Europe and the World, 2004. [interaktyvus] [žiūrėta 2009- 02-15]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/eurordis_position_WHO__priority_medicines_dec04.pdf>.

[239] ZITTER, M. Managing drugs for rare genetic diseases: trends and insights. *Managed care*. February 2005: 52–67.

[240] HUGES, D. A., TUNNAGE, B., YEO, S. T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *QJM*. 2005, 98: 829–836; RAWLINS, M. *Managing rare diseases.* London: Royal College of Physicians, 2004; McCABE, C., CLAXTON, K., TSUCHIYA, A. Orphan drugs and the NHS: should we value rarity? *BMJ*. 2005, 331: 1016–1019.

daugiau kaip 1 asmuo iš 10 000. Taigi tūkstančiais retų ligų serga tik po kelis tūkstančius, šimtus ar net vos keliolika ar keli pacientai visoje Europoje[241,242] ir dėmesio jie sulaukia vis dar nepakankamai. Beje, ,,labai retos ligos“ sąvokas savo nacionaliniuose teisės aktuose yra įtvirtinusios ir kelios valstybės ES narės (pvz.:. Jungtinė Karalystė, Danija, Švedija, Lietuva), tačiau pastaruoju metu bendra ES institucijų rekomendacija visose valstybėse ES narėse laikytis vieningo ne daugiau nei 5 iš 10 000 asmenų sergamumo reta liga kriterijaus.

1.3.3. Retojo vaisto samprata

1.3.3.1. Sąvokos ,,vaistinis preparatas (vaistas)“ apibrėžimo raida Bendrijos teisėje

Tolesnės analizės tikslas – išnagrinėti *retojo vaisto* sampratą kaip teisinę kategoriją. Kadangi 141/2000/EB reglamento 2 straipsnyje nurodyta, jog jame ,,sąvoka *vaistas* – tai žmonėms skirtas vaistas, kaip apibrėžta 65/65/EEB direktyvoje“, o ši direktyva jau nebegalioja, pirmiausia reikia išsiaiškinti šio termino apibrėžimo Bendrijos teisėje pokyčius.

2001 metais priėmus 2001/83/EB direktyvą, 65/65/EEB direktyva neteko galios, tačiau *vaisto* apibrėžimas dar trejus metus išliko toks, koks buvo suformuluotas 1965-aisiais. Taigi jis nekito beveik keturis dešimtmečius – iki pat 2004 metų, kuomet atsižvelgiant į naujų gydymo metodų atsiradimą ir siekiant pagerinti farmacijos veiklą reglamentuojančių teisės aktų terminologijos nuoseklumą[243] buvo šiek tiek pakoreguotas Europos Parlamento ir Tarybos 2004/27/EB direktyvos 1 straipsnyje, pildant 2001/83/EB direktyvą[244]. Kadangi naujasis apibrėžimas lyginant su ankstesniuoju pakito nedaug, o per laikotarpį iki 2004-ųjų dėl jo išaiškinimo ir galimų interpretacijų nekart buvo kreiptasi į ETT, todėl iškalbingiausias šaltinis šiuo atveju yra ETT jurisprudencija.

65/65/EEB direktyvos[245] 1 straipsnio 2 dalyje pateiktą termino *vaistas* apibrėžimą sudarė dvi pastraipos. Pirmojoje rašoma, kad ,,vaistai – tai vaistinės medžiagos arba jų deriniai, pateikti/teikiami vartoti (angl. *presented*) žmonių gydymui arba ligų profilaktikai. Antrojoje, – kad

[241] Rare diseases in numbers: preliminary report from an on going bibliographic study initiated be Eurordis in partnership with Orphanet [interaktyvus] [žiūrėta 2007-02-26]. <http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rdnumbers.pdf>.

[242] Prevalence of rare diseases: bibliographic data. Orphanet Report Series. August 2008 [interaktyvus] [2009-03-02]. <http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence_of_rare_diseases.pdf>.

[243] Preambulės 7 pastraipa [Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. [2004] OJ L 136].

[244] Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. [2004] OJ L 136.

[245] Council Directive of 26 January 1965 on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products. [1965] OJ L 22.

,,vaistinės medžiagos arba jų deriniai, kurios gali būti skiriamos žmogui siekiant nustatyti diagnozę ar atkurti, koreguoti arba pakeisti žmogaus fiziologines funkcijas, taip pat yra laikomos vaistais“[246].

Išsamiausiai šio apibrėžimo klausimu ETT pasisakė byloje 227/82[247], kurioje sprendimas priimtas 1983 metais, o keletas naujų aspektų buvo išplėtota beveik po dešimtmečio – 1991 metais byloje 369/88[248]. Pirmojoje byloje ETT atkreipė dėmesį į produkto *pateikimo* (angl. *presentation*) kriterijų ir nurodė, jog vaistais turi būti laikomi ne tik tie produktai, kurie pasižymi aiškiu gydomuoju poveikiu, bet ir tie, kurie nėra pakankamai veiksmingi arba jų poveikis nėra toks, kokio vartotojai galėtų tikėtis, atsižvelgdami į jų pateikimą[249]. Tai reiškia, kad vaistais laikytini ne tik produktai, kurie yra specialiai ,,skirti“ ar ,,rekomenduojami“ gydymo tikslu (dažniausiai nurodant atitinkamą informaciją ant pakuočių, informaciniuose lapeliuose ar žodžiu), bet taip pat ir tie, kurie sprendžiant iš produkto pateikimo (pvz., jo formos: tabletė, piliulė, kapsulė) neturinčiam specialaus išsilavinimo vartotojui sudaro įspūdį, kad produktas skirtas gydymui ar ligų profilaktikai.[250] Pastaroji nuostata, pasak ETT, netinka produktams, kurie tradiciškai pateikiami panašiomis į vaistus formomis, nors jų savybėmis nepasižymi[251]. Ir priešingai – nors ir nepateikiami kaip vaistai, bet turintys gydomųjų ar pofilaktinių savybių produktai turėtų būti traktuojami kaip vaistai[252].

Taigi iš esmės, kad būtų pripažįstamas vaistu produktas turėjo tenkinti bent vieną iš direktyvoje pateikto apibrėžimo sąlygų – būti pateiktas kaip vaistas arba (ir) pasižymėti atitinkamomis savybėmis[253]. Neatitinkantys nei pirmos, nei antros 65/65/EEB direktyvoje

---

[246] ,,*Medicinal product:*

Any substance or combination of substances presented for treating or preventing disease in human beings or animals.

Any substance or combination of substances which may be administered to human beings or animals with a view to making a medical diagnosis or to restoring, correcting or modifying physiological functions in human beings or in animals is likewise considered a medicinal product”.[Council Directive of 26 January 1965 on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products.[1965] OJ L 22.].

[247] Judgement of the Court (Fifth Chamber) of 30 November 1983. Criminal proceedings against Leendert van Bennekom. Reference for a preliminary ruling: Arrondissementstrechtbank Amsterdam – Netherlands. Concept of ,,Medicinal products“-,,Medicinal preparation“. Case 227/82. *European Court reports.* 1983, p. 3883. Ši byla kilo Nyderlandų pilietį van Bennekom apkaltinus dideliu kiekiu labai koncentruotų vitaminų ir multivitaminų, įpakuotų kaip tabletės, piliulės ir kapsulės, perpardavimu.

[248] Judgement of the Court (Fifth Chamber) of 21 March 1991. Criminal proceedings Jean-Marie Delattre. Reference for preliminary ruling“ Tribunal de grande instance de Nice-France. Interpretation of Articles 30 and 36 the EEC Treaty – Concepts of ,,disease“ or ,,illness“ and ,,medicinal product“ – Pharmacists‘ monopoly of the right to sell certain products. Case C-369/88. *European Court reports.* 1991, p. I-1487.

[249] Bylos 227/82 17 paragrafas [Case C-227/82, *Van Bennekom. E.C.R.* 1983, p. 3883.].

[250] Bylos 227/82 18 paragrafas [Case C-227/82, *Van Bennekom. E.C.R.* 1983, p. 3883.]. Byloje 369/88 ETT šią nuostatą papildė pabrėždamas produkto pakuotės reikšmę. ,,Jei produkto forma ir pakuotė daro jį panašiu į vaistinius preparatus ir ypač, jei ant pakuotės ar kitokiu būdu šalia pateiktos informacijos yra nuorodos į farmacijos laboratorijų atliktus tyrimus, pavyzdžiui, rašoma, kad tai medikų sukurti gydymo metodai ar atrastos medžiagos arba pateikiamos gydytojų rekomendacijos dėl produkto kokybės. Teiginys, informuojantis, kad produktas nėra vaistinis preparatas yra įtikinamas/akivaizdus įrodymas, į kurį turi atsižvelgti nacionaliniai teismai, bet jis nėra pats savaime vienintelis ir galutinis [Bylos 369/88 41 paragrafas] [Case C-369/88, *Delattre*. *E.C.R*. 1991, p. I-1487.].

[251] Bylos 227/82 19 paragrafas [Case C-227/82, *Van Bennekom. E.C.R.* 1983, p. 3883.].

[252] Bylos 227/82 22 paragrafas [Case C-227/82, *Van Bennekom. E.C.R.* 1983, p. 3883.].

[253] Bylos 369/88 15 paragrafas. Šioje byloje ETT pastebėjo, jog 65/65/EEB direktyvoje iš esmės pateikiami du sąvokos ,,vaistas“ apibrėžimai: vienas – ,,pagal pateikimą“ (angl. *by virtue of their presentation*), antrasis – ,,pagal

suformuluoto *vaisto* apibrėžimo sąlygos, kitaip tariant, neturintys nei gydomųjų savybių, nei pateikti kaip vaistai – negalėjo būti traktuojami kaip tokie.[254] Pasak ETT, – tai yra bendros taisyklės, tačiau kaskart būtina atsižvelgti į konkrečios bylos aplinkybes[255]. Byloje 369/88 ETT yra pasakęs, kad spręsti ar tam tikri produktai priskirtini vaistiniams preparatams, ar ne, turėtų valstybių narių kompetentingos institucijos, atsižvelgdamos į atitinkamų produktų sudedamąsias medžiagas, ilgalaikio vartojimo pasekmes ir kitas charakteristikas[256].

Ši ETT išvada patvirtina faktą, jog kartais vadovaujantis 1965 metais įtvirtinta vaisto apibrėžimo formuluote, skirtumas tarp to, kas laikytina vaistiniu preparatu ir to, kas turėtų būti traktuojama kaip kitas produktas – t. y. ne vaistas, galėjo būti gana neaiškus, kelti ginčų. Siekiant išvengti bet kokios abejonės, susijusios su taikomais teisės aktais kai produktas visiškai atitinkantis vaistinio preparato apibrėžimą, gali atitikti ir kitų reglamentuojamų produktų apibrėžimus, senasis vaisto apibrėžimas buvo šiek tiek pakoreguotas ir papildytas. Anksčiau pirmojoje pastraipoje vartota pakankamai neaiški ir, beje, sunkiai į lietuvių kalbą šiame kontekste išverčiama sąvoka ,,pateikti/teikiami vartoti“ (angl. *presented*) papildyta žodžiais ,,kaip turintys savybių“ (angl. *presented as having properties*). Taigi, jei anksčiau ši apibrėžimo dalis skambėjo: ,,vaistai – tai vaistinės medžiagos arba jų deriniai, pateikti/teikiami vartoti žmonių gydymui arba ligų profilaktikai“, tai dabar: ,,vaistai – tai bet kuri vaistinė medžiaga ar vaistinių medžiagų derinys teikiami vartoti kaip turintys savybių, dėl kurių tinka žmogaus ligoms gydyti arba jų profilaktikai“. Tai reiškia, kad jei produktas, pateikiamas kaip turintis ligų gydymo poveikį, to jau pakanka kvalifikuoti jį kaip medicininės paskirties produktą arba vaistą[257].

Antroji apibrėžimo pastraipa taip pat patikslinta. Pirmasis pokytis – apibrėžimo papildymas žodžiais ,,galintis būti vartojamas“ (angl. *which may be used in*). Skirtingai nuo ,,senojo“ apibrėžimo dabar akcentuojama ne tik galimybė vaistą ,,paskirti“ (pvz., gydytojui išrašant receptą), bet ir pabrėžiama pati vaisto *kaip produkto, skirto vartojimui*, paskirtis. Kitas pokytis – požymių dėl kokio savo poveikio vaistinė medžiaga ar jos derinys gali būti skiriami ar vartojami išvardijimas. Naujajame apibrėžime teigiama, jog vaistu taip pat laikoma: ,,vaistinė medžiaga ar vaistinių medžiagų derinys *dėl farmakologinio, imuninio ar metabolinio poveikio* galintis būti vartojamas ar skiriamas atkurti, koreguoti ar pakeisti žmogaus fiziologines funkcijas arba diagnozuoti žmogaus ligas“. Nurodžius vaistinio produkto poveikio fiziologinėms funkcijoms tipą buvo suteiktas pagrindas vaistams priskirti genų terapiją ir radioktyviuosius vaistinius preparatus.

---

funkcijas“ (angl. *by virtue of their function*). Iš esmės, produktas traktuojamas kaip vaistas, jei tenkinama bent vieną iš dviejų sąlygų. Taip pat ETT dar kartą pabrėžė, jog šie du apibrėžimai (sąlygos) negali būti traktuojami kaip visiškai atskiri [Case C-369/88, *Delattre. E.C.R.* 1991, p. I-1487.].

[254] Bylos 227/82 23 paragrafas [Case C-227/82, *Van Bennekom. E.C.R.* 1983, p. 3883.].

[255] *Europos Sąjungos teisė.* Seminarai. Vilnius: Teisinės informacijos centras, 2006, p. 1021.

[256] Bylos 369/88 35 paragrafas [Case C-369/88, *Delattre. E.C.R.* 1991, p. I-1487.].

[257] *Europos Sąjungos teisė.* Seminarai. Vilnius: Teisinės informacijos centras, 2006, p. 1018–1019.

Remiantis 2001/83/EB direktyvos 128 straipsniu, ,,nuorodos į panaikintas direktyvas laikomos nuorodomis į šią direktyvą“. Vadinasi ir 141/2000/EB reglamento 2 straipsnyje nuoroda į 65/65/EEB direktyvą apibrėžiant vaisto sąvoką, reiškia nuorodą į pastarąjį teisės aktą – t. y. į naująjį vaisto apibrėžimą, kuris ką tik buvo aptartas. Iš to seka, jog reglamentas yra skirtas tik žmonėms skirtiems vaistams ir neapima nei medicinos prietaisų, nei maisto papildų ar medicininės paskirties produktų, nei veterinarinių vaistų. Kadangi konkreti *retojo vaisto* definicija ES teisės aktuose atskirai nėra formuluojama, todėl galioja Bendrijos teisėje įtvirtinta bendroji termino *vaistas* samprata, o vaisto, kaip *retojo* sampratos ypatumai aiškėja iš 141/2000/EB reglamente įtvirtintų kriterijų.

1.3.3.2. Vaistų priskyrimas retųjų vaistų kategorijai: procedūra ir teisinių kriterijų įrodinėjimo ypatumai

Vaistų priskyrimo retųjų vaistų kategorijai kriterijai nustatyti 141/2000/EB reglamento 3 straipsnyje, o procedūra, kurios pagrindiniai subjektai – Europos Komisija, Europos vaistų agentūra ir Retųjų vaistų komitetas[258] – 5 straipsnyje.

JAV ar Japonijoje retiesiems priskirti vaistai Europos Sąjungoje automatiškai nėra pripažįstami kaip retieji, nes vaistų priskyrimo retiesiems kriterijai nėra suderinti tarptautiniu mastu. Vaistas retųjų kategorijai ES priskiriamas tik įgyvendinus 141/2000/EB reglamente numatytą procedūrą[259]. Kad vaistas būtų priskirtas retiesiems, rėmėjas bet kuriame to vaisto kūrimo etape Europos vaistų agentūrai turi pateikti paraišką, tačiau ne vėliau nei prieš prašydamas išduoti leidimą prekiauti vaistu[260]. Iš rėmėjo gavusi paraišką Europos vaistų agentūra patikrina jos pagrįstumą ir parengia Retųjų vaistų komitetui glaustą pranešimą apie preparatą. Retųjų vaistų komitetas per 90

[258] Retųjų vaistų komitetą dabartiniu metu sudaro 27 valstybių ES narių atstovai, 3 Europos vaistų agentūros nariai bei 3 retomis ligomis sergančių pacientų organizacijų atstovai.

[259] General information for sponsors of orphan medicinal products. London: EMEA, 23 June 2008 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-07-06]. <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/comp/479500en.pdf>.

[260] Taip nustato 141/2000/EB reglamento 5 str. 1 dalis. Būtent dėl šios nuostatos interpretavimo ir taikymo 2007 m. liepos 18 d. ES Pirmosios instancijos teismui buvo pateiktas ieškinys byloje *CSL Behring GmbH prieš Komisiją ir Europos vaistų agentūrą* (byla T-264/07) [Action brought on 18 July 2007 — CSL Behring v Commission and EMEA (Case T-264/07). [2007] OJ C 235 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-09-09] <http://eur-lex.europa.euLexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2007:235:0012:0013:EN:PDF> (angl.); <http://eurlex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2007:235:0012:0013:LT:PDF> (liet.).]. Ieškovė – Vokietijos bioterapinių retoms ligoms (hemofilijai, pirminiam imunodeficitui, von Vilebrando (*von Willebrand*) veiksniui ir genetinei emfizemai) skirtų vaistų gamintoja *CSL Behring*. Įmonė remdamasi EB sutarties 231 str. 1 d. Pirmosios instancijos teismo reikalavo panaikinti 2007 m. gegužės 24 d. Europos vaistų agentūros sprendimą ir pagal Pirmosios instancijos teismo Procedūros reglamento 87 str. 2 d. priteisti iš atsakovių – t. y. Europos Bendrijų Komisijos bei Europos vaistų agentūros bylinėjimosi išlaidas.

Ieškovė nesutiko su Europos vaistų agentūros sprendimu, kuriuo remiantis 141/2000/EB reglamento 5 str. 1 d. buvo atsisakyta tęsti procedūrą dėl ieškovės vaisto priskyrimo retųjų vaistų kategorijai, nes ji padavė paraišką jau po to, kai buvo padavusi paraišką dėl leidimo prekiauti išdavimo. Ieškovė tvirtina, kad ši reglamento nuostata yra neteisingai aiškinama ir taikoma ir toks jos aiškinimas prieštarauja pirminei teisei ir turi būti pripažįstamas netaikytinu pagal EB sutarties 241 str. Ieškovės teigimu, toks aiškinimas pažeidžia pagrindines Bendrijos teisės nuosavybės ir laisvės verstis profesine veikla teises bei vienodo požiūrio ir sąžiningumo principus.

dienų nuo reikalavimus atitinkančios paraiškos gavimo dienos pateikia savo nuomonę raštu arba žodžiu Europos vaistų agentūrai, o ši Europos Komisijai. Tais atvejais, kai Komiteto nuomonė yra neigiama, Europos vaistų agentūra nedelsdama informuoja rėmėją, o šis gali pateikti apeliaciją, kuri apsvarstoma Komitete. Europos Komisija, gavusi galutinę Retųjų vaistų komiteto nuomonę, per 30 dienų priima sprendimą. Apie sprendimą pranešama rėmėjui, Europos vaistų agentūrai ir kompetentingoms valstybių ES narių institucijoms. Jei sprendimas teigiamas, vaistas įrašomas į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą (angl. *Community Register of Orphan Medicinal Products*[261])[262]. Visi šiame registre esantys vaistai paraiškos teikimo metu privalo atitikti 141/2000/EB reglamento 3 straipsnyje nustatytus kriterijus.

Čia skelbiama, kad vaistas priskiriamas retųjų vaistų kategorijai tuomet, kai jis skiriamas gyvybei pavojų keliančios ar lėtinės ir sekinančios ligos diagnostikai, profilaktikai ar gydymui, ir, jei Bendrijoje nėra įteisinto *gero* jos diagnozavimo, profilaktikos ar gydymo būdo[263], o jei toks būdas yra – naujasis preparatas turi būti akivaizdžiai naudingas sergančiam asmeniui. Dar vienas alternatyvus kriterijus, leidžiantis priskirti vaistą retųjų vaistų kategorijai – šalia ligos pavojingumo gyvybei, sunkaus ar sekinančio ir lėtinio pobūdžio įvardijamas be paskatų neįtikėtinas pakankamas investicijų į vaistą susigrąžinimas[264]. Šiuo atveju nereikalaujama atsižvelgti į epidemiologinį – t. y. ligos paplitimo kriterijų. Tačiau kaip ir pirmuoju atveju būtina, jog Bendrijoje nebūtų įteisinto gero tos ligos diagnozavimo, profilaktikos ar gydymo būdo, o jei toks būdas yra – naujasis preparatas sergančiam asmeniui turi būti akivaizdžiai naudingas.

Reglamento 3 straipsnio 1 dalies b punkto nuostatoje įtvirtinti taip pat du alternatyvūs kriterijai. Norint, jog vaistas būtų priskirtas retiesiems reikia įrodyti *arba*, kad Bendrijoje nėra įteisinto gero tos ligos diagnozavimo, profilaktikos ar gydymo būdo; *arba*, jei toks būdas yra, kad tas vaistas bus akivaizdžiai naudingas sergančiajam.

Taigi įsidėmėtina, jog teisiškai vaistai retųjų vaistų kategorijai gali būti priskirti tik jei jis ir jo paskirtis atitinka šiuos kriterijus:

a. ligos paplitimo (sergamumo) – t. y. Bendrijoje serga ne daugiau nei 5 iš 10 000 (bendra taisyklė);

---

[261] Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą galima rasti per interneto prieigą: <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/orphreg.htm>.

[262] 5 str. 1, 4, 5, 8, 9 dalys [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.].

[263] 3 str. 1 d. a punkto pirma pastraipa ir 3 str. b punktas [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. OJ [2000] L 18.]. Autentiškame šio straipsnio vertime į lietuvių kalbą 3 str. b punkto nuostatos žodžiai „there exists no *satisfactory method* of diagnosis, prevention or treatment“ išversti kaip „nėra įteisint*o gero* tos ligos diagnozavimo [...] *būdo*“. Kursyvu išryškintų žodžių vertimas autorės nuomone, yra netikslus. Manytina, jog tikslesnis vertimas būtų *pakankamai geras* arba *tinkamas*/*deramas* būdas (*aut. past.*).

[264] 3 str. 1 d. a punkto antra pastraipa [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

b. mokslinių bei medicininių įrodymų, kad tai pavojinga gyvybei arba lėtinė ir sekinanti liga (3 str. 1 d. a punkto pirma pastraipa); kitais atvejais, kad tai gyvybei pavojinga, labai sekinanti ar sunki ir lėtinė liga (3 str. 1 d. a punkto antra pastraipa);

c. vaistinio preparato medicininio patikimumo;

d. būtinos paskatos, kad šį vaistą pardavus Bendrijoje rėmėjas gautų pakankamai įplaukų ir susigrąžintų investicijas (nepakankamos investicijų grąžos galimybės);

e. šiandieniniai gydymo metodai neduoda patenkinamų rezultatų arba nėra gydymo; jei gydymas yra – turi būti akivaizdi naujojo vaisto nauda (lyginant su egzistuojančiu vaistu) ar įtikinamos prielaidos, kad jis geresnis.

Kadangi, kaip minėta, kai kurie iš šių kriterijų yra alternatyvūs, vienais atvejais rėmėjas teikdamas paraišką Europos vaistų agentūrai privalėtų įrodyti a, b, c ir vieną iš e kriterijų atsižvelgiant į esamą situaciją ir vaisto pobūdį; kitais atvejais – b, c, d ir vieną iš e kriterijų atsižvelgiant į esamą situaciją ir vaisto pobūdį.

a. Ligos paplitimo (sergamumo) kriterijus

Analizuojant retos ligos sampratą jau buvo apibrėžta, kad ligos paplitimą nusako žmonių, kuriems pasireiškia tam tikra liga ar būklė apibrėžtu laikotarpiu tam tikroje populiacijoje skaičius. Minėta, jog atsižvelgiant į 141/2000/EB reglamente įteisintą retos ligos paplitimo rodiklį, visoje ES teritorijoje tokia liga turi sirgti ne daugiau nei 5 iš 10 000 asmenų. Tai bendra taisyklė, kuri turi išimčių. Apie pirmąją išimtį užsimenama reglamento preambulėje, teigiant, kad pavojingai gyvybei, sekinančiai ar sunkiai ir lėtinei ligai gydyti skirti vaistai retųjų kategorijai gali būti priskiriami net ir tada, jei tos ligos paplitimas yra didesnis negu 5 ligoniai iš 10 000 gyventojų[265]. Ši preambulės nuostata sietina su reglamento 3 straipsnio 1 dalies a punkto antrąja pastraipa, kur nurodyta, jog ligos retumo faktorių kai kada gali nusverti ligos sunkumo požymis ir menka pakankamos investicijų grąžos tikimybė.

Ligos paplitimo kriterijaus įrodinėjimo ypatumai teikiant paraišką dėl vaisto priskyrimo retiesiems išvardinti 2002 metais išleistame Retųjų vaistų komiteto dokumente[266]. Jame pabrėžiama, jog ligos paplitimas turi būti apskaičiuotas atsižvelgiant į sergančių žmonių skaičių Bendrijos teritorijoje paraiškos teikimo metu[267]. Tai reiškia, kad sergančiųjų žmonių skaičius už Bendrijos

[265] Preambulės 5 pastraipa [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

[266] Points to consider on the calculation and reporting of the prevalence of a condition for orphan designation. 26 March 2002 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-19]. <http://www.emea.eu.int/pdfs/human/ comp/043601.pdf>.

[267] *Ibid.*, p. 2.

teritorijos ribų į šio kriterijaus interpretaciją nepatenka[268]. Taip pat atkreipiamas dėmesys į tai, jog paraiškoje dėl vaistų priskyrimo retiesiems, ligos ar būklės paplitimas turi būti išreikštas sergančiųjų asmenų, tenkančių 10 000 Bendrijos gyventojų skaičiumi, todėl būtina atsižvelgti į visų tuomet ES narėmis esančių valstybių gyventojų populiacijos visumą. Patikslinama, jog rėmėjas turi įrodyti, jog sergamumas viena ar kita liga neviršijo 5 asmenų 10 000 gyventojų kriterijaus ribos tais metais, kuomet paraiška yra teikiama[269]. Pažymėta, jog jei dėl duomenų stygiaus tikrojo ligos paplitimo masto nustatyti neįmanoma, rėmėjo nurodoma sergamumo proporcija gali būti ir apytikslė, tačiau tokiu atveju turi būti pateikta svarių argumentų, liudijančių tokių duomenų patikimumą[270]. Jei visi prieinami epidemiologiniai duomenys rodo, kad ligos paplitimas yra daug mažesnis nei 5 iš 10 000 asmenų riba, tuomet teikiant paraišką ir įrodinėjant šį kriterijų nereikalaujama didelio duomenų tikslumo: užtenka pateikti atitinkamus faktus pagrindžiančios mokslinės literatūros sąrašą ar tyrimų duomenų santrauką. Priešingu atveju – t. y., jei sergamumo rodiklis yra arti 141/2000/EB reglamente įtvirtintos ribos – būtina pateikti tikslius duomenis. Taip pat turi būti atsižvelgta į ligos paplitimo ir vidutinės jos trukmės tarpusavio priklausomybę.

Rėmėjai privalo atkreipti dėmesį ir į vaisto paskirtį. Jei vaistas skirtas retos ligos profilaktikai ar diagnostikai – 5 iš 10 000 asmenų proporcija turi apimti asmenis, kurie galės gauti profilaktinį gydymą ar rengiamus diagnostiniams tyrimams, o ne tuos, kurie jau serga. Ir priešingai, – jei vaistas skirtas ligos gydymui (o ne profilaktikai ar diagnostikai) – paplitimo kriterijus turi būti apskaičiuotas atsižvelgiant į jau sergančių žmonių skaičių.

Rėmėjai ligos epidemiologijos duomenų turėtų ieškoti „patikimuose šaltiniuose“[271]: recenzuojamuose žurnaluose, mokslinius standartus atitinkančiose duomenų bazėse, registruose[272]. Lengviausia rasti duomenų apie Tarptautinėje ligų klasifikacijoje esančias ligas[273]. Jei patikimų šaltinių nėra – reikia susisiekti su specialistais, pasitelkti ligoninių, specializuotų centrų įrašus,

[268] A dalies 2 punktas [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.].

[269] Points to consider on the calculation and reporting of the prevalence of a condition for orphan designation. 26 March 2002, p. 2 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-19]. <http://www.emea.eu.int/pdfs/human/comp/043601.pdf>.

[270] *Ibid.*

[271] 2 str. 1 d. a punktas [Commission Regulation (EC) No 847/2000 of 27 April 2000 laying down the provisions for implementation of the criteria for designation of a medicinal product as an orphan medicinal product and definitions of the concepts „similar medicinal product“ and „clinical superiority“. [2000] OJ L 103].

[272] Points to consider on the calculation and reporting of the prevalence of a condition for orphan designation. 26 March 2002, p. 9.

[273] „Nors ligų klasifikacija yra būtina klinikinės medicinos priemonė, bet dėl tikslių klinikinių apibrėžimų trūkumo klinikinės patirties registravimas kol kas yra netikslus. Ypač didelių problemų kelia klinikiniai sindromai, todėl neretai sukuriami tik bendrieji jų apibrėžimai [WULFF, H. R., PEDERSON, S. A., ROSENBERG, R. *Medicinos filosofija.* Vilnius: Charibdė, 2002, p. 84–85.]. Tik kai kurioms geriau žinomoms retoms ligoms (pavyzdžiui tokioms kaip talasemija, cistinė fibrozė ar hemofilija) Tarptautinėje ligų klasifikacijoje yra suteikti kodai. Daugybė kitų ligų ir būklių duomenų bazėse yra neregistruotos ir grupuojamos po bendrais vienos ar kitos organų sistemos sutrikimų pavadinimais, o tai lemia duomenų apie sergančių retomis ligomis žmonių skaičiaus stygių ir nepatikimumą [STOLK, P., WILLEMEN, M., LEUFKENS, H. G. *Drugs for rare diseases on the Essential Medicines List.* A discussion paper prepared for the WHO Expert Committee on the Selection and Use of Essential Medicines. The Netherlands: Utrecht Institute for Pharmaceutical Sciences (UIPS), March 2005, p. 7.].

apklausti retų ligų ar pacientų organizacijas, pasidomėti vaistų vartojimo, kompensavimo statistika[274]. Jeigu rėmėjui nepavyksta gauti duomenų apie ligos paplitimą iš kiekvienos valstybės ES narės, tuomet teikiant paraišką galima pateikti duomenis tų valstybių narių, iš kurių duomenis gauti pavyko kartu su pagrįstomis prielaidomis dėl šių duomenų ekstrapoliacijos visai Bendrijos teritorijai.

Deja, nors galimų šaltinių sąrašas, atrodytų, pakankamai platus, įrodyti retos ligos paplitimo kriterijų gali būti keblu ir dėl to, jog ir tuose ,,patikimuose šaltiniuose“ pateikiami duomenys skiriasi dėl autorių pasirinkto tyrimo objekto, metodologijos ar ligos apibrėžimo ypatumų[275]. Dėl patikimų duomenų stygiaus kyla pavojus, kad farmacijos įmonės, siekdamos, jog vaistas patektų į retųjų vaistų sąrašus gali stengtis ,,apeiti“ ligos paplitimo rodiklį, išskirdamos ligų pogrupius ir įvardindamos juos kaip retas ligas“[276].

b. Mokslinių bei medicininių įrodymų, kad liga pavojinga gyvybei, lėtinė ir sekinanti ar sunki ir lėtinė kriterijus

Prancūzijos mokslininkų duomenimis maždaug du trečdaliai retų ligų yra lėtinės, sunkios, sekinančios. Penktadalis sergančiųjų nuolat kenčia skausmą, pusei pacientų pasireiškia judėjimo, jutimo ar intelekto sutrikimai, ištinka ankstyva mirtis[277]. Daugelis retų ligų yra komplikuotos, sukeliančios apsigimimus, lėtinės ir sekinančios, o kitos, jei laiku diagnozuojamos ir gydomos yra suderinamos su įprastu gyvenimu. Retos ligos paveikia žmogaus fizines ir protines galias, elgesį bei jutimo gebėjimus, sukelia negalią. Pacientams dažnai pasireiškia net kelios negalios formos su daugybe funkcinių pasekmių (vadinamoji daugybinė negalia)[278].

Retųjų vaistų rėmėjams kreipiantis į Europos vaistų agentūrą dėl vaisto priskyrimo retiesiems tokios bendro pobūdžio informacijos nepakanka. Jiems reikia pateikti duomenis apie konkrečią ligą ar būklę, kuriai gydyti vaistas skirtas, nes retos ligos skiriasi ir savo sunkumu, ir išraiška. Kadangi tai medicininių tyrimų sritis, pastarasis kriterijus atsižvelgiant į šio darbo specifiką plačiau nenagrinėtinas.

[274] Points to consider on the calculation and reporting of the prevalence of a condition for orphan designation. 26 March 2002, p. 4.

[275] *Ibid.*, p. 5.

[276] HOLLIS, A. Drugs for rare diseases: paying for inovation. November 2005, p. 1–16 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-01-17]. <http://jdi.econ.queensu.ca/Files/Conferences/HealthServicesconferencepapers/Hollis_paper.pdf>.

[277] French National Plan on Rare Diseases (2005–2008). Ensuering equity in the access to diagnosis, treatment and provision of care. November 2004, p. 6.

[278] Rare diseases: Europe’s challenges. Public consultation. European Commission, Health and Consumer protection directorate-general, Directorate C – Public Health and Risk Assessment, 2007, p. 2.

c. Vaistinio preparato medicininio patikimumo kriterijus

141/2000/EB reglamente įtvirtinta nuostata, jog rėmėjui teikiant paraišką dėl vaistų priskyrimo retųjų vaistų kategorijai, būtina įrodyti ar vaistas atitinka ,,medicininio patikimumo“ kriterijų, nes retomis ligomis sergantys ligoniai ,,yra verti tokių pat kokybiškų, saugių ir veiksmingų vaistų kaip ir kiti ligoniai; dėl to retiesiems vaistams turėtų būti taikomas įprastinis vertinimo procesas“[279]. Kadangi Europos Komisija pripažįsta, jog ,,medicininis patikimumas“ nėra išskirtinas kaip atskiras vaistų priskyrimo retiesiems kriterijus, šioje disertacijoje svarbu pabrėžti tik tai, kad siekiant, jog preparatas būtų priskirtas retųjų kategorijai, pirmiausia tai privalo būti *vaistas*[280] ir atitikti nustatytus saugumo, kokybės ir veiksmingumo kriterijus[281]. Kokybės, farmakologiniai bei toksikologiniai ir klinikiniai standartai bei protokolai, naudojami tiriant vaistus yra išsamiai reglamentuoti 2001/83/EB direktyvos I priede. Be to pastebėtina, jog farmacijos įmonėms taikomas privalomas geros gamybos praktikos reikalavimas griežtai reglamentuoja visus gamybos procesus[282]. Toks farmacijos sektoriaus reguliavimo ES lygmeniu tikslas – užtikrinti, kad pacientams būtų tiekiami saugūs, kokybiški ir veiksmingi vaistai.

Taip pat rėmėjai turi atsižvelgti į 141/2000/EB reglamento 3 straipsnio 1 dalies a punktą, kuriame išdėstyta, jog vaistas turėtų būti *skirtas* (angl. *intended for*) atitinkamos būklės diagnozavimui, profilaktikai ar gydymui“[283]. Taigi kreipiantis dėl vaisto priskyrimo retiesiems, jo naudojimas konkrečiai indikacijai turi būti logiškai ir moksliškai pagrįstas. Atsižvelgdamas į rėmėjo pateiktus duomenis, Retųjų vaistų komitetas privalo apsvarstyti ar vaisto naudojimas tam tikrų ligų pogrupiui tikrai yra pagrįstas. Šis vertinimas atliekamas norint, jog rėmėjai neturėtų galimybių piktnaudžiauti vaistų priskyrimo retiesiems sistema, siekdami pasinaudoti paskatomis, pavyzdžiui, dirbtinai suskirstydami įprastas ligas į priskyrimo kriterijus atitinkančius, tačiau klaidinančius pogrupius[284].

d. Nepakankamos investicijų grąžos tikimybės kriterijus[285]

[279] Preambulės 7 pastraipa [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18].

[280] Vaisto samprata buvo išanalizuota šio darbo 1.3.3.1 skirsnyje (*aut. past.).*

[281] A dalies 3 punkto antra pastraipa [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178].

[282] Geros gamybos praktika (angl. *Good manufacturing practice*, GMP) – tai kokybės užtikrinimo sistemos dalis, garantuojanti, kad farmacijos produktai gaminami ir kontroliuojami, laikantis jiems taikomų kokybės standartų. Žmogui vartoti skirtiems medikamentams geros gamybos praktikos principus nustato direktyva 91/356/EEB [Commission Directive 91/356/EEC of 13 June 1991 laying down the principles and guidelines of good manufacturing practice for medicinal products for human use. [1991] OJ L 193.].

[283] COMP report to the Commision in relation to article 10 of Regulation 141/2000 on orphan medicinal products. London: European Medicines Agency, 25 July 2005, p. 7.

[284] *Ibid.*

[285] Čia aptariami tik procedūriniai šio kriterijaus įrodinėjimo aspektai. Išsamiai šis kriterijus analizuojamas disertacijos 3.1.1. poskyryje (*aut. past.)*

Siekdami pagal 141/2000/EB reglamento 3 straipsnio 1 dalies a punkto antrosios pastraipos reikalavimus įrodyti, kad parduodami retos ligos diagnozavimui, profilaktikai arba gydymui skirtą vaistą, jie nesusigrąžins investicijų ir negaus pelno, – teikdami paraišką rėmėjai turi pateikti: duomenis apie patirtas vaisto kūrimo išlaidas, taip pat pagrįsti išlaidas, kurių rėmėjas mano patirsiąs po paraiškos dėl vaisto priskyrimo retiesiems padavimo; argumentuotą pažymą dėl visų gamybos ir vaisto pardavimo rinkoje išlaidų, kurias rėmėjas yra turėjęs praeityje ir tikisi turėsiąs per pirmuosius 10 metų nuo leidimo prekiauti retuoju vaistu gavimo; duomenis apie subsidijas, mokesčių lengvatas ar kitas išlaidų susigrąžinimo priemones, gautas Bendrijoje ar trečiosiose šalyse[286]. Tais atvejais, kai dėl kokios nors indikacijos jau yra išduotas leidimas prekiauti vaistu arba kai tas vaistas yra tiriamas dėl vienos ar daugiau kitų indikacijų, turi būti pateikiamas suprantamas vaisto kūrimo išlaidų paskirstymo pagal įvairias indikacijas paaiškinimas ir pagrindimas[287]. Taip pat rėmėjas privalo apskaičiuoti iš vaisto pardavimų Bendrijoje per pirmuosius 10 metų nuo leidimo prekiauti gavimo laukiamas įplaukas[288].

Pažymėtina, kad iš 458 paraiškų dėl vaistų priskyrimo retiesiems, kurias Europos vaistų agentūra gavo iki 2005 metų vidurio, visos išskyrus pora, buvo pagrįstos paplitimo kriterijumi, ir tik dvi – nepakankamos investicijų grąžos tikimybe[289].

e. Gero profilaktikos, diagnozavimo ar gydymo būdo nebuvimo bei „akivaizdžios naudos“ kriterijai

Kaip minėta anksčiau, 141/2000/EB reglamento 3 straipsnio 1 dalies b punkte įtvirtinti du alternatyvūs kriterijai, kuriuos rėmėjai gali įrodinėti priklausomai nuo vaisto pobūdžio ir esamos situacijos. Taigi vaistas priskiriamas retiesiems, jei rėmėjas be anksčiau minėtų kriterijų, įrodo, jog Bendrijoje nėra įregistruoto kito gero tos ligos diagnozavimo, profilaktikos ar gydymo būdo, o jei toks būdas yra, kad naujasis preparatas yra pranašesnis – t. y. „akivaizdžiai naudingas“ sergančiam asmeniui[290]. Paprasčiau tariant, rėmėjas gali įrodinėti, kad Bendrijoje apskritai nėra tam tikros retos ligos ar būklės gydymo, diagnozavimo ar profilaktikos alternatyvų. O jei tokių registruotų ar naudojamų vaistų yra – rėmėjas, pateikdamas nuorodų į mokslinę ir medicininę literatūrą turėtų

[286] 2 str. 2 dalies a, b, e, f, i punktai [Commission Regulation (EC) No 847/2000 of 27 April 2000 laying down the provisions for implementation of the criteria for designation of a medicinal product as an orphan medicinal product and definitions of the concepts „similar medicinal product“ and „clinical superiority“. [2000] OJ L 103.].

[287] *Ibid.*, 2 str. 2 dalies d punktas.

[288] *Ibid.*, 2 str. 2 dalies g punktas.

[289] COMP report to the Commision in relation to article 10 of Regulation 141/2000 on orphan medicinal products. London: European Medicines Agency, 25 July 2005, p. 8.

[290] 3 str. 1 dalies a punkto pirma pastraipa ir 3 str. b punktas [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

įrodinėti, kad jie nėra pakankamai geri arba turėtų įrodyti, kad jo siūlomas vaistinis preparatas yra geresnis – t. y. akivaizdžiai naudingas lyginant su jau egzistuojančiais.

Pakomentuojant pirmąjį įrodinėjimo faktą, reikia pastebėti, kad iki 2005 metų lapkričio 20 dienos retojo vaisto registravimas vienoje valstybėje ES narėje išpildydavo kriterijų „registruota Bendrijoje“ ir tai reiškė, kad pasitvirtino teigiamas (palankus) vaisto naudos ir rizikos santykis, taip pat, kad jis pripažintas pakankamai geru gydymo, diagnozavimo ar profilaktikos metodu 141/2000/EB reglamento 3 straipsnio 1 dalies b punkte įtvirtintos nuostatos prasme[291]. Nuo 2005 metų lapkričio 20 dienos, remiantis 726/2004/EB reglamentu[292] centralizuota procedūra tapo privaloma visoms paraiškoms dėl leidimo prekiauti vaistais, priskirtais retųjų vaistų kategorijai. Taigi dabar rėmėjams reikia nurodyti ar rinkoje jau yra registruotas tam tikrai retai ligai gydyti skirtas vaistas.

Jei alternatyvus gydymas egzistuoja, norėdami jog vaistas tai pačiai terapinei indikacijai būtų priskirtas retiesiems, rėmėjai vietoj to, jog stengtųsi įrodyti, jog jau egzistuojantys vaistai nėra pakankamai geri, gali pademonstruoti naujojo vaisto ,,akivaizdžią naudą“ – t. y. ,,klinikiniu atžvilgiu svarbų pranašumą, didesnį įnašą į ligonių priežiūrą“[293], lyginant su jau egzistuojančiais rinkoje vaistais[294]. Šiuo atveju, rėmėjai turi pateikti reikšmingų duomenų apie naujojo vaisto pranašumą. Tačiau, jei naujo vaisto klinikinių tyrimų apimtis dėl objektyvių priežasčių yra nedidelė, jo savybių priskyrimas „akivaizdžiai naudingoms“ kartais gali būti paremtas tik prielaidomis. Ar tokios prielaidos yra pagrįstos, kiekvienu atveju sprendžia Retųjų vaistų komitetas. Taip pat sprendžiant apie naujo vaisto ,,akivaizdų naudingumą“ visuomet privalo būti atsižvelgta į tokias aplinkybes kaip gydymo pobūdis (ambulatorinis ar stacionarinis)[295] bei gydymo prieinamumas pacientams[296]. Kaip ,,akivaizdaus naudingumo“ argumentus rėmėjai gali įrodinėti: didesnį vaisto

[291] A dalies 3 punkto trečia pastraipa [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.].

[292] Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136.

[293] 3 str. 2 d. [Commission Regulation (EC) No 847/2000 of 27 April 2000 laying down the provisions for implementation of the criteria for designation of a medicinal product as an orphan medicinal product and definitions of the concepts ,,similar medicinal product“ and ,,clinical superiority“. [2000] OJ L 103].

[294] A dalies 3 punkto antra pastraipa [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.].

[295] Kaip ,,akivaizdaus naudingumo” įrodymas gali būti naujo vaisto vartojimo patogumas ir paprastumas (galimybė gydytis ambulatoriškai). Ir atvirkščiai, nebus traktuojama kaip naudingumas pacientui, jei gydymosi metu ligonis privalėtų būti gydomas stacionare. [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178. A dalies 4 punkto 3 pastraipa.]

[296] Jei rėmėjas ,,akivaizdaus naudingumo” kriterijų siekia įrodyti tuo, jog naujas gydymo būdas būtų prieinamesnis pacientams, jis turėtų pateikti prekyboje esančių vaistų prieinamumo problemas ir svarius, kokybine ir kiekybine analize paremtus argumentus, paaiškinančius kaip šios problemos įtakoja pacientų poreikius ir lūkesčius. Jei egzistuojantis rinkoje gydymo, profilaktikos ar diagnozavimo metodas yra pakankamai prieinamas – naujasis vaistas nebus traktuojamas kaip ,,akivaizdžiai naudingas”. Taip pat pastebėtina, jog kaip prieinamumo problemų rėmėjai negali įvardinti vaistų kompensavimo mechanizmo ar valstybės sveikatos apsaugos politikos trūkumų. Jei kaip įrodymas minimos rinkoje esančių vaistų gamybos problemos – turi būti įrodyta, jog ši problema nuolat kartojasi arba vaistų

veiksmingumą, saugumą; tai, jog vaistas pasižymi geresnėmis farmakokinetinėmis savybėmis; tai, jog naujas vaistas yra išgautas ne iš žmogaus kraujo ar plazmos, o pavyzdžiui, naudojant transgenines ar rekombinantines medžiagas; tai, jog egzistuoja rinkoje esančio vaisto trūkumas dėl ypatingų vaisto saugojimo aplinkybių, gamybinės medžiagos (pvz. kraujo plazmos) trūkumo, gamintojo veiklos pertraukų ar gamybos proceso pakopų (pvz., fermentacijos)[297]. Tuo tarpu vaisto kokybės pagerinimas yra kiekvieno prekybos vaistu leidimo turėtojo pareiga ir nėra ,,akivaizdaus naudingumo“ argumentas[298].

Per pirmuosius penkerius reglamento galiojimo metus rėmėjai pateikė daugybę įvairių „akivaizdžios naudos“ argumentų. Kai kurie iš jų Retųjų vaistų komitetui pasirodė priimtini, kai kurie – ne. Todėl vaisto „akivaizdžios naudos“ samprata plėtojama toliau[299]. Beje, šis kriterijus yra įvestas tik ES, todėl lyginant su kitais regionais, kur taip pat įteisintos paskatos retųjų vaistų kūrimui (JAV, Japonija ir Australija), gali būti traktuojamas kaip papildomas apribojimas siekiant vaistą priskirti retiesiems.

Apžvelgiant paraiškų vertinimo patirtį iki 2005 metų balandžio, pastebėtina, jog daugiausia palankių išvadų (69 proc.) Retųjų vaistų komitetas išdavė patvirtindamas vaisto ,,akivaizdaus naudingumo“ kriterijų. Didžioji šių ,,akivaizdžia nauda“ paremtų išvadų dalis buvo argumentuota potencialiai padidėjusiu vaisto veiksmingumu (78,8 proc.). Tuo tarpu potencialiai padidėjusiu vaisto saugumu ir indėliu į paciento priežiūros palengvinimą kaip vieninteliu naudos kriterijumi argumentuota atitinkamai 5,2 procento ir 5,7 procento paraiškų[300].

Pabaigai reikia pažymėti, kad 2007 metų gale Europos vaistų agentūra ir JAV Maisto ir vaistų agentūra pasirašė susitarimą, kuriuo remiantis nuo 2008 metų vidurio retųjų vaistų rėmėjai gali kreiptis dėl to paties vaisto priskyrimo retųjų kategorijai abiejose jurisdikcijose (tiek ES, tiek JAV) pateikdami agentūroms vieningą paraišką[301]. Tai labai svarbus ir reikšmingas faktas tiek vaistų rėmėjams, tiek pacientams.

1.3 3.3. Vaistų įtraukimo ir pašalinimo iš Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registro teisiniai pagrindai

---

tiekimas yra nutrūkęs ilgą laiką [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178. A dalies 4 punkto 4, 5 pastraipos.]

[297] A dalies 4 punkto 8 pastraipa [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.].

[298] *Ibid.*, A dalies 4 punkto 7 pastraipa.

[299] COMP report to the Commision in relation to article 10 of Regulation 141/2000 on orphan medicinal products. London: European Medicines Agency, 25 July 2005, p. 8.

[300] *Ibid.*

[301] Common EMEA/FDA application form for orphan medicinal products designation [interaktyvus] [žiūrėta 2009-06-14]. <http://www.emea.europa.eu/htms/human/orphans/guidance.htm>.

Retųjų vaistų kategorijai keliamus reikalavimus atitinkantis vaistas Europos Komisijos sprendimu yra priskiriamas retiesiems ir įtraukiamas į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą. Vadinasi vaisto priskyrimas retųjų vaistų kategorijai iš esmės sutampa su jo įtraukimu į registrą. Tačiau reikia atkreipti dėmesį, kad šis registras yra tik vaisto priskyrimo retiesiems ženklas ir toli gražu nereiškia, jog yra suteiktas leidimas prekiauti tuo vaistu. Nors į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą gali būti įtraukiami ir jau prekybos leidimus turintys vaistai (jei jie gali būti skirti ir retai ligai gydyti), tačiau dažniausiai į jį patenka nauji, dar kuriami ir tiriami vaistai, atitinkantys priskyrimo retiesiems kriterijus.

Vaisto išbraukimo iš Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registro teisinius pagrindus nustato 141/2000/EB reglamento 5 straipsnio 12 dalis. Tai trys atvejai. Vaistas išbraukiamas: (a) rėmėjo prašymu; (b) jei vaistas prieš suteikiant leidimą juo prekiauti nebeatitinka 141/2000/EB reglamento 3 straipsnyje įtvirtintų priskyrimo kriterijų; (c) suteikto rinkos išimtinumo laikotarpio pabaigoje.

Dėl pirmojo atvejo paminėtina tik tai, jog jei pats rėmėjas prašo vaistą pašalinti iš registro, taip pat kaip ir priskiriant vaistą retiesiems, turi būti vadovaujamasi procedūros, įtvirtintos 141/2000/EB reglamento 5 straipsnio 8 dalyje analogija – t. y. Europos vaistų agentūra siunčia galutinę Retųjų vaistų komiteto nuomonę Europos Komisijai, kuri per 30 dienų nuo nuomonės gavimo dienos priima sprendimą. Jei išskirtinėmis aplinkybėmis sprendimo projektas nesutampa su Retųjų vaistų komiteto nuomone, sprendimas priimamas Tarybos reglamento 2309/93/EEB[302] (toliau – 2309/93/EEB reglamento) 73 straipsnyje nustatyta tvarka. Apie sprendimą pranešus rėmėjui, jis siunčiamas Agentūrai, ir valstybių narių kompetentingoms institucijoms[303]. „Iki 2005 metų balandžio rėmėjų prašymu iš Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registro išbraukta 15 vaistų. Labiausiai paplitusi atšaukimo priežastis – vaisto kūrimo sustabdymas“[304].

Antrąja vaisto išbraukimo iš Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registro priežastimi gali tapti įrodymai, jog vaistas nebeatitinka 141/2000/EB reglamento 3 straipsnyje įtvirtintų vaistų priskyrimo retiesiems kriterijų: ligos paplitimo ar pakankamos investicijų grąžos, klinikinio pranašumo ar akivaizdžios naudos, – priklausomai nuo to, kuo vaisto priskyrimas retiesiems buvo pagrįstas. Iš to išplaukia, jog prieš suteikiant leidimą prekiauti vaistu, tuomet, kuomet tikimasi gauti teigiamą Retųjų vaistų komiteto nuomonę[305] vaisto priskyrimo retiesiems pagrindai peržiūrimi

[302] Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. [1993] OJ L 214.

[303] 5 str. 8 d. [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

[304] COMP report to the Commision in relation to article 10 of Regulation 141/2000 on orphan medicinal products. London: European Medicines Agency, 25 July 2005, p. 11.

[305] B dalies 2 punkto devinta pastraipa [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. OJ [2003] C 178.]. Iki 2005 m. lapkričio 20 d. vaisto priskyrimo retiesiems pagrindai būdavo peržiūrimi ir prieš pat patvirtinant pirmąjį nacionalinį prekybos leidimą (*aut. past.*))

pakartotinai. Teikiant paraišką dėl leidimo prekiauti Europos vaistų agentūra turi būti informuota, jog tas vaistas yra priskirtas retųjų vaistų kategorijai, todėl Agentūra gali pateikti užklausą, į kurią atsakydamas rėmėjas turi pateikti atnaujintus duomenis ar vaistas tebeatitinka reikiamus vaisto priskyrimo retiesiems kriterijus. Jei dėl atitikimo kyla pagrįstų abejonių, rėmėjo gali paprašyti pateikti tam tikrus patvirtinimus, argumentus žodžiu arba raštu[306]. Iki 2009 metų rugsėjo ES 646 vaistai buvo priskirti retųjų kategorijai, 52 iš jų buvo registruoti[307]. „Iki 2012 pabaigos ES turėtų būti registruota maždaug 100 retųjų vaistinių preparatų“[308].

Trečioji vaisto išbraukimo iš registro priežastis – nustatyto rinkos išimtinumo laikotarpio pabaiga išsamiai bus aptarta disertacijos 3.1.1.3. skirsnyje.

1.4. 141/2000/EB reglamento nuostatų pritaikomumas vaistams „atogrąžų ligoms“ gydyti

Darbo įvade jau buvo užsiminta, kad retųjų vaistų prieinamumo problema aktuali ir infekcinių ligų, kurios dar vadinamos *atogrąžų ligomis* atveju. Tai pavyzdžiui, maliarija, leišmaniozė, Afrikos tripanosomozė, filariozė, Čagaso (*Chagas*) liga, raupsai, trachoma, dramblialigė ir kt. Jomis per metus suserga šimtai tūkstančių žmonių Centrinėje ir Pietų Afrikoje, Pietryčių Azijoje, Lotynų Amerikoje. Ypač nuo jų kenčia šių šalių vargingų kaimo vietovių ar miestų lūšnynų gyventojai. Europoje ar Šiaurės Amerikoje susirgimų šiomis vabzdžių platinamomis ar bakterinės kilmės infekcinėmis ligomis pasitaiko itin retai, – dažniausiai jų piliečiams grįžus po svečiavimosi atogrąžų kraštuose[309].

Daugiau nei prieš dešimtmetį – 1997 metais, kuomet 141/2000/EB reglamentas dar nebuvo priimtas, bet jau buvo pradėti rengti pasiūlymai dėl paskatų retiesiems vaistams reglamentavimo, mokslininkas P. Olliario savo straipsnyje[310] pirmasis iškėlė retųjų vaistų prieinamumo atogrąžų ligomis sergantiems pacientams problemą, klausdamas ir svarstydamas, ar rengiamas ES teisės aktas bus naudingas sprendžiant šią aktualesnę vargingoms šalims, nei pačiai ES problemą.

Ieškodamas atsakymo autorius tuomet pripažino, jog priėmus ES teisės aktą, skirtą paskatinti retųjų vaistų kūrimą, jo nuostatos galėtų puikiai pasitarnauti ir sprendžiant infekcinių ligų gydymo problemą. Kita vertus, pernelyg tikėti progresu šioje srityje P. Olliario neleido ir abejonių dėl

[306] B dalies 2 punkto trečia pastraipa [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.].

[307] *Register of designated Orphan Medicinal Products* [interaktyvus] [žiūrėta 2009-08-30]. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/ orphreg.htm>.

[308] COMP report to the Commision in relation to article 10 of Regulation 141/2000 on orphan medicinal products. London: European Medicines Agency, 25 July 2005, p. 11.

[309] Pavyzdžiui maliarija pasaulyje kasmet pasaulyje suserga 250 milijonų žmonių, tuo tarpu Europoje užregistruojama tik 3000 šios ligos atvejų [SCHIEPPATI, A., REMUZZI, G., GARATTINI, S. Modulating the profit motive to meet needs of the less-developed world. *The Lancet.* 2001, 358: 1638–1641; NAJERA, J. A., HEMPEL, J. The burden of maliaria. Geneva,WHO, 1996.].

[310] OLLIARIO, P. Will the fight against tropical diseases benefit from orphan drug status? *Tropical Medicine and International Health.* 1997, 2: 113.

būsimų teigiamų pokyčių kėlė tuometė JAV patirtis ir iškalbinga statistika: per dešimtmetį nuo ,,Retųjų vaistų akto“ priėmimo (1983–1992) JAV buvo sukurti tik trys vaistai atogrąžų ligoms gydyti. Pagrindinė priežastis ta, jog farmacijos įmonėms juos kurti nenaudinga: pirma – todėl, kad skurdžių valstybių gyventojai brangių vaistų neįpirktų, o šių šalių vyriausybės nepajėgtų jų kompensuoti[311]; antra, – farmacijos ir biotechnologijų įmones nuo vakcinų, skirtų atogrąžų ligų gydymui ar profilaktikai kūrimo atgraso sunkiai iš anksto įvertinami su šių ligų specifika susiję faktoriai (pvz., ligos protrūkių nenuspėjamumas; sukėlėjų mutacijų galimybės ir kt.)[312]. Dėl išsivysčiusių ir ekonomiškai turtingų valstybių dėmesio atogrąžų ligų gydymui stokos, jos net pavadintos ,,apleistomis“ arba ,,užmirštomis“ ligomis (angl. *neglected diseases*)[313,314].

Mokslininkai P. Trouiller ir kt. taip pat suabejojo, kad rengiamas ES reglamentas ,,Dėl retųjų vaistų“ pagerins atogrąžų ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumą[315]. 1999-aisiais, – likus metams iki 141/2000/EB reglamento priėmimo, palyginę JAV galiojantį ,,Retųjų vaistų aktą“ bei jo įgyvendinimo praktiką su rengiamu ES reglamento ,,Dėl retųjų vaistų“ projektu, autoriai gana kategoriškai pareiškė, jog tiek JAV priimto teisės akto, tiek ES rengiamo priimti reglamento nuostatos ,,sudaro prielaidas geografinėmis ribomis pagrįstoms farmacijos įmonių monopolijoms bei jų komerciniam saugumui, o rinkos išimtinumo paskata suponuoja absoliučią kainodaros laisvę“[316]. Pasak jų, tai toli gražu nėra akstinas kurti vaistus pacientams, kurių perkamoji galia yra itin maža.

Vos tik priėmus ir įsigaliojus 141/2000/EB reglamentui, Prancūzijoje įkurta tarptautinė medicinos ir humanitarinės pagalbos organizacija ,,Gydytojai be sienų“ (pranc. *Médecins Sans Frontières*) iškėlė klausimą, ar apskritai šio reglamento nuostatos yra taikytinos vaistų atogrąžų ligoms gydyti atžvilgiu[317]. Atsiliepdama į tokius nuogąstavimus ir abejones Europos Komisija savo komunikate išaiškino, jog atogrąžų ligų gydymui skirti vaistai tikrai yra priskirtini retiesiems, jei tik

---

[311] CHEUNG, R. Y. COHEN, J. C., ILLINGWORTH, P. Orphan drug policies: implications for United States, Canada and developing Countries. *Health Law Journal.* 2004, 12: 194; DEPOORTEE, E., TEGROS, D., TOREREELE, E. *Building a conceptual framework to identify and characterize neglected diseases.* DND Working Group Expert Paper. Geneva, 2001.

[312] AYLWARD, B., KANE, M., BASTON, A., SCOTT, R. A framework for the evaluation of vaccines for use in expanded programme on imunization. *Vaccine.* 1994, 12: 1155–1159; SHEPARD, D. S., WALSH, J. A., KLEINAU, E., STANSFIELD, S. Initiative: a cost-effectiveness approach. *Vaccine*. 1995, 13: 707–714.

[313] CANNING, D. Neglected diseases – the health economics perspective. Intensified control of neglected diseases. Report of an international workshop [interaktyvus]. Berlin, 10-12 December 2003, p. 19 [žiūrėta 2008-07-15]. <http://whqlibdoc.who.int/hq/2004/WHO_CDS_CPE_CEE_2004.45.pdf>.

[314] STIRNER, B. Stimulating research and development of pharmaceutical products for neglected diseases. *European Journal of Health Law.* 2008, 4(15): 392–393.

[315] TROUILLER, P., BATTISTELLA, C., PINEL, J., PÉCOUL, B. Is orphan drug status beneficial to tropical disease control? Comparison of the American and future European orphan drugs acts. *Tropical Medicine and International Health.* 1999, 4: 412–420.

[316] *Ibid*., p. 413.

[317] Fatal imbalance. The crisis in research and development for drugs for neglected diseases [interaktyvus]. Geneva: Médecins Sans Frontières. Access to Essential Medicines Campaign and the Drugs for Neglected Diseases Working Group, 2001 [žiūrėta 2008-01-25]. <http://www.doctorswithoutborders.org/publications/reports/2001/fatal_imbalance_short.pdf>.

tos ligos atitinkamai retai paplitusios ES teritorijoje ir atitinka kitus 141/2000/EB reglamente nustatytus kriterijus[318]. Nepaisant to, dar reglamento rengimo metu mokslininkų išsakyti nuogąstavimai praktiškai išsipildė: kaip pradžioje ir JAV farmacijos įmonės, taip ir ES farmacijos ir biotechnologijų pramonininkai neparodė didelio susidomėjimo kurti infekcinėms ligoms gydyti skirtų vaistų. Todėl netrukus mokslinėse publikacijose pradėta siūlyti parengti atskirą teisės aktą ar priimti specialias ES teisės normas, skirtas atogrąžų ligų tyrimų ir tokių vaistų prieinamumo skatinimui reglamentuoti[319]. Ekonomiškai išsivysčiusių Europos šalių farmacijos įmonės paragintos aktyviau spręsti atogrąžų ligų gydymo problemą iš humanistinių paskatų, vadovautis bendros socioekonominės pažangos bei inovacijų plėtros vertybėmis, o ne tik pelno kriterijumi[320,321]. Jungtinių Tautų specialusis pranešėjas P. Hunt savo pranešimuose priminė, jog sprendžiant apleistų ligų problemą svarbios sutelktos ekonomiškai stiprių valstybių vyriausybių, tarptautinių organizacijų, farmacijos bei biotechnologijų įmonių, nevyriausybinių organizacijų pastangos ir dėmesys, nes tam įpareigoja tarptautiniai žmogaus teisių dokumentai, tokie kaip Tarptautinis ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių paktas (15 str. 1 d. b punktas)[322], kuriuose pripažįstama kiekvieno žmogaus teisė naudotis mokslo pažangos ir jos praktinio taikymo laimėjimais[323].

Tai pirmasis teisinis argumentas kalbant apie būtinybę tarptautiniu mastu spręsti infekcinių ligų gydymo neturtingose šalyse problemą. Antrasis teisinis argumentas taip pat išvedamas iš žmogaus teisių dokumentų – tiksliau iš valstybių tarptautinių įsipareigojimų teisės į sveikatos priežiūrą užtikrinimo srityje. Antai 1966 metais Jungtinių Tautų priimto Tarptautinio ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių pakto[324] 12 straipsnio 1 dalyje pripažįstama kiekvieno žmogaus teisė turėti kuo geriausią fizinę ir psichinę sveikatą, o 2 dalyje numatomos priemonės, kurių turi imtis Pakto Šalys šiai teisei įgyvendinti: pavyzdžiui, vykdyti epideminių bei kitokių ligų profilaktiką, gydymą ir kontrolę; sudaryti sąlygas, užtikrinančias visiems gyventojams medicinos paslaugas ir medicininę priežiūrą susirgus. Oficialiame šios teisės nuostatos komentare[325] teigiama, jog teisė į

[318] Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.

[319] FEHR, A., THURMANN, P., RAZUM, O. Drug development for neglected diseases: a public health challenge. *Tropical Medicine and International Health.* 2006, 11(9): 1336.

[320] AYLWARD, B., KANE, M., BATSON, A., SCOTT, R. A framework for the evaluation of vaccines for use in expanded programme on imunization. *Vaccine.* 1994, 12: 1155–1159.

[321] BÜHRLEN, B., BLIND, K., MENRAD, K. *New products and services. Analysis of regulations shaping new markets.* Third interim report. Part B. The impact of regulation on the development of new products in the pharmaceutical sector [interaktyvus]. Karlsruhe: Fraunhofer institute systems and inovvation research, 2003, p. 70 [žiūrėta 2008-09-12]. <http://www.isi.fhg.de/publ/downloads/ isi03b70/case-study-pharma.pdf>.

[322] *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 77-3290.

[323] HUNT, P. Neglected diseases – a human rights perspective. Intensified control of neglected diseases. Report of an international workshop [interaktyvus]. Berlin, 10–12 December 2003, p. 24–27 [žiūrėta 2008-09-12]. <http://whqlibdoc.who.int/hq/2004/WHO_CDS_CPE_CEE_2004.45.pdf>.

[324] Tarptautinis ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių paktas. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 77-3290.

[325] Committee on Economic, Social and Cultural Rights (CESCR), General Comment No. 14 on Article 12 of the International Convenant on Economics, Social and Cultural Rights of 16 December 1966. „The Right to the highest attainable standard of health", 2000 (UN Doc. E/C.12/2004).

sveikatos priežiūrą neturėtų būti suprantama kaip teisė būti sveiku, o tik kaip teisė naudotis priemonių, prekių bei paslaugų įvairove ir sąlygomis, reikalingomis tam, kad būtų pasiekta kuo geresnė sveikata[326]. Čia paaiškinta, jog Pakto Šalys ir „kiti galintys pasitarnauti subjektai“[327], be kita ko, turi padėti tiek techninėmis, tiek ekonominėmis priemonėmis, kad pagal Paktą prisiimtus įsipareigojimus galėtų įgyvendinti ir besivystančios valstybės[328]. Pasak P. Hunt, tai apimtų turtingų valstybių atsakomybę plėtoti apleistų ligų tyrimus ir vaistų joms gydyti kūrimą, net ir tuo atveju, jei tokios ligos tose valstybėse nėra paplitusios[329]. Deja, jokio poveikio ir realios atsakomybės šioje srityje valstybėms pritaikyti neįmanoma, todėl laukiama geranoriškų iniciatyvų ir vienokių ar kitokių priežasčių paskatinto pačių farmacijos įmonių, valstybinių mokslo institucijų susidomėjimo ir indėlio sprendžiant šią problemą[330]. Pavyzdžiui Pasaulio Sveikatos Asamblėjos rezoliucijoje priimtose rekomendacijose kaip pagerinti vaistų apleistoms ligoms kūrimą ir prieinamumą besivystančiose šalyse siūloma steigti prizinius fondus, apdovanojimus už sukurtą vaistą ar vakciną atogrąžų ligai gydyti, įteisinti lanksčias tokių vaistų patentavimo ar registravimo strategijas, remti tarpinstitucinį (laboratorijų, universitetų, korporacijų) bendradarbiavimą kuriant atogrąžų ligoms skirtus vaistus[331].

Teisės į sveikatos priežiūrą, o taip pat lygybės bei solidarumo principo įgyvendinimo argumentai pagrindiniai plėtojant ir retųjų vaistų prieinamumo pacientams koncepciją. Deja, teisės doktrinoje nuoseklios analizės šis aspektas nėra sulaukęs. Iki šiol niekur neanalizuota, koks teisės į sveikatos priežiūrą, kuri įtvirtinta tiek tarptautiniuose žmogaus teisių dokumentuose, tiek daugelio valstybių konstitucijose vaidmuo sprendžiant retųjų vaistų prieinamumo klausimą. O tai svarbu norint įvertinti retomis ligomis sergančio paciento lūkesčių dėl to, jog egzistuojantis gydymas (naujausi gydymo metodai) jam būtų prieinamas, teisėtumą. Todėl visapusiška teisės į sveikatos priežiūrą ir jos prieinamumą argumento, taip pat kitų galimų retųjų vaistų prieinamumo teisinių prielaidų paieška ir analizė yra kitas (antrasis) disertacijoje atliekamo tyrimo uždavinys.

---

[326] *Ibid.*, 9 paragrafas.

[327] Turimos omenyje pavyzdžiui nevyriausybinės organizacijos, farmacijos pramonės įmonės, privatūs asmenys ir pan. (*aut. past.)*

[328] *Ibid.*, 45 paragrafas.

[329] HUNT, P. Neglected diseases, social justice and human rigts: some preliminary observations. Health and Human Rights working paper series. 2003, 4: 11. In STIRNER, B. Stimulating research and development of pharmaceutical products for neglected diseases. *European Journal of Health Law.* 2008, 4(15): 395– 396.

[330] S. Villa *ir kt.* pateikia tris pavyzdžius, kurių rezultatas - ekonomiškai prieinami nauji vaistai atogrąžų ligoms gydyti. Tai pelno nesiekiančios farmacijos kompanijos, remiamos Bill & Mellinda Gate Foundation sukurtas visceralinei leišmaniozei gydyti skirtas antibiotikas *paromomycin*; tuberkuliozės vakcina, sukurta Oksfordo universiteto mokslininkų; ir mažos Austrijos biotechnologijų įmonės Intercell sukurta japoniškojo encefalito vakcina [VILLA, S., COMPAGNI, A., REICH, M. R. Orphan drug legislation: lessons for neglected tropical diseases. *Int J Health Plann Mgmt* . [interaktyvus]. 2009, 24(1): 27–42 [žiūrėta 2009-07-25]. <http://www.wcfia.harvard.edu/sites/ default/files/ Reich_Orphan.pdf>.].

[331] WHA Resoliution 56.27. Intelectual property rights, innovation and public health. March 2003 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-09-12]. <http://www.who.int/intellectualproperty/documents/thereport/ ENPublicHealthReport.pdf>. In STIRNER, B. Stimulating research and development of pharmaceutical products for neglected diseases. *European Journal of Health Law.* 2008, 4(15): 391–409.

2. RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO TEISINĖS PRIELAIDOS

Analizuojant užsienio literatūrą galima pastebėti, jog kai kurie autoriai savo straipsniuose nagrinėjantys probleminius su retaisiais vaistais susijusius klausimus, tačiau atstovaujantys ne teisės, o įvairių kitų mokslų sritims (sveikatos politikai, sveikatos ekonomikai, medicinos etikai, visuomenės sveikatai) tvirtina, jog 141/2000/EB reglamento priėmimo tikslas arba kertinis principas – siekis užtikrinti pacientų „teisę į gydymą“ ar „teisę į sveikatą“. Tokių išvadų A. Lavandeira[332], A. Rappagliosi[333], C. A. Gericke ir kt.[334] prieina užsimindami apie reglamento priėmimo kontekstą ir (arba) cituodami 141/2000/EB reglamento preambulės nuostatas, teigiančias, kad: „retomis ligomis sergantys pacientai *turėtų turėti teisę* gauti tokios pat kokybės gydymą“, jie yra „verti tokių pat kokybiškų, saugių ir veiksmingų vaistų kaip ir kiti ligoniai“ (7 ir 2 pastr.)[335]. Nors reikia pripažinti, kad tokios išvados turi tikrovišką įžvalgą, nes byloja apie reta liga sergančio paciento teisėtą lūkestį dėl kokybiško gydymo, tačiau taip kildinamos ir formuluojamos jos teisiniu požiūriu yra vertintinos kritiškai. Todėl reikia išsiaiškinti: koks vaidmuo tenka Bendrijai užtikrinant vaistų prieinamumą pacientams (tiek skatinant šių vaistų kūrimą, tiek aprūpinant jais retomis ligomis sergančius pacientus)?; bei kokios teisės nuostatos sudaro prielaidas tvirtinti, jog esama valstybės įsipareigojimų pacientams dėl vaistų (tarp jų ir retųjų) prieinamumo apskritai, turint omenyje tai, jog asmens lūkesčių teisėtumas ir (ar) pagrįstumas kildintini iš teisinės valstybės įstatymų, jos administracijos veiksmų[336].

2.1. Teisės į sveikatos priežiūrą įgyvendinimas

2.1.1. Teisė į sveikatos priežiūrą žmogaus teisių doktrinoje, jos užtikrinimo klausimas

Cituotose 141/2000/EB reglamento preambulės pastraipose iš tiesų užsimenama apie retomis ligomis sergančių pacientų „teisę“, tačiau reikia pastebėti, jog jos įvardijimas naudojant formuluotes „teisė į gydymą“ ar „teisė į sveikatą“ kaip tai daro autoriai A. Lavandeira, A. Rappagliosi, C. A. Gericke ir kt. nėra priimtinas, nes šiuolaikinėje žmogaus teisių doktrinoje turint omenyje asmens teises sveikatos priežiūros srityje tinkamesnis yra „teisės į sveikatos priežiūrą“

[332] LAVANDEIRA, A. Orphan drugs: legal aspects, current situation. *Haemophilia*. 2002, 8: 194–198.

[333] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to innovation: biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology*. 2001, 7(4): 299–308.

[334] GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics*. 2005, 31: 164–168.

[335] Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.

[336] PRANEVIČIENĖ, B. Teisėtų lūkesčių principo samprata ir teisėtų lūkesčių apsaugos modeliai Europos Sąjungos administracinėje erdvėje. *Jurisprudencija*. 2007, 6(96): 43-48.

terminas[337]. Teisiniu požiūriu formuluotė ,,teisė į sveikatą“ kritikuotina, nes išreiškia, jog šios teisės atžvilgiu turima įsipareigoti ne tik negatyviai (nesikėsinti į šią vertybę), bet ir pozityviai – t. y. ją įgyvendinti. Deja, garantuoti žmogui sveikatos neįmanoma.

Antroji pastaba skirta teiginiui, jog 141/2000/EB reglamento *priėmimo tikslas* yra siekis užtikrinti vienaip ar kitaip įvardintą pacientų ,,teisę“ sveikatos priežiūros srityje. Norint nustatyti, kiek tokia išvada yra pagrįsta, reikia išsiaiškinti, kokia teisės į sveikatos priežiūrą samprata yra plėtojama žmogaus teisių doktrinoje bei tai, ar Bendrija pajėgi užtikrinti šios teisės įgyvendinimą. Tam svarbu nustatyti Bendrijos kompetencijos apimtį žmogaus teisių bei asmens sveikatos priežiūros srityse.

Sveikatos priežiūra bendrąja prasme – tai pastangų, orientuotų į sveikatos išsaugojimą ir stiprinimą tiek medicininiu, tiek etiniu, tiek teisiniu aspektais, visuma[338]. Sveikatos priežiūra medicininiu bei etiniu aspektais, – gali būti suprantama kaip mokslo pažangos standartus ir kokybės kriterijus atitinkančios diagnostikos, profilaktikos, gydymo ir reabilitacijos paslaugos, skirtos palaikyti ar sustiprinti žmogaus sveikatos būklę ar palengvinti kančias[339]. Teisiniu aspektu, – kaip palankios sąlygos šias paslaugas teikti ir (ar) įgyti. Nediskutuotina, jog nuo sveikatos priežiūros kokybės priklauso kiekvieno asmens sveikata (kad ir kokia subjektyvi ir neapčiuopiama ši sąvoka būtų)[340]. O sveikata be jokių abejonių yra viena svarbiausių žmogaus gerovės ir orumo sąlygų[341]. Todėl teisė į sveikatos priežiūrą kaip ir kitos socialinės teisės ir jų apsauga yra svarbi ir žmogaus teisių, ir tarptautinių sutarčių sritis[342].

Jau minėta, jog 1966 metais Jungtinių Tautų priimtame Tarptautinio ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių pakto 12 straipsnyje akcentuojama būtinybė imtis priemonių ,,tam, kad būtų užtikrintas kiekvieno piliečio aukščiausias įmanomas fizinės ir psichinės sveikatos lygis“[343]. Kituose tarptautiniuose žmogaus teisių dokumentuose, pavyzdžiui Pataisytos Europos socialinės chartijos 11 straipsnyje Šalys raginamos imtis ,,reikiamų priemonių, skirtų prastos sveikatos priežastims šalinti (...) bei siekti kiek įmanoma užkirsti kelią epideminėms, endeminėms ir kitoms

[337] ANDRULIENĖ, A., BALTUTYTĖ, E., BIRMONTIENĖ, T., *ir kt. Žmogaus teisės. Diskriminacijos draudimas Lietuvos ir tarptautinėje teisėje.* Vilnius: Lietuvos žmogaus teisių centras, 2004; BIRMONTIENĖ, T. Žmogaus teisės ir jų įtvirtinimas Lietuvos Respublikos konstitucinėje teisėje. *Lietuvos konstitucinė teisė.* Vilnius: LTU, 2004, p. 337; BIRMONTIENĖ, T. Šiuolaikinės žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijos. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2007, 1(5): 202–220.

[338] JAKUŠOVAITĖ, I., DARULIS, Ž. Medicinos ir sveikatos priežiūros tikslai ir vertybės. *Medicina.* 2004, 40(9): 829.

[339] 23 paragrafas [Convention for the protection of Human Rights and dignity of the human being with regard to the application of biology and medicine: Convention on Human Rights and Biomedicine. Explanatory Report [interaktyvus] [žiūrėta 2008-06-02]. <http://conventions.coe.int/treaty/EN/Reports/ Html/164.htm>.

[340] TOEBES, B. The right to health. In *Economic, social and cultural rights* (ed. A. Eide, C. Krause, A. Rosas). Dordrecht/Boston/London: Martinus Nijhoff Publishers, 2001, p. 169.

[341] *Ibid.*

[342] BIRMONTIENĖ, T. Šiuolaikinės žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijos. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2007, 1(5): 207.

[343] Tarptautinis ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių paktas. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 77-3290.

ligoms“[344], o 1997 metais priimtos Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencijos 3 straipsnyje pabrėžta svarba sudaryti lygiateisiškas galimybes gauti atitinkamos kokybės gydymą[345]. Matyti, jog išvardintuose dokumentuose šiek tiek skirtingai (savitai) nusakoma sveikatos priežiūra kaip viena iš žmogaus teisių. O bendra tarp šių nuostatų yra tai, jog terminai ,,sveikata“, ,,kokybė“, ,,sveikatos priežiūra“, ,,aukšto lygio sveikatos apsauga“ ir pan., dažniausiai nėra patikslinami.

Viena vertus, nenoras tarptautiniuose teisės aktuose vienareikšmiškai apibrėžti paminėtųjų sąvokų turinio, matyt, yra tikslingas, nes dėl didelių tarp valstybių egzistuojančių socialinių, kultūrinių ir ekonominių skirtumų rasti visuotinai priimtinas jų apibrėžtis, nėra lengva. Kita vertus, tokia situacija suponuoja tiek minėtų sąvokų, tiek ir pačios teisės į sveikatos priežiūrą kaip vienos iš žmogaus teisių turinio supratimo ir interpretacijų įvairovę. Pavyzdžiui B. Toebes, mėgindama atskleisti teisės į sveikatos priežiūrą žmogaus teisių doktrinoje esmę[346], pasiremia Pasaulio sveikatos organizacijos 1981 metais priimta strategija[347] ir kaip esminius teisės į sveikatos priežiūrą turinio elementus įvardija: motinos ir vaiko sveikatos priežiūrą; imunizaciją nuo infekcinių ligų; tinkamą ligų ir traumų gydymą; bei gyventojų aprūpinimą būtinaisiais vaistais, o šios teisės įgyvendinimo principais teigia esant tokias sąlygas kaip sveikatos priežiūros paslaugų pasiekiamumas bei tinkamumas; jų finansinis, geografinis ir kultūrinis prieinamumas; kokybė; lygiateisiškumas pasinaudoti sveikatos priežiūros paslaugomis[348]. Tačiau trumpai teisė į sveikatos priežiūrą tiesiog apibūdintina kaip teisė į minimalius asmens ir visuomenės sveikatos apsaugos ir priežiūros standartus, kuriuos užtikrinti savo gyventojams įsipareigoja atitinkamus tarptautinius dokumentus ratifikavusios valstybės[349]. Reikia pripažinti, jog akademinės bendruomenės diskusijose vis dar pasitaiko nuomonių, jog teisė į sveikatos priežiūrą tėra politinės retorikos dalis. Tačiau dabartinė socialinių žmogaus teisių koncepcijos plėtotė rodo priešingą tendenciją – vis aiškiau ši teisė nusakoma kaip konkreti ir konstruktyvi teisinė priemonė – geriausios įmanomos pacientų sveiktos priežiūros teisinis garantas[350,351].

Pereinant prie klausimo dėl Bendrijos galimybių užtikrinti teisę į sveikatos priežiūrą, pirmiausia konstatuotinas Bendrijos kompetencijos žmogaus teisių srityje ribotumas: formaliai nei

---

[344] Europos socialinė chartija (pataisyta). *Valstybės žinios.* 2001, Nr. 49-1704.

[345] Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 97-4258.

[346] TOEBES, B. The right to health. In *Economic, social and cultural rights* (ed. A. Eide, C. Krause, A. Rosas). Dordrecht/Boston/London: Martinus Nijhoff Publishers, 2001.

[347] World Health Organization. Global Strategy for Health for All by the Year 2000 (adopted in WHO resoliution WHA.34.36). 1981.

[348] TOEBES, B. *op. cit.*, p. 174–178.

[349] The right to health. World Health Organization. Office of the United Nations High Commisioner for Human Rights. Fact Sheet No. 31 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-01-12]. <http://www.ohchr.org/ Documents/Publications/ Factsheet31.pdf>.

[350] The right to health: from rhetoric to reality. *The Lancet.* 2008, 372: 2001.

[351] The right to health. World Health Organization. Office of the United Nations High Commisioner for Human Rights. Fact Sheet No. 31 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-01-12]. <http://www.ohchr.org/ Documents/Publications/ Factsheet31.pdf>.

EB steigimo sutartyje[352], nei vėliau ją pakeitusiose ir papildžiusiose sutartyse Bendrijai galios šioje srityje niekada nebuvo numatytos (tai pirmiausia paaiškintina iš esmės ekonominio pobūdžio Bendrijos ištakomis). Tvirtintina, jog ES kompetencijos *in genere* žmogaus teisių srityje nenumato ir konsoliduotos ES sutarties[353] 6 straipsnis, kurio 1 dalyje numatyta, jog ,,Sąjunga yra grindžiama laisvės, demokratijos, pagarbos žmogaus teisėms ir pagrindinėms laisvėms bei teisinės valstybės principais“, o 2 dalyje teigiama, jog ,,Sąjunga gerbia pagrindines teises, kurias užtikrina 1950 metais lapkričio 4 dieną Romoje pasirašyta Europos žmogaus teisių ir pagrindinių laisvių apsaugos konvencija“ (EŽTK), nes pagrindiniai subjektai, įpareigoti gerbti pagrindines teises, yra ES institucijos. P. Craig ir G. de Búrca aiškina, jog Bendrijos kompetenciją žmogaus teisių srityje riboja ,,neaiškus kompetencijų atribojimas ES sutartyse“ bei subsidiarumo principas, kuris žmogaus teisių srityje reiškia, kad žmogaus teisių apsaugą turi stengtis užtikrinti tas subjektas, kuris turi daugiau galimybių tai padaryti[354], o šiuo atveju tai yra pačios valstybės ES narės. Pasak M. Cartabia, siekiant įtvirtinti ES bendrąją kompetenciją žmogaus teisių srityje reikėtų, kad jai šios galios būtų suteiktos aiškiai ir formaliai[355]. Kol kas tokios nėra numatytos. Vadinasi ir 141/2000/EB reglamento priėmimo nedera traktuoti kaip teisės į sveikatos priežiūrą įtvirtinimo ar įgyvendinimo, juolab, jog sveikatos priežiūros srityje Bendrijai platūs įgaliojimai irgi nėra suteikti[356].

Plačiau pakomentuojant pastarąjį Bendrijos kompetencijos aspektą, pastebėtina, jog literatūroje dėl Bendrijos kompetencijos sveikatos priežiūros srityje apimties didesnių diskusijų nėra, – tik svarbu suprasti atribojimą tarp asmens ir visuomenės sveikatos priežiūros sričių. Jau anksčiau konstatavome faktą, jog daugiau nei tris dešimtmečius – t. y. iki pat 1992 metų ES institucijos kompetencijos sveikatos priežiūros srityje neturėjo apskritai, o Mastrichto sutartimi (129 str.) Bendrijai kompetencija buvo suteikta tik visuomenės sveikatos sektoriuje. Asmens sveikatos priežiūra taip ir liko valstybių narių diskrecijoje. 1997 metų spalio 2 dieną priimtos Amsterdamo sutarties 152 straipsnyje šios ribos nebuvo praplėstos. Priešingai, – 152 straipnio 5 dalyje aiškiai sakoma, jog ,,Bendrija savo veikloje visuomenės sveikatos srityje visiškai pripažįsta valstybių narių atsakomybę už sveikatos paslaugų ir sveikatos priežiūros organizavimą bei teikimą“[357]. Ši nuostata išreiškia ES sveikatos politikos dichotomiją: visuomenės sveikatos reikalų reguliavime galimas ES

[352] Treaty establishing the European Economic Community, 25 March, 1957.

[353] Konsoliduota Europos Sąjungos Sutartis. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 2-2.

[354] JUŠKEVIČIUS, J. Sąžinės laisvė sveikatos priežiūros srityje ir ES pagrindinės laisvės: kai kurie probleminiai aspektai. *Soter.* 2007, 24(52): 57–73.

[355] CARTABIA, M. Commento all'art. 51 della Carta dei diritti fondamentali dell'Unione Europea//Bifulco R., Celotto A., Cartabia M. (eds.) *L'Europa dei diritti. Commentario alla Carta dei diritti fondamentali dell'Unione europea*. Bologna, Il Mulino. 2001, p. 350–351. In JUŠKEVIČIUS, J. Sąžinės laisvė sveikatos priežiūros srityje ir ES pagrindinės laisvės: kai kurie probleminiai aspektai. *Soter.* 2007, 24 (52): 57–73.

[356] Pavyzdžiui, Europos socialinės chartijos straipsnių paiškinimuose sakoma nedaug – tik tiek, jog čia įtvirtinta nuostata išreiškia principus, kurie išdėstyti EB sutarties 152 straipsnyje ir Europos socialinės chartijos 11 straipsnyje [Text of the explanations relating to the complete text of the Charter as setout in CHARTE 4487/00 CONVENT 50 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-13]. <http://www.europarl.europa.eu/charter/pdf/04473_en.pdf>.

[357] Treaty of Amsterdam amending the treaty on European Union, the treaties establishing the European Communities and certain related acts. [1997] OJ C 340.

ir nacionalinės kompetencijos derinimas, o asmens sveikatos priežiūros organizavimas praktiškai yra išimtinė valstybių ES narių nacionalinės kompetencijos sritis[358]. Todėl, jei keltume klausimą dėl Bendrijos veiksmų retų ligų srityje teisėtumo, pastebėtume, jog jis išryškėja, tik kai ES veiksmų visuomenės sveikatos srityje teisinis pagrindas – t. y. EB sutarties[359] 152 straipsnis, kurio 1 dalyje teigiama: „Aukšto lygio žmonių sveikatos apsauga užtikrinama apibrėžiant ir įgyvendinant visas Bendrijos politikos kryptis ir veiklos rūšis. Bendrijos veiksmais, papildančiais nacionalinę politiką, siekiama gerinti visuomenės sveikatą, vengti žmonių susirgimų bei ligų ir šalinant šaltinius, keliančius pavojų žmonių sveikatai“ suderinamas su EB sutarties 5 straipsnyje įtvirtintu subsidiarumo principu, reiškiančiu, jog „Bendrija imasi veiksmų srityse, kurios nepriklauso jos išimtinei kompetencijai, tik tada ir tokia apimtimi, kai siūlomo veiksmo tikslų valstybės narės negali deramai pasiekti, o Bendrija dėl siūlomo veiksmo masto arba poveikio gali juos pasiekti geriau“. Vadinasi, retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo ES lygiu teisinių prielaidų negalime kildinti nei iš Bendrijos įsipareigojimų žmogaus tesių srityje, nei iš kompetencijos asmens sveikatos priežiūros srityje. Tai darkart patvirtina, jog ir 141/2000/EB reglamento priėmimo nedera traktuoti kaip konkrečių Bendrijos įsipareigojimų retomis ligomis sergančių pacientų asmens sveikatos priežiūros atžvilgiu.

Iš to logiškai seka išvada, jog retomis ligomis sergančių pacientų teisės sveikatos priežiūros srityje praktiškai priklauso nuo jų gyvenamosios valstybės ES narės prisiimamų įsipareigojimų šioje srityje apimties, nes būtent pačios valstybės, atsižvelgdamos į savo socialines ir ekonomines galimybes bei išsivystymą savarankiškai sprendžia teisės į sveikatos priežiūrą turinio detalumą – t. y. kokiu lygiu šią teisę užtikrinti ir kas yra jos subjektai. Todėl teigtina, jog tokiomis teisinėmis iniciatyvomis kaip reglamento „Dėl retųjų vaistų“ priėmimas Bendrija *ne pati užtikrina* ar įgyvendina, bet skatindama retųjų vaistų kūrimą tik *prisideda* prie geresnės retomis ligomis sergančių pacientų asmens sveikatos priežiūros kokybės, o tuo pačiu ir prie jų interesų sveikatos priežiūros srityje įgyvendinimo valstybėse narėse (matyt, todėl aptariama 141/2000/EB reglamento preambulės nuostata, suformuluota vartojant veiksmažodžio tariamąją nuosaką, jog pacientai „*turėtų turėti teisę...*“ (angl. „*should be entitled to...*“)).

Priėjus išvados, kad užtikrinant pacientų teises sveikatos priežiūros srityje pagrindinis vaidmuo tenka valstybėms, dar vienas aktualus klausimas – teisės į sveikatos priežiūrą gynimo teisme galimybės. Darant prielaidą, jog retųjų vaistų prieinamumas tiesiogiai susijęs su teisės į sveikatos priežiūrą įgyvendinimu, svarbu žinoti ar ši teisė yra tik socialinė kolektyvinė (teisnumo lygmens) teisė, kuria gyventojams garantuojami minimalūs sveikatos apsaugos standartai, ar ir

[358] HERVEY, T. K., McHALE, J. V. *Health Law and the Europoean Union*. Cambridge: Cambridge university press, 2004, p. 72.

[359] Consolidated Version of the Treaty Establishing the European Community. [2002] OJ C 325.

individuali (subjektinė) teisė, turinti tiesiogiai įgyvendinamos teisės statusą ir teisminės gynybos priemones.

Konstitucinės teisės specialistai pastebi, jog šiuolaikinėje žmogaus teisių doktrinoje „vis labiau įsitvirtina naujas požiūris į žmogaus socialines teises, kaip individualias teises“ [360]. Deja, nors šiuo metu teisė į sveikatos priežiūrą kaip socialinė kolektyvinė teisė yra įtvirtinama visų Europos šalių konstitucijose[361], atskirų valstybių konstitucinėje doktrinoje ir teismų praktikoje visuotinai pripažinti šią teisę kaip individualią neskubama[362]. Tai paaiškintina tuo, jog teisė į sveikatos priežiūrą kaip ir kitos socialinės teisės siejasi su konkrečiais valstybės įsipareigojimais užtikrinti jų įgyvendinimą, o tai reikalauja nemažų resursų, todėl valstybės lygiu prisiimti konkrečius įsipareigojimus šioje srityje ir juos aiškiai apibrėžti neretai vengiama.

Koks šios teisės statusas Lietuvoje? Ar tikrai teisę į sveikatos priežiūrą galima teigti esant retųjų vaistų prieinamumo teisine prielaida? Ar paciento interesai dėl retųjų vaistų prieinamumo (pvz., kiek tai susiję su suvaržymais dėl šių vaistų įsigijimo kompensavimu) galėtų būti apginti teisme remiantis teisės į sveikatos priežiūrą ir jos prieinamumą argumentu? O gal ši teisė tėra tik programinio pobūdžio valstybės siekis? Atsakymų į šiuos klausimus pasitelkiant Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo praktiką bei atitinkamų Lietuvos Respublikos teisės aktų nuostatas bus ieškoma kituose disertacijos poskyriuose.

2.1.2. Teisės į sveikatos priežiūrą sampratos ypatumai ir raiška nacionalinėje teisėje

2.1.2.1. Teisės į sveikatos priežiūrą konstitucinė doktrina Lietuvoje

Teisė į sveikatos priežiūrą ir abstrakčiai formuluojami kai kurie sveikatos sistemos ir sveikatos priežiūros elementai[363] deklaruojami Lietuvos Respublikos Konstitucijos (toliau – Konstitucijos) IV skyriaus 53 straipsnio 1 dalyje, kurioje teigiama: „Valstybė rūpinasi žmonių sveikata ir laiduoja medicinos pagalbą bei paslaugas žmogui susirgus, o įstatymas nustato piliečiams nemokamos medicinos pagalbos valstybinėse gydymo įstaigose tvarką“. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo (toliau – Konstitucinis Teismas) praktika aiškinant šią normą yra negausi.

[360] ŽILYS, J. Socialinė valstybė konstitucinėje teisėje. *Jurisprudencija.* 2006, 12(90): 17. In BIRMONTIENĖ, T. Šiuolaikinės žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijos. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2007, 1(5): 207.

[361] TOEBES, B. The right to health. In *Economic, social and cultural rights* (ed. A. Eide, C. Krause, A. Rosas). Dordrecht/Boston/London: Martinus Nijhoff Publishers, 2001, p. 173.

[362] GIESEN, D. A Rigt to healtcare? A comparative perspective. In *Justice and healthcare: a comparative perspectives* (ed. A.Grubb, M Mehlman). Chichester: Wiley and Sons, 1996, p. 289.

[363] BIRMONTIENĖ, T. Žmogaus teisės ir jų įtvirtinimas Lietuvos Respublikos konstitucinėje teisėje. *Lietuvos konstitucinė teisė.* Vilnius: LTU, 2004, p. 337. In MARKAUSKAS, L. Konstitucinė teisė į nemokamą gydymą: interpretavimo problemos. *Jurisprudencija.* 2005, 64(56): 133.

Konstitucinis Teismas yra nekart pabrėžęs, jog žmogaus ir visuomenės sveikata yra viena iš svarbiausių visuomenės vertybių[364], o iš Konstitucijos nuostatos, jog ,,valstybė rūpinasi žmonių sveikata“ išplaukia, kad žmonių sveikatos apsauga yra konstituciškai svarbus tikslas ir viešasis interesas[365], taip pat nurodęs, kad rūpinimasis žmonių sveikata ir medicinos pagalbos žmogui susirgus laidavimas traktuotini kaip valstybės funkcija[366]. Sveikatinimo veiklos valdymas ir priežiūra – vienas iš šios funkcijos elementų[367]. Biudžeto, skirto sveikatos apsaugai apimtis yra saistoma esamos socialinės ir ekonominės situacijos, visuomenės ir valstybės poreikių bei galimybių, turimų ir galimų gauti finansinių išteklių bei valstybės įsipareigojimų, kitų svarbių veiksnių[368].

Iš pastarųjų Konstitucinio Teismo teiginių aiškėja, kad teisės į sveikatos priežiūrą kaip ir kitų socialinio pobūdžio teisių ribojimas Lietuvoje yra grindžiamas proporcingumo, teisių pusiausvyros principais ir visuomenės galimybėmis garantuoti jas asmeniui[369]. O valstybės pareiga rūpintis žmonių sveikata siejama su konstituciniu teisingumo principu, Konstitucijoje įtvirtintu socialinės darnos imperatyvu[370].

Pastebėtina, jog Konstitucinis Teismas iki šiol yra pasisakęs tik dėl LRK 53 straipsnio 1 dalies nuostatos ,,valstybė rūpinasi žmonių sveikata“. Tuo tarpu nuostatą „įstatymas nustato piliečiams nemokamos medicinos pagalbos valstybinėse gydymo įstaigose teikimo tvarką“, pasak E. Kūrio, ,,kiekvienas kol kas gali aiškinti kaip tinkamas: konstitucinės doktrinos šiuo klausimu

---

[364] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2004 m. sausio 26 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos alkoholio kontrolės įstatymo 1 straipsnio 4 dalies (1997 m. liepos 2 d. redakcija), 2 straipsnio 1 dalies (1995 m. balandžio 18 d. redakcija), 3 straipsnio 1 dalies 2 punkto (1995 m. balandžio 18 d. redakcija), 4 straipsnio 2 dalies (1998 m. gruodžio 10 d. redakcija), 13 straipsnio (2000 m. liepos 18 d. redakcija), 30 straipsnio 1 dalies (1997 m. liepos 2 d. redakcija) bei 44 straipsnio 4 dalies (2002 m. birželio 20 d. redakcija) ir Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2001 m. sausio 22 d. nutarimu Nr. 67 "Dėl alkoholio produktų gamybos licencijavimo taisyklių patvirtinimo" patvirtintų alkoholio produktų gamybos licencijavimo taisyklių 7 bei 9 punktų (2001 m. sausio 22 d. redakcija) atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 15-465.

[365] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2002 m. kovo 14 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos farmacinės veiklos įstatymo 11 straipsnio 2 dalies atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 28-1003.

[366] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2002 m. sausio 14 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos 2001 metų valstybės biudžeto ir savivaldybių biudžetų finansinių rodiklių patvirtinimo įstatymo (2000 m. gruodžio 19 d. redakcija), Lietuvos Respublikos savivaldybių biudžetų pajamų dydį ir išlyginimą lemiančių rodiklių tvirtinimo 2001, 2002 ir 2003 metams įstatymo ir Lietuvos Respublikos žemės ūkio ekonominių santykių valstybinio reguliavimo įstatymo 16 straipsnio atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 5-186.

[367] *Ibid.*

[368] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2002 m.liepos 11 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymo 39 straipsnio, Lietuvos Respublikos mokslo ir švietimo ilgalaikio finansavimo įstatymo 1, 2 ir 3 straipsnių, Lietuvos Respublikos biudžeto sandaros įstatymo 18 straipsnio 2 dalies ir Lietuvos Respublikos Seimo statuto 172 straipsnio 1 dalies atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai”. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 72-3080.

[369] BIRMONTIENĖ, T. Šiuolaikinės žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijos. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2007, 1(5): 208.

[370] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2005 m. vasario 7 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2000 m. gegužės 8 d. nutarimu Nr. 506 "Dėl Nelaimingų atsitikimų darbe ir profesinių ligų socialinio draudimo išmokų nuostatų patvirtinimo" patvirtintų nelaimingų atsitikimų darbe ir profesinių ligų socialinio draudimo išmokų nuostatų 37 punkto (2000 m. gegužės 8 d. redakcija) atitikties Lietuvos Respublikos nelaimingų atsitikimų darbe ir profesinių ligų socialinio draudimo įstatymo 29 straipsnio 1 daliai (1999 m. gruodžio 23 d., 2001 m. liepos 5 d. redakcijos). *Valstybės žinios.* 2005, Nr. 19-623.

nėra ir nebus, kol nustatyta tvarka konkretus ginčas nebus sprendžiamas Konstituciniame Teisme, kuris vienintelis turi kompetenciją pateikti galutinį ir oficialų Konstitucijos nuostatų išaiškinimą"[371]. Nors ši E. Kūrio tezė nuskambėjo 2002-aisiais, ji tebėra aktuali ir šiandien, nes dėl Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalies nuostatos sakinio antrosios dalies į Konstitucinį Teismą iki šiol kreiptasi nebuvo. Todėl norint suprasti jos turinį, tenka pasitelkti konstitucinės teisės doktriną.

Kol kas aptariamą nuostatą plačiausiai yra analizavęs L. Markauskas[372]. Straipsnyje ,,Konstitucinė teisė į nemokamą gydymą: interpretavimo problemos" jis iš esmės sutapatina ,,teisės į sveikatos priežiūrą" ir ,,teisės į nemokamą gydymą" terminus. Autoriaus manymu, Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalies pirmąjį ir antrąjį sakinius dera aiškinti kartu. Tuomet matyti, jog valstybės pareiga rūpintis žmonių sveikata ir laiduoti medicinos pagalbą žmogui susirgus apima ir nemokamos medicinos pagalbos teikimą, o tai reikštų, jog kalbama apie teisės į nemokamą gydymą užtikrinimą[373]. Įstatymas, kuriuo Konstitucijos normoje pavesta nustatyti nemokamos medicinos pagalbos apimtį yra Lietuvos Respublikos Sveikatos sistemos įstatymas (toliau – LR SSĮ). Jo 2 straipsnio 12 dalyje apibrėžta, kad valstybės laiduojama (nemokama) asmens sveikatos priežiūra yra ,,asmens sveikatos priežiūros paslaugos, apmokamos iš privalomojo sveikatos draudimo fondo, valstybės ar savivaldybių biudžetų"[374], o 47 straipsnyje pateiktas gana platus ir išsamus valstybės laiduojamos (nemokamos) sveikatos priežiūros sričių sąrašas. Jame be būtinosios medicinos pagalbos ir apdraustųjų privalomuoju sveikatos draudimu sričių, taip pat nurodytos grupės asmenų, kurių sveikatos priežiūra apmokama iš valstybės biudžeto lėšų dėl jų specifinės padėties (pvz.: teismo ar teisėsaugos institucijų sulaikytų asmenų, kardomojo kalinimo vietose esančių asmenų, nuteistųjų), sergamų ligų (sergančių tuberkulioze, lytiniu keliu plintančiomis ligomis, ŽIV (AIDS), užkrečiamosiomis, endokrininėmis, psichikos, onkologinėmis ligomis; galūnių, sąnarių, kitų organų protezavimas) ar einamų pareigų (pvz., LR karių, policijos ir kitų vidaus reikalų pareigūnų asmens sveikatos priežiūra). Nors pastarųjų asmenų sveikatos priežiūra yra draudiminio, o ne nemokamo pobūdžio – t. y. tokie asmenys nereguliariai moka sveikatos draudimo įmokas arba tokios įmokos yra mokamos už juos ir galima kelti klausimą, ar LR SSĮ ne per daug išplečia nemokamos sveikatos priežiūros sampratą, autoriaus teigimu, toks reguliavimas tik praplečia valstybės įsipareigojimus

[371] KŪRIS, E. Konstitucija, konstitucinė doktrina ir Konstitucinio Teismo diskrecija. Baltijos ir Skandinavijos šalių konferencija "Konstitucijos aiškinimas ir tiesioginis taikymas", Vilnius, 2002 m. kovo 15–16 d. [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-23]. <http://www.lrkt.lt/PKonferencijose/12.pdf >.

[372] MARKAUSKAS, L. Konstitucinė teisė į nemokamą gydymą: interpretavimo problemos. *Jurisprudencija*. 2005, 64(56): 132–139.

[373] *Ibid*., p. 133.

[374] Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 63-1231; 1998, Nr. 112-3099; 2000, Nr. 92-2876; 2004, Nr. 68-2367, 2372; Nr. 171-6309; 2007, Nr. 64-2456; 2008, Nr. 50-1850.

sveikatos draudimo sistemą organizuoti taip, kad gydymas būtų prieinamas kaip įmanoma gausesniam asmenų būriui[375].

Reikia pripažinti, jog tokia aptariamos nuostatos interpretacija yra įmanoma, logiškai pagrįsta. Kita vertus, Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalies formuluotė itin lakoniška, todėl būtų galima ir suabejoti, ar šią nuostatą tikrai galima traktuoti kaip aiškiai išreikštą konstitucinį valstybės įsipareigojimą teikti asmenims nemokamą medicinos pagalbą. Todėl vėl tenka grįžti prie E. Kūrio išvados, kad ,,kol Konstitucinis Teismas nėra suformulavęs savo pozicijos dėl šios Konstitucijos nuostatos turinio prasmės, dėl jos galima ginčytis be galo, ir gali būti toleruojamos įvairios nuomonės, bet tai – tik teorinės diskusijos“[376].

Pagal teisių įgyvendinimo pobūdį konstitucinės teisės gali būti skirstomos į kolektyvines teises, kurias asmuo būdamas tam tikros grupės nariu gali įgyvendinti kartu su kitais ir individualias teises, kurioms garantuojama teisminė gynyba. Išskiriamos ir vadinamosios socialinės programinio pobūdžio (valstybės įsipareigojimo visuomenei) teisės[377]. Aiškinantis paskutinįjį klausimą – t. y. ar teisė į sveikatos priežiūrą nacionalinėje teisėje yra pripažįstama kaip subjektinė (individuali) teisė praverčia K. Lapinsko ir ypač T. Birmontienės tyrimai, kuriuose plačiau analizuojama Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalis. Pastebėtina, jog kalbėdami apie šios normos turinį abu konstitucinės teisės specialistai vartoja skirtingas jo esmę nusakančias teisines formuluotes – K. Lapinskas kalba apie ,,teisę į sveikatos apsaugą“, o T. Birmontienė vartoja ,,teisės į sveikatos priežiūrą“ terminą. Šiek tiek skiriasi ir jų įžvalgos nagrinėjamu klausimu.

T. Birmontienė pastarųjų metų straipsniuose analizuodama socialinių teisių interpretavimą Konstitucinio Teismo jurisprudencijoje[378], Konstitucinio Teismo jurisprudencijos įtaką sveikatos teisės raidai Lietuvoje[379], šiuolaikines žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijas[380] pastebėjo, kad Konstitucinis Teismas interpretuodamas Konstitucijos 53 straipsnyje įtvirtintą teisę į sveikatos priežiūrą mini abu šios teisės aspektus (tiek socialinį, tiek individualų), tačiau kartu konstatuoja, jog dažniau ši teisė yra ,,aiškinama kaip socialinė, programinio pobūdžio teisė, kuri

[375] MARKAUSKAS, L. Konstitucinė teisė į nemokamą gydymą: interpretavimo problemos. *Jurisprudencija*. 2005, 64(56): 137.

[376] KŪRIS, E. Konstitucija, konstitucinė doktrina ir Konstitucinio Teismo diskrecija. Baltijos ir Skandinavijos šalių konferencija "Konstitucijos aiškinimas ir tiesioginis taikymas". Vilnius, 2002 m. kovo 15–16 d. [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-23]. <http://www.lrkt.lt/PKonferencijose/12.pdf>.

[377] BIRMONTIENĖ, T. Žmogaus teisių ir konstitucinių teisių santykis. In *Žmogaus teisių konstitucinė samprata. In Lietuvos konstitucinė teisė: raida, institucijos, teisių apsauga, savivalda.* Autorių kolektyvas. Vilnius: Mykolo Romerio universiteto Leidybos centras, 2007, p. 319.

[378] BIRMONTIENĖ, T. Social rights in the jurisprudence of the Constitutional Court of Lithuania. *Jurisprudencija*. 2008, 9(111): 7–19.

[379] BIRMONTIENĖ, T. The influence of the rulings of the Constitutional Court on the development of health law in Lithuania. *European Journal of Health Law*. 2007, 14: 333.

[380] BIRMONTIENĖ, T. Šiuolaikinės žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijos. *Konstitucinė jurisprudencija*. 2007, 1(5): 202–216.

įpareigoja valstybę rūpintis visos visuomenės sveikata[381], o ne kaip individuali teisė gauti tam tikras Konstitucijos garantuojamas sveikatos priežiūros paslaugas“[382]. Tačiau T. Birmontienė pripažįsta, kad kai kuriais atvejais ši skiriamoji riba yra labai plona[383]. Autorės manymu, tai, jog iki šiol teisė į sveikatos priežiūrą Konstitucinio Teismo dokumentuose yra dažniau traktuojama ne kaip individuali pacientų teisė iš dalies paaiškintina ir tuo, jog ši teisė kaip ir kitos socialinės teisės LR Konstitucijoje yra įtraukta į IV skyrių ,,Tautos ūkis ir darbas“. Kita galima priežastis ta, jog Lietuvoje iki šiol nėra individualaus konstitucinio skundo instituto – t. y., kad dėl Konstitucijos 105 straipsnyje nurodytų atitinkamų teisės aktų atitikimo Konstitucijai į Konstitucinį Teismą gali kreiptis tik Respublikos Prezidentas, Vyriausybė, ne mažiau kaip 1/5 visų Seimo narių, taip pat teismai, bet ne fiziniai asmenys[384].

K. Lapinskas, nagrinėdamas asmens socialinių teisių apsaugos klausimus Konstitucinio Teismo jurisprudencijoje[385], atkreipia dėmesį į, pasak jo, ,,įdomų vienos iš socialinių teisių – teisės į sveikatos apsaugą – aspektą“ – t. y., ,,kad ši teisė *yra ne tik kaip individuali žmogaus teisė* į sveikatos apsaugą, *bet ir kaip* kolektyvinė teisė, t. y. viešasis interesas“[386]. Akcentuodamas galimą šios teisės sampratos dvilypumą K. Lapinskas nesvarsto nei individualios, nei kolektyvinės ,,teisės į sveikatos apsaugą“ sampratų skirtumų, tačiau manytina, kad pacituota K. Lapinsko teiginio formuluotė rodo, jog autoriui nekyla abejonių, jog ,,teisė į sveikatos apsaugą“ gali nebūti traktuojama kaip *individuali* žmogaus teisė. Atvirkščiai – šis požymis paminėtas pirmiausiai. Tačiau K. Lapinskas kaip ir T. Birmontienė konstatuoja, jog Konstitucinis Teismas savo praktikoje daugiausia yra aiškinęs šią teisę kaip viešąjį interesą ir, kad juo pateisinamas kai kurių kitų teisių ir (arba) laisvių, pvz., žodžio laisvės, informacijos laisvės ar nuosavybės teisės ribojimas[387].

Peržvelgus Konstitucinio Teismo jurisprudenciją, iš tiesų, matyti, jog Konstitucinis Teismas dėl Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalies iki šiol yra pasisakęs tik netiesiogiai – t. y. bylose, kurios arba buvo susijusios su Lietuvos Respublikos biudžeto sudarymu, arba ši nuostata buvo aiškinama kitų konstitucinių teisių kontekste, pavyzdžiui teisės į darbą (LRK 48 str.), teisės į informaciją (LRK 25 str.), teisės į privatų gyvenimą (LRK 22 str.), ekonominės veiklos laisvės (LRK 46 str.), teisės į socialinę paramą (LRK 52 str.). Tačiau, net ir esant oficialios konstitucinės jurisprudencijos trūkumui šiuo klausimu (Konstitucinis Teismas formuluotės ,,teisė į sveikatos priežiūrą (apsaugą)“ apskritai nėra pavartojęs), tvirtinti, jog Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalis negalėtų būti

[381] BIRMONTIENĖ, T. Šiuolaikinės žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijos. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2007, 1(5): 208.

[382] *Ibid.*, 207–208.

[383] BIRMONTIENĖ, T. The influence of the rulings of the Constitutional Court on the development of health law in Lithuania. *European Journal of Health Law*. 2007, 14: 333.

[384] *Ibid.*, p. 324.

[385] LAPINSKAS K. Asmens socialinių teisių apsaugos klausimai Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo jurisprudencijoje. *Konstitucinė jurisprudencija*. 2006, 4: 355–370.

[386] *Ibid.*, p. 362.

[387] *Ibid.*

interpretuojama kaip įtvirtinanti individualią teisę į sveikatos priežiūrą taip pat nėra jokio pagrindo. Juolab, jog pasak J. Žilio, ,,vis aiškiau pastebima, kad oficialiojoje konstitucinėje doktrinoje ne tik nekvestionuojamas socialinis valstybingumas, bet vis intensyviau disponuojama konstitucinėmis vertybėmis, postuluojančiomis valstybės socialines priedermes"[388].

Mėginant įžvelgti teisės į sveikatos priežiūrą ir kitų socialinių asmens teisių konstitucinės doktrinos plėtotę, galima pritarti T. Birmontienės minčiai, jog ateityje atsirasiantis individualaus konstitucinio skundo institutas smarkiai paveiks konstitucinę žmogaus teisių doktriną ir moderniųjų teisių – tarp jų ir asmens teisių sveikatos priežiūros srityje aspektu[389]. O kol kas tenka pripažinti, jog ginant pacientų teises svarbiausias vaidmuo tenka teismams, tiek taikant teisę, pirmiausia aukščiausiąją teisę – Konstituciją, tiek žemesnės galios teisės akte esančias teisės spragas užpildant *ad hoc.* Net ir nesant aiškios konstitucinės doktrinos dėl teisės į sveikatos priežiūrą, kiekvienas asmuo, manantis, jog jo teisė sveikatos priežiūros srityje kaip ir bet kuri kita jo teisė ar laisvė buvo pažeista gali kreiptis į teismą[390]. Ši teisė Konstitucinio Teismo jurisprudencijoje vertinama kaip negalima riboti ar paneigti: ,,teisės kreiptis į teismą įgyvendinimą lemia paties asmens suvokimas, kad jo teisės ar laisvės pažeidžiamos; asmens pažeistos teisės, *inter alia* įgytosios teisės ir teisėti interesai teisme turi būti ginami nepriklausomai nuo to, ar jie yra tiesiogiai įtvirtinti Konstitucijoje; asmens teisės turi būti ginamos ne formaliai, o realiai ir veiksmingai tiek nuo privačių asmenų, tiek nuo valdžios institucijų ar pareigūnų neteisėtų veiksmų"[391].

Lietuvoje gindami savo teises pacientai gali pasiremti ne tik Konstitucija, bet ir specialiu teisės aktu – Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymu (toliau – LR PTŽSAĮ)[392]. Lyginant 1996 metų ir 2005 metų LR PTŽSAĮ redakcijų 3 ir 4 straipsnius matyti, jog per dešimtmetį ,,teisės į sveikatos priežiūrą" ir ,,teisės į prieinamą sveikatos priežiūrą" sampratos buvo pakoreguotos. Šiuo metu rengiamas naujas LR PTŽSAĮ projektas vėl koreguojantis šių teisių statusą. Siekiant geriau įvertinti retomis ligomis sergančių pacientų teisių apsaugos būklę Lietuvoje, kitame disertacijos skirsnyje apžvelgsime šių ,,teisių" sampratų LR PTŽSAĮ pokyčius.

[388] ŽILYS, J. Konstitucijos socialinės prasmės. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2006, 4: 320–321.

[389] BIRMONTIENĖ, T. Šiuolaikinės žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijos. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2007, 1(5): 202.

[390] Konstitucijos 6 str. 2 d. nustatyta, kad kiekvienas savo teises gali ginti remdamasis Konstitucija, o 30 str. 1 d., – kad asmuo, kurio konstitucinės teisės ar laisvės pažeidžiamos, turi teisę kreiptis į teismą [Lietuvos Respublikos Konstitucija. *Valstybės žinios.* 1992, Nr. 33-1014.].

[391] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2006 m. kovo 28 d. nutarimas ,, Dėl Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo įstatymo 62 straipsnio 1 dalies 2 punkto, 69 straipsnio 4 dalies (1996 m. liepos 11 d. redakcija), Lietuvos Respublikos teismų įstatymo 11 straipsnio 3 dalies (2002 m. sausio 24 d. redakcija), 96 straipsnio 2 dalies (2002 m. sausio 24 d. redakcija) atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 36-1292.

[392] Lietuvos Respublikos Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 1996, Nr. 102-2317.

2.1.2.2. Teisė į sveikatos priežiūrą ir jos prieinamumą Lietuvos Respublikos pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatyme

Lietuva viena iš pirmųjų Europos valstybių, paciento teises įtvirtinusi specialiu įstatymu. Lietuvos Respublikos pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymas[393] mūsų šalyje buvo priimtas 1996 metais kartu su dauguma kitų sveikatos priežiūros sritį norminančių teisės aktų. Paciento, kuris apibrėžtas kaip asmuo besinaudojantis asmens sveikatos priežiūra nepriklausomai nuo to ar jis sveikas, ar ligonis[394] teisė į sveikatos priežiūrą buvo įtvirtinta 3 straipsnyje. Įstatymų leidėjas aptarė šios teisės dimensijas: paciento teisę į kvalifikuotą sveikatos priežiūrą, teisę į skausmo malšinimą ir į pagarbų elgesį bei nurodė, kad sveikatos priežiūros paslaugų teikimas turi būti grindžiamas paciento nediskriminavimo principu[395]. Kadangi paciento teisė į sveikatos priežiūrą numatant jos įgyvendinimo ir apsaugos mechanizmą buvo įtvirtinta įstatymiškai, J. Kutkauskienės manymu, tai leidžia teigti, jog ši iki tol buvusi teisnumo lygmens teisė buvo paversta subjektine teise, o tai reiškia, kad valstybė pripažino sveikatos priežiūros poreikį kaip saugomą interesą, suteikdama pacientui teisę ginti jį teisme[396]. Su tokia autorės nuomone galima sutikti.

Ši išvada pritaikytina ir LR PTŽSAĮ įstatymo 4 straipsnyje įtvirtintai paciento teisei į prieinamą sveikatos priežiūrą, kurią Įstatymų leidėjas susiejo su paciento teise gauti nemokamą sveikatos priežiūrą, kompensuojamą iš valstybės ar savivaldybių biudžetų bei teise gauti sveikatos priežiūros paslaugas kompensuojamas iš privalomojo sveikatos draudimo lėšų, taip pat būtinąją medicinos pagalbą. Išanalizavus atitinkamas Lietuvos Respublikos Sveikatos draudimo įstatymo (toliau – LR SDĮ) ir kitų įstatymų, kuriems pavesta išsamiau nustatyti teisės į prieinamą sveikatos priežiūrą sąlygas, nuostatas matyti, jog Lietuvoje 1996 metais buvo deklaruoti aukšti paciento teisių sveikatos apsaugos srityje įgyvendinimo standartai. Galima teigti, jog LR PTŽSAĮ 4 straipsnio 1 dalis garantavo visiems apdraustiesiems visų rūšių nemokamos asmens sveikatos priežiūros paslaugų teikimą, jei tam nustatytos medicininės indikacijos, taip pat būtinosios pagalbos prieinamumą visiems pacientams[397].

2005 metų sausio 1 dieną įsigaliojo LR PTŽSAĮ pakeitimo įstatymas[398]. Atskirai aptariant pokyčius, susijusius su ką tik aptartais abiem straipsniais – t. y. paciento[399] teise į sveikatos

[393] Lietuvos Respublikos Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 1996, Nr. 102-2317.

[394] 1 str. 1 d. [Lietuvos Respublikos Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 1996, Nr. 102-2317.

[395] KUTKAUSKIENĖ, J. Paciento teisių ir pareigų teisinio reglamentavimo Lietuvoje problematika ir raidos tendencijos. *Jurisprudencija.* 2008, 12(114): 84.

[396] *Ibid.*

[397] *Ibid.*, p. 84–85.

[398] Lietuvos Respublikos Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo pakeitimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 115-4284.

priežiūrą ir teise į prieinamą sveikatos priežiūrą pirmiausia pastebimi pakeisti šias teises ankstesnėje įstatymo redakcijoje reglamentavę 3 ir 4 straipsnių pavadinimai. 3 straipsnyje įterpta ,,kokybės“ sąvoka, įtvirtinant paciento *teisę į kokybišką sveikatos priežiūrą,* o 4 straipsnio pavadinimas transformuotas iš teisės į prieinamą sveikatos priežiūrą į *teisę į sveikatos priežiūros prieinamumą*.

Trumpai panagrinėjant tokių pakeitimų reikšmę, matyti, jog dominuojančia 3 straipsnio nuostata iš esmės tapo paciento teisė į kvalifikuotą sveikatos priežiūrą, kadangi LR PTŽSAĮ pakeitimo įstatymo 2 straipsnio, apibrėžiančio pagrindines įstatyme vartojamas sąvokas 5 dalyje įtvirtinti sveikatos priežiūros kokybės kriterijai susieti su dviem pagrindiniais parametrais – t. y. su sveikatos priežiūros normų bei kitų teisės aktų laikymusi teikiant sveikatos priežiūros paslaugas ir asmenų, vykdančių jas veiklos teisėtumu (nurodyta, jog sveikatos priežiūrą gali vykdyti asmenys turintys medicinos ar kitos atitinkamos praktikos licencijas sveikatos priežiūros įstaigose, turinčiose licenciją teikti sveikatos priežiūros paslaugas). Tokia kokybės samprata atrodo siauroka, jei lyginsime su ta, kokia pateikta Sveikatos priežiūros kokybės užtikrinimo programoje (2005–2010 m.)[400], kur kokybė nusakyta kaip ,,laipsnis, kuriuo sveikatos priežiūros paslaugos, atitinkančios šiuolaikines profesines žinias, asmeniui ir visuomenei padidina pageidaujamų sveikatos rezultatų tikimybę“, kai ,,dabartinės profesinės žinios reiškia, kad sveikatos priežiūros specialistai turi teikti sveikatos priežiūros paslaugas, atitinkančias šiuolaikinius nuolat kintančius medicinos mokslo teorijos ir praktikos pasiekimus, o pageidaujamų sveikatos rezultatų sąvoka apima ir pacientų pasitenkinimą sveikatos priežiūra“[401].

Pacientų teisių apsaugos užtikrinimo atžvilgiu kaip reikšmingas traktuotinas ir LR PTŽSAĮ 4 straipsnio pervadinimas bei lakoniškiau nei ankstesnėje įstatymo redakcijoje nurodytos šios teisės įgyvendinimo sąlygos – t. y., kad jas gali numatyti ,,įstatymai ir kiti teisės aktai“. J. Kutkauskienė dėl tokio fakto išreiškė nuomonę, jog taip buvo reikšmingai išplėstas teisės aktų, kuriuose galėtų

---

[399] Naujoje LR PTŽSAĮ redakcijoje patikslintas sąvokos ,,pacientas“ apibrėžimas. 2 str. 1 dalyje nustatyta, kad pacientas – tai ,,asmuo, kuris naudojasi sveikatos priežiūros įstaigų teikiamomis paslaugomis, nepaisant to, ar jis sveikas, ar ligonis, ir gaudamas šias paslaugas turi įstatymų nustatytas teises bei pareigas“ [Lietuvos Respublikos Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo pakeitimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 115-4284.]. Ši sąvoka lyginant su ankstesniąja aiškiau nusako paciento teisinio statuso atsiradimo ir pabaigos momentus – t. y. pacientu tampama nuo kreipimosi į sveikatos priežiūros įstaigą momento. Šis statusas pasibaigia suteikus jam reikiamas asmens sveikatos priežiūros paslaugas [Lietuvos Aukščiausiojo Teismo 2004 m. sausio 13 d. nutartis „Dėl valstybės laiduotos nemokamos sveikatos priežiūros paslaugų teikimo sistemoje tarp paciento ir sveikatos priežiūros įstaigos susiklostančių teisinių santykių pobūdžio ir galimumo nutraukti tokių paslaugų teikimą“. *Teismų praktika.* 2004, Nr. 21.].

[400] Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministro 2004 m. rugsėjo 14 d. įsakymas Nr. V-642 ,,Dėl sveikatos priežiūros kokybės užtikrinimo 2005–2010 m. programos patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 144-5268. 2007 metais buvo priimta nauja Programos redakcja [Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministro 2007 m. rugpjūčio 31 d. įsakymas Nr. V-711 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2004 m. rugsėjo 14 d. įsakymo Nr. V-642 "Dėl Sveikatos priežiūros kokybės užtikrinimo 2005–2010 m. programos patvirtinimo" pakeitimo”. *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 108-4429.].

[401] Tai JAV Medicinos instituto formuluojama sveikatos priežiūros kokybės samprata, kurią Programos leidėjai pasitelkė iš šaltinių: *Statement on Quality of Care. National Roundtable on Health Care Quality* (ed. M. S. Donaldson). Institute of Medicine, The National Academies Press, 1998; *Measuring the Quality of Health Care. Institute of Medicine*. The National Academies Press, 1999.

būti nustatytos paslaugų prieinamumą ribojančios sąlygos, sąrašas (pvz., kad tam tikri apribojimai gali būti nustatyti ir Sveikatos priežiūros įstaigų restruktūrizavimo strategijose, Sveikatos apsaugos ministro įsakymuose ir pan.)[402]. Tačiau šiai nuomonei galima pritarti tik iš dalies. Reikia pastebėti, jog atsižvelgiant į Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalies nuostatą, kad „*įstatymas* nustato piliečiams nemokamos medicinos pagalbos valstybinėse gydymo įstaigose teikimo tvarką“, teisėtais būtų laikytini tik LR įstatymuose, o ne poįstatyminiuose aktuose numatyti teisės į prieinamą sveikatos priežiūrą apribojimai. Vadinasi, poįstatyminiais teisės aktais nustatydamos kokius nors teisės į nemokamą gydymą apribojimus kitos, nei Seimas valstybės valdymo institucijos viršytų savo kompetenciją arba jų apribojimai būtų laikomi teisėtais tiek, kiek atspindėtų LR SDĮ ar kituose įstatymuose tiesiogiai nustatytus sveikatos priežiūros paslaugų ar vaistų įsigijimo išlaidų kompensavimo pagrindus ir sąlygas.

Kitaip yra traktuotinas tam tikrų ribojimų numatymas pačiame LR SDĮ. Teoriškai, esant medicininėms indikacijoms asmenims, turintiems teisę į iš privalomojo sveikatos draudimo lėšų apmokamas paslaugas, ribojančių sąlygų pasinaudoti sveikatos priežiūros paslaugomis nėra. Tačiau pavyzdžiui, teisės į prieinamą sveikatos priežiūrą apribojimu galima laikyti LR SDĮ pakeitimo įstatymo[403], įsigaliojusio 2003 metų sausio 1 dieną, 27 straipsnio 2 dalies nuostatą, įpareigojančią teritorines ligonių kasas apmokėti sąskaitas už suteiktas sveikatos priežiūros paslaugas neviršijant jiems skirtų asignavimų ir nuo tada pagal *ad hoc* tvirtinamus Privalomojo sveikatos draudimo fondo (toliau – PSDF) biudžeto rodiklių įstatymus bei PSDF biudžeto lėšų paskirstymą teritorinėms ligonių kasoms reglamentuojančius teisės aktus[404].

Atsakyti, ar išvardintus pokyčius galima vertinti kaip subjektinio lygio paciento teisės į prieinamą sveikatos priežiūrą perkėlimą į teisnumo lygmens socialinių teisių sąrašą, nėra paprasta, nes atitinkamos teismų praktikos Lietuvoje nėra. Svarstant teoriškai, akivaizdu, jog aptariama LR SDĮ pakeitimo įstatymo norma dėl ribotų asignavimų yra sietina su racionaliu privalomo sveikatos draudimo lėšų planavimu ir paskirstymu. Kita vertus, kiekviena subjektinė teisė turi socialinę vertę tiek, kiek ją galima įgyvendinti. Nors teisės į sveikatos priežiūros prieinamumą įgyvendinimas yra praktiškai priklausomas nuo Įstatymų leidėjo valios (tai liudija ir LR SDĮ įtvirtinti šios teisės įgyvendinimo apsunkinimai), teigtina, jog ji gali būti ginama teisme. Taigi teoriškai ją galima traktuoti kaip pacientų subjektinę teisę.

2008 metais pradėtas rengti Lietuvos Respublikos pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo pakeitimo įstatymo projektas[405]. Užregistruotame įstatymo projekte teisė į sveikatos

[402] KUTKAUSKIENĖ, J. Paciento teisių ir pareigų teisinio reglamentavimo Lietuvoje problematika ir raidos tendencijos. *Jurisprudencija.* 2008, 12(114): 86.

[403] Lietuvos Respublikos Sveikatos draudimo įstatymo pakeitimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 123-5512.

[404] KUTKAUSKIENĖ, J. *op. cit.,* p. 85–86.

[405] Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo pakeitimo įstatymo projektas Nr. XP-2817.

priežiūros prieinamumą paciento teisių sąraše apskritai nenumatyta. Tai reiškia, kad priėmus siūlomą įstatymo projektą pacientas netektų subjektinės teisės į sveikatos priežiūros prieinamumą ir sveikatos priežiūros prieinamumas tebūtų tik viena iš sveikatinimo veiklos būtinųjų sąlygų (LR SSĮ 15 str. 1 d. 2 punktas) ir vienas iš sveikatinimo veiklos reguliavimo principų (LR SSĮ 5 str. 1 d. 5 punktas)[406]. Kadangi LR SSĮ „prieinamumo“ sąvoka apibrėžta gana abstrakčiai – t. y. kaip valstybės nustatyta tvarka pripažįstamas sveikatos priežiūros sąlygos, užtikrinančios asmens sveikatos priežiūros paslaugų ekonominį, komunikacinį ir organizacinį priimtinumą asmeniui ir visuomenei (2 str. 10 d.)[407], sveikatos priežiūros prieinamumą būtų galima traktuoti tik kaip teisnumo lygio socialinę teisę naudotis asmens sveikatos priežiūros paslaugų prieinamumu kaip sveikatos sistemos savybe[408].

2.1.2.3. Teisės į sveikatos priežiūrą ir vaistų prieinamumo užtikrinimo sąsajos

Toliau nagrinėjant valstybės įsipareigojimų dėl vaistų prieinamumo užtikrinimo pacientams teorinius pagrindus reikia išsiaiškinti ir vaistų prieinamumo koncepcijos nacionalinėje teisėje turinį bei atsakomybės už jo užtikrinimą klausimą, nes vaistų prieinamumo teisinės garantijos neabejotinai sietinos su pacientų teisės į sveikatos priežūrą įgyvendinimu. Juk kokybiška sveikatos priežiūra neįsivaizduojama be saugių ir veiksmingų vaistų.

Konkreti „vaistų prieinamumo“ sąvoka Lietuvos teisės aktuose neapibrėžta. Kad gydymas vaistais yra vienas iš asmens sveikatos priežiūros paslaugų komponentų rodo LR SSĮ struktūra ir sisteminis jo 20 straipsnio aiškinimas[409]. Be to Farmacijos įstatyme Įstatymų leidėjas kalba apie Lietuvos gyventojų aprūpinimo vaistais organizavimą bei koordinavimą, taip pat geresnį kaimo vietovių aprūpinimą vaistais[410], – taigi teritorinį vaistų prieinamumą. „Prieinamumo“ terminas kaip sinonimas vartojamas ir kalbant apie su vaistų įperkamumu susijusias problemas (kompensavimą,

[406] Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymo pakeitimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 1998, Nr. 112-3099.

[407] Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 63-1231; 1998, Nr. 112-3099; 2000, Nr. 92-2876; 2004, Nr. 68-2367, 2372; Nr. 171-6309; 2007, Nr. 64-2456; 2008, Nr. 50-1850.

[408] LR SSĮ sveikatos priežiūros prieinamumo apibrėžimo turinys plačiau nėra paaiškintas. Poįstatyminių teisės aktų nuostatos dėl sveikatos priežiūros prieinamuo kriterijų turinio aiškumo suteikia taip pat ne itin daug: organizacinio priimtinumo kriterijumi laikomas sveikatos priežiūros teikimo savanoriškumo principas, kurio išraiška – paciento laisvas kreipimasis dėl paslaugų bei nustatyta bendroji specializuotos pagalbos teikimo sąlyga – gydytojo siuntimas. Kai kurie komunikacinio sveikatos priežiūros priimtinumo kriterijai nustatyti 2003 m. kovo 18 d. Lietuvos Respublikos Vyriausybės patvirtintoje Sveikatos priežiūros įstaigų restruktūrizavimo strategijoje [*Valstybės žinios.* 2003, Nr. 28-1147], o ekonominio priimtinumo kriterijus niekada nebuvo nustatytas.

[409] Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 63-1231; 1998, Nr. 112-3099; 2000, Nr. 92-2876; 2004, Nr. 68-2367, 2372; Nr. 171-6309; 2007, Nr. 64-2456.

[410] 8 str. 15 d. 1 punktas; 41 str. [Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 78-3056.].

kainų derinimą ir pan.)[411]. Taigi galima teigti, jog teritorinis ir ekonominis (kainos) aspektai yra dvi vaistų prieinamumo sampratos sudedamosios dalys.

Teoriškai kaip ir kiekvienoje valstybėje, taip ir Lietuvoje atsižvelgiant į šalies sveikatos draudimo mastus, kitas valstybinio lygio priemones ir įsipareigojimus, turėtų būti sudaromos galimybės gyventojams įsigyti reikiamų vaistų tiek teritoriniu, tiek ekonominiu požiūriu[412]. Todėl ,,vaistų prieinamumas“ nusakytinas kaip valstybės nustatyta tvarka pripažįstamos sąlygos, užtikrinančios sklandų gyventojų aprūpinimą vaistais. Kadangi Farmacijos įstatymo 35 straipsnio 8 dalyje nurodyta, jog vaistinės gali vykdyti veiklą tik su registruotais vaistiniais preparatais arba tam tikrais atvejais su leistais vartoti sveikatos priežiūrai neregistruotais vaistiniais preparatais, ,,vaistų prieinamumo“ sampratą galima konkretizuoti teigiant, jog ji apima valstybės užtikrintas galimybes savalaikiai (operatyviai) Lietuvoje įsigyti ir naudoti kainos požiūriu asmeniui ir visuomenei priimtinų, saugių, kokybiškų ir veiksmingų tiek registruotų, tiek moksliškai pagrįstų, bet nustatyta tvarka dar neįregistruotų vaistų, skirtų sveikatos priežiūrai. Kad į valstybės konstitucinio įsipareigojimo rūpintis žmonių sveikata ir laiduoti medicinos pagalbą bei paslaugas žmogui susirgus apimtį patenka ir farmacinė veikla, taigi ir vaistų prieinamumo garantijos rodo ir Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2002 metų kovo 14 dienos nutarimas. Aiškindamas teisėkūros institucijų pareigą nustatyti tam tikros srities teisinį reguliavimą, Konstitucinis Teismas jame teigė, jog ,,Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalies nuostata suponuoja tai, kad įstatymais ir kitais teisės aktais būtų nustatytas toks farmacinės veiklos teisinis reguliavimas, kuris sudarytų prielaidas sukurti platų vaistinių tinklą, kad vaistinėse būtų pakankamai kokybiškų, efektyvių ir saugių vaistų, kad aprūpinimo vaistais sistema veiktų sklandžiai, kad būtų reguliuojamos vaistų kainos, kad nebūtų apsunkintas vaistų įsigijimas, kad informacija apie vaistus ir jų vartojimą būtų laisvai prieinama bei tinkamai skelbiama ir kt.;“ taip pat, kad ,,valstybė privalo kontroliuoti, kad farmacinė veikla būtų vykdoma žmogaus sveikatos labui ir visuomenės sveikatinimui”[413]. Todėl Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalis yra traktuotina kaip vaistų prieinamumo garantijų ir pacientų lūkesčių dėl tokių valstybės veiksmų pagrįstumo argumentas.

Ką tik cituotas Konstitucinio Teismo išaiškinimas iš esmės atsispindi 2003 metais priimtose Nacionalinės vaistų politikos nuostatose[414]. Pastarojo dokumento pratarmėje teigiama, jog ,,valstybė vykdo vaistų politiką siekdama užtikrinti asmens ir visuomenės gydymosi vaistais poreikius“. Garantijos, kurias valstybė turėtų užtikrinti gyventojams čia išdėstytos dvidešimtyje punktų.

[411] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2009 m. liepos 10 d. įsakymas Nr. V-572 ,,Dėl Vaistų prieinamumo gerinimo ir jų kainų mažinimo priemonių plano patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2009, Nr. 87-3715.

[412] JANKAUSKIENĖ, D., PEČIŪRA, R. *Sveikatos politika ir valdymas*. Vilnius: MRU, 2007, p. 125–130.

[413] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2002 m. kovo 14 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos farmacinės veiklos įstatymo 11 straipsnio 2 dalies atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai”. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 28-1003.

[414] Lietuvos Respblikos Seimo 2003 m.birželio 5 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos nacionalinės vaistų politikos nuostatų patvirtinimo”. *Valstybės žinios.* 2003, Nr. 56-2488.

Atsižvelgiant į aptariamo dokumento teisinę galią šios nuostatos yra vertintinos daugiau kaip gairės teisėkūros institucijoms, o ne konkrečių valstybės į(si)pareigojimų sąrašas, tačiau jos padeda sukonkretinti vaistų prieinamumo sampratos turinį.

Ekonominio vaistų prieinamumo garantijas atspindi Nacionalinės vaistų politikos nuostatų 5, 6 ir 7 punktai, kur nurodyta būtinybė nustatyti ligas, sindromus ir būkles bei vaistus, kurių vartojimas šių ligų, sindromų ar būklių atvejais yra pagrįstas, o gyventojų išlaidos įsigyjant šiuos vaistus ambulatorinio gydymo metu yra visiškai ar iš dalies kompensuojamos. Lietuvos Respublikos vaistų kompensavimo teisiniai pagrindai sukurti 1996 metais priėmus Sveikatos draudimo įstatymą[415] ir jam įgyvendinti skirtus poįstatyminius teisės aktus. Šiuo metu vaistų kompensavimo sistemos reglamentavimo pagrindas yra LR SDĮ 10 straipsnis, kuriame įtvirtinti išlaidų vaistams, išrašytiems apdraustųjų ambulatoriniam gydymui, kompensavimo apribojimai – t. y.: 1) kompensuojamos išlaidos ne visiems vaistams, o tik tiems, kurie įrašyti į Ligų ir kompensuojamųjų vaistinių preparatų joms gydyti sąrašą (A sąrašas) ir į Kompensuojamųjų vaistinių preparatų sąrašą (B sąrašas socialinėms asmenų grupėms)[416]; 2) kompensuojama ne visa kompensuojamųjų vaistų įsigijimo kaina, o tik bazinė kaina[417], kuri apskaičiuojama Vyriausybės nustatyta tvarka[418]; 3) bazinė kompensuojamųjų vaistų kaina kompensuojama ne visiems apdraustiesiems, o tik išvardintiems šio įstatymo 10 straipsnio 2 dalyje[419]; 4) 100, 90, 80 arba 50 procentų bazinės kompensuojamųjų vaistų ir medicinos pagalbos priemonių ambulatoriniam gydymui kainos kompensuojama apdraustiesiems, nepaminėtiems 10 straipsnio 2 dalyje, kuriems diagnozuotos ligos, sindromai ir būklės, įrašyti į Ligų ir kompensuojamųjų vaistų joms gydyti sąrašą arba Kompensuojamųjų medicinos pagalbos priemonių sąrašą pagal kompensavimo lygius. Šių tiesiogiai įstatyme nustatytų apribojimų visuma iš esmės yra mechanizmas, skirtas teisinėmis

[415] Lietuvos Respublikos Sveikatos draudimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 1996, Nr. 55-1287; 2002, Nr. 123-5512; 2005, Nr. 67-2402.

[416] Lietuvoje vaistai ir medicines pagalbos priemonės patenka į kompensavimo sistemą, sudarant tris sąrašus: Ligų ir kompensuojamųjų vaistinių preparatų joms gydyti sąrašą (A sąrašas); Kompensuojamųjų vaistinių preparatų sąrašą (B sąrašas); Kompensuojamųjų medicinos pagalbos priemonių sąrašą (C sąrašas) [58 str. 1 d. Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 78-3056.].

[417] *Bazinė kaina* – vaistinio preparato arba medicinos pagalbos priemonės mažmeninės kainos dalis, pagal kurią vaistinio preparato arba medicinos pagalbos priemonės įsigijimo išlaidos ar jų dalis kompensuojamos iš PSDF biudžeto lėšų [Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2008 m. gegužės 28 d. nutarimas Nr. 531 „Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2005 m. rugsėjo 13 d. nutarimo Nr. 994 "Dėl ambulatoriniam gydymui skirtų vaistų ir medicinos pagalbos priemonių, kurių įsigijimo išlaidos kompensuojamos iš privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto lėšų, bazinių kainų apskaičiavimo tvarkos aprašo patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 66-2510.].

[418] Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2008 m. gegužės 28 d. nutarimas Nr. 531 „Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2005 m. rugsėjo 13 d. nutarimo Nr. 994 "Dėl ambulatoriniam gydymui skirtų vaistų ir medicinos pagalbos priemonių, kurių įsigijimo išlaidos kompensuojamos iš privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto lėšų, bazinių kainų apskaičiavimo tvarkos aprašo patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 66-2510.].

[419] LR SDĮ 10 str. 2 dalyje nustatyta, jog visa bazinė kompensuojamųjų vaistų kaina kompensuojama vaikams iki 18 metų ir asmenims, pripažintiems nedarbingais, ar asmenims, sukakusiems senatvės pensijos amžių, kuriems teisės aktų nustatyta tvarka yra nustatytas didelių specialiųjų poreikių lygis [Lietuvos Respublikos Sveikatos draudimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 1996, Nr. 55-1287; 2002, Nr. 123-5512; 2005, Nr. 67-2402.].

priemonėmis subalansuoti PSDF biudžeto galimybes padengti vaistų įsigijimo išlaidas su tokių lėšų faktiniu poreikiu.

Valstybės garantijų pobūdį kompensuojant vaistų įsigijimo išlaidas privalomuoju sveikatos draudimu draudžiamiems asmenims ir šių garantijų teisinį pagrindą geriausiai atskleidžia LR SDĮ 5 straipsnio, 2 straipsnio 4 dalies ir 1 straipsnio, nusakančio aptariamo įstatymo paskirtį sisteminis aiškinimas. LR SDĮ 5 straipsnis apibrėžia, jog privalomojo sveikatos draudimo draudiminiai įvykiai yra ,,gydytojo diagnozuoti [...] draudžiamų asmenų sveikatos sutrikimai ar sveikatos būklė, kurie yra pagrindas [...] draudžiamiems asmenims teikti šio asmens sveikatos priežiūros paslaugas ir apmokėti iš Privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto“. O 2 straipsnio 4 dalyje teigiama, jog privalomasis sveikatos draudimas – tai ,,valstybės nustatyta asmens sveikatos priežiūros ir ekonominių priemonių sistema, šio Įstatymo nustatytais pagrindais ir sąlygomis garantuojanti privalomuoju sveikatos draudimu draudžiamiems asmenims, įvykus draudiminiam įvykiui, sveikatos priežiūros paslaugų teikimą bei išlaidų už suteiktas paslaugas, vaistus ir medicinos pagalbos priemones kompensavimą“. Iš šių straipsnių matyti, jog būtent draudiminis įvykis yra tas juridinis pagrindas, kuriam įvykus draudžiamam asmeniui turi būti suteiktos ir apmokamos iš PSDF biudžeto sveikatos priežiūros paslaugos, o reglamentuojant teisinius santykius dėl vaistų įsigijimo išlaidų kompensavimo šiems asmenims LR SDĮ yra kaip specialus teisės aktas, nes būtent šis įstatymas nustato PSDF biudžeto sudarymo ir išlaidų asmens sveikatos priežiūros paslaugoms ir vaistams kompensavimo iš PSDF pagrindus.

2002 metais priėmus sveikatos apsaugos ministro įsakymą Nr. 85 ,,Dėl sutarčių dėl lėšų kompensuojamiesiems vaistams apimčių, nustatomų asmens sveikatos priežiūros įstaigoms, sudarymo ir vykdymo tvarkos“[420] kaip tik ir buvo mėginama reguliuoti kopensuojamųjų vaistų išlaidas ribojant jas. Specializuotas paslaugas teikiančioms asmens sveikatos priežiūros įstaigoms (ASPĮ) (konsultacinėms poliklinikoms ir ligoninėms) apimtys kompensuojamiesiems vaistams susietos su praėjusių metų šiuo tikslu išleistomis lėšomis. Tuo tarpu pirmines sveikatos priežiūros paslaugas teikiančioms ASPĮ kompensuojamiesiems vaistams skiriamos išlaidos turėjo priklausyti nuo aptarnaujamų gyventojų skaičiaus, amžiaus. Tvarkos IV dalyje ASPĮ, nesilaikančioms sutartyje nustatytos išlaidų kompensuojamiesiems vaistams apimties pirmąkart nustatytos sankcijos. Tokios formos išlaidų biudžetinis reguliavimas sukėlė teisinę koliziją, kurią sprendė ir eliminavo Lietuvos Vyriausiasis administracinis teismas (administracinė byla Nr. I11-18/2002)[421]. Teismas 2002 metų spalio 15 dieną priėmė sprendimą, kad minėtu sveikatos apsaugos ministro įsakymu Nr. 85 patvirtinti „Sutarčių dėl lėšų kompensuojamiesiems vaistams apimčių, nustatomų asmens sveikatos

[420] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. vasario 14 d. įsakymas Nr. 85 ,,Dėl sutarčių dėl lėšų kompensuojamiesiems vaistams apimčių, nustatomų asmens sveikatos priežiūros įstaigoms, sudarymo ir vykdymo tvarkos“ . *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 18-740.

[421] Lietuvos Vyriausiojo administracinio teismo 2002 m.spalio 15 d. sprendimas administracinėje byloje I(11)-18/2002. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 101-4517.

priežiūros įstaigoms, sudarymo ir vykdymo tvarkos“ 7, 8 ir 9 punktai, nustatantys lėšų kompensuojamiesiems vaistams apskaičiavimo tvarką, taip pat 12 punktas, 12-1 punktas ir 12-2 punktas, nustatantys kvotų kontrolę ir sankcijas ASPĮ, prieštarauja Konstitucijai, Sveikatos draudimo, Sveikatos sistemos, Gydytojo medicinos praktikos, Paciento teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymų nuostatoms, juos paskelbė negaliojančiais. Atlikęs vaistų išlaidų kompensavimo pagrindų ir teisinių santykių analizę, teismas nurodė kryptį, kaip turėtų būti plėtojami kiekybinio reguliavimo teisiniai mechanizmai, nurodydamas, kad Sveikatos ministerija neturi kompetencijos kiekybiškai riboti kompensuojamųjų vaistų išlaidų kitaip, nei nustatyta Sveikatos draudimo įstatyme. Tačiau įstatymų leidėjai šios dilemos vienareikšmiškai neišsprendžia.

Kitos vaistų įsigijimo išlaidų kompensavimo reguliavimo priemonės siekiant racionaliai naudoti PSDF biudžeto lėšas – valstybės reguliuojami kompensuojamųjų vaistų prekybiniai antkainiai ir derybos dėl vaistų kainų bei kompensavimo apimčių. Jie numatyti ir Nacionalinės vaistų politikos nuostatų 11 ir 12 punktuose. Šiuo metu kompensuojamųjų vaistų kainodaros bendrieji reikalavimai yra nustatyti Farmacijos įstatymo 57 straipsnyje. Derybų dėl vaistų, esančių kompensuojamųjų vaistinių preparatų kainyne arba siūlomų į jį įrašyti, kainų nustatymo tvarka reglamentuojama Sveikatos apsaugos ministro įsakymu[422]. Derybas dėl kainų vykdo derybų komisija, sudaryta iš Farmacijos departamento ir Valstybinės ligonių kasos atstovų, su vaisto rinkodaros teisės turėtoju ar jo atstovu, ar juridiniu asmeniu, turinčiu didmeninio platinimo licenciją. Derybų tikslas – pareiškėjo deklaruojamų vaistų kainų nustatymas ir jų tiekimo užtikrinimas[423].

Nacionalinės vaistų politikos nuostatų 13, 14 punktuose numatyta sudaryti būtinųjų vaistų sąrašą ir nustatyti gyventojų aprūpinimo šiais vaistais tvarką, asmenų aprūpinimo neregistruotais, bet kai kuriais atvejais būtinais vaistais tvarką. Reikia pasakyti, kad gyventojų aprūpinimo būtinaisiais vaistais koncepcija Lietuvoje šiuo metu nebėra itin aktuali. Lietuvoje nuo 1994 iki 2007 metų pabaigos galiojo Sveikatos apsaugos ministro įsakymu patvirtintas Būtinojo asortimento vaistų sąrašas[424], parengtas atsižvelgiant į Pasaulio sveikatos organizacijos (PSO) sudarytą Būtinųjų vaistų sąrašą (angl. *Model list of Essential Drugs*[425]). Pagal PSO apibrėžimą, būtinieji vaistai – tai vaistai, kurie būtini tenkinti daugumos gyventojų sveikatos priežiūros poreikius ir įskaitant jų

[422] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2008 m. balandžio 30 d. įsakymas Nr. V-401 ,,Dėl Derybų dėl vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių, esančių kompensuojamųjų vaistinių preparatų arba medicinos pagalbos priemonių kainynuose arba siūlomų į juos įrašyti, kainų nustatymo tvarkos aprašo patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 54-2009.].

[423] 2 ir 3 punktai [Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2008 m. balandžio 30 d. įsakymas Nr. V-401 ,,Dėl Derybų dėl vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių, esančių kompensuojamųjų vaistinių preparatų arba medicinos pagalbos priemonių kainynuose arba siūlomų į juos įrašyti, kainų nustatymo tvarkos aprašo patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 54-2009.].

[424] Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministro 1994 m. gegužės 18 d. įsakymas Nr. 204 Dėl būtinojo asortimento vaistų sąrašo. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 45-845 (galiojo nuo1994-06-16 iki 2007-11-30) .

[425] WHO Model Lists of Essential Medicines [interaktyvus] [žiūrėta 2008-11-07]. <http://www.who.int/ medicines/publications/ essentialmedicines/en/>.

stiprumą bei formą turi būti visada prieinami ligoniams reikiamu kiekiu už ligoniui ar visuomenei prieinamą kainą. Kadangi Lietuvoje per pirmąjį Lietuvos nepriklausomybės dešimtmetį buvo įregistruoti visų būtinų farmakoterapinių grupių vaistai, pakankamai sklandžiai veikia farmacijos sektorius, užtikrinantis vaistų tiekimą į Lietuvą, būtinojo asortimento vaistų sąvoka pagal PSO koncepciją tapo neaktuali, nors užtikrinti šių vaistų tiekimą ir jų buvimą vaistų rinkoje, žinoma, tebėra svarbu. Šiuo metu galiojančio Farmacijos įstatymo 8 straipsnio 3 dalis numato, jog Lietuvos Respublikos rinkai gali būti tiekiami bei vartojami sveikatos priežiūrai ir neregistruoti būtinieji vaistiniai preparatai. Jų kriterijus, leidimų tiekti rinkai tvarką ir kitus reikalavimus šiuo metu nustato ,,Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų tiekimo rinkai taisyklės“[426].

Teritorinis vaistų prieinamumas šalyje vykdomas per vaistinių tinklą. Kaimuose, jeigu nėra vaistinės ar jos filialo, vadovaujantis Farmacijos įstatymo 41 straipsnio 2 dalimi, gyventojus vaistiniais preparatais per ten esančias pirminės sveikatos priežiūros įstaigas aprūpina su jomis sutartis dėl vaistinių preparatų tiekimo sudariusios vaistinės Vyriausybės nustatyta tvarka[427]. Lietuvoje reglamentuotas ir vaistų reikalingų individualiems poreikiams įsivežimas ar siuntimas paštu. Vadovaujantis Farmacijos įstatymo 8 straipsnio 13 dalimi 2006 metais buvo patvirtintos vaistinių preparatų įvežimo į Lietuvą ir išvežimo iš jos, gavimo ar siuntimo paštu individualioms reikmėms taisyklės[428]. Taigi užtikrinta galimybė fiziniam asmeniui įvežti per Lietuvos Respublikos sieną ir gauti paštu tam tikrą kiekį individualioms reikmėms skirtų tiek registruotų, tiek ir neregistruotų vaistinių preparatų kiekį[429]. Šia galimybe gali pasinaudoti ir pacientai, dalyvaujantys kitoje šalyje vykdomame klinikiniame tyrime.

Atsakomybės už tinkamą gyventojų aprūpinimą vaistais klausimą Lietuvoje taip pat reglamentuoja Farmacijos įstatymas. Pagal čia įtvirtintus vaistinių preparatų tiekimo į šalies rinką principus, racionalus ir tinkamas vaistinių preparatų tiekimas į šalies rinką praktiškai yra išimtinai vaistinio preparato rinkodaros teisės turėtojų bei didmeninio platinimo licencijos turėtojų pareiga bei prievolė. Farmacijos įstatymo 15 straipsnio 7 dalis nustato, kad suteikus vaistinio preparato rinkodaros teisę, jos turėtojas per 6 mėnesius privalo pranešti Valstybinei vaistų kontrolės tarnybai

[426] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. gruodžio 29 d. įsakymas Nr. V-1080 ,,Dėl Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų tiekimo rinkai taisyklių patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 4-140.

[427] Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2007 m. rugpjūčio 8 d. Nr. 805 ,,Dėl Vaistinių pasiūlymų tiekti vaistinius preparatus gyventojams per kaimo pirminės sveikatos priežiūros įstaigas vertinimo, pavedimo sutarčių sudarymo ir vaistinių preparatų vežimo tvarkos aprašo patvirtinimo. *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 121-4985.

[428] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2006 m. lapkričio 23 d. įsakymas Nr. V-975 ,,Dėl Vaistinių preparatų įvežimo į Lietuvos Respubliką ir išvežimo iš jos, gavimo ar siuntimo paštu fizinio asmens individualioms reikmėms taisyklių patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 131-4969.

[429] Lietuvos sienos perėjimo punktų ir muitinės pareigūnai, laikydamiesi šių taisyklių, turi teisę reikalauti iš asmenų pateikti recepto kopiją ar gydytojo pažymą, patvirtinančią, kad jų vežami vaistiniai preparatai yra gydytojo paskirti, o vaistų kiekis yra reikalingas gydymui. Be recepto ar gydytojo pažymos leidžiama įsivežti ar gauti paštu ne daugiau kaip 5 originalias vaistinių preparatų pakuotes. Turint recepto kopiją ar gydytojo pažymą galima įsivežti ar gauti paštu 6–9 to paties pavadinimo, farmacinės formos, stiprumo ir dozuočių kiekio originalias vaistinių preparatų pakuotes. Daugiau kaip 10 originalių to paties vaistinio preparato pakuočių ar daugiau kaip 10 skirtingų pavadinimų vaistinio preparato pakuočių galima įsivežti ar gauti paštu tik turint gydytojo pažymą.

šio preparato pirmojo patiekimo Lietuvos rinkai datą ir, bendradarbiaudamas su platintojais, užtikrinti tinkamą ir reikiamo dažnumo tiekimą, atitinkantį pacientų poreikį, o 33 straipsnio 8 punktas nurodo, kad didmeninio platinimo licencijos turėtojas privalo bendradarbiaudamas su vaistinių preparatų rinkodaros teisių turėtojais, užtikrinti tinkamą ir reikiamo dažnumo vaistinių preparatų tiekimą vaistinėms ir asmens sveikatos priežiūros įstaigoms. Šių pareigų laikymąsi kontroliuoja Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba, kuri pagal Farmacijos įstatymo 61 straipsnio 1 dalį vykdo Farmacijos įstatymu nustatytos veiklos su farmacijos produktais valstybinę kontrolę.

2008 metų rugsėjo 29 dieną Farmacijos įstatymo 8 straipsnį papildžius dar dviem nuostatomis[430] įstatymiškai buvo apibrėžta ir Sveikatos apsaugos ministerijos atsakomybė, jos pagrindinės pareigos organizuojant, kontroliuojant ir užtikrinant būtinų vaistinių preparatų tiekimą, Lietuvos gyventojų aprūpinimą jais, taigi ir viešosios paslaugos – vaistinių preparatų tiekimo Lietuvos Respublikos gyventojams – užtikrinimą. Pasak šio įstatymo projekto rengėjų, atsakomybę už vaistų tiekimą turi prisiimti ne tik vaistinių preparatų didmeninio platinimo įmonės, bet ir SAM, kurios svarbiausias uždavinys – rūpintis Lietuvos Respublikos gyventojų sveikata, jos išsaugojimu, grąžinimu ir stiprinimu[431]. Nors svarstant Farmacijos įstatymo 8 straipsnio papildymo įstatymo projektą nuostatos, jog „SAM arba jos įgaliota institucija organizuoja ir koordinuoja Lietuvos gyventojų aprūpinimą būtiniausiais vaistiniais preparatais, teisinėmis bei organizacinėmis priemonėmis reguliuoja ir užtikrina nenutrūkstamą kokybiškų, saugių, efektyvių ir būtinų vaistinių preparatų tiekimą į šalies vaistines“ (1 d.), taip pat „griežtai stebi, kaip vaistinio preparato rinkodaros teisės turėtojai atlieka savo pareigas nenutrūkstamai tiekti gyvybiškai būtinus vaistinius preparatus, užtikrina jų atsakomybę atitinkamais teisės aktais“, buvo vertinamos kaip perteklinės[432], vis dėlto jos buvo priimtos ir galioja nuo 2008 metų spalio 16 dienos. Taigi SAM įstatymiškai buvo priskirta funkcija, įpareigojanti ją siekti, kad Lietuvos gyventojams reikalingų vaistų tiekimas būtų nenutrūkstamas ir būtinus medikamentus jie galėtų gauti laiku. Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba, registruodama vaistus turi užtikrinti, kad pacientą pasiektų geros kokybės, saugūs ir veiksmingi vaistiniai preparatai. Tam keliais etapais vykdoma vaistų registracijos procedūra ir farmacinės rinkos priežiūra, reglamentuota įstatymais ir tarnyboje veikiančia kokybės vadybos procedūra.

---

[430] Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymo 8 straipsnio papildymo įstatymas. *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 119-4493.

[431] Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymo 8 straipsnio papildymo įstatymo projekto aiškinamasis raštas. Pateikė: Seimo narys A.Sadeckas. 2007-07-24 XP-2430.

[432] Iki 2008 m. balandžio 30 d. galiojo Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos nuostatos, kurių 6.7 punkte buvo teigiama, jog ministerija, vykdydama jai pavestą uždavinį “organizuoja ir koordinuoja racionalų Lietuvos gyventojų aprūpinimą būtiniausiais vaistais ir medicinos prekėmis, renka ir analizuoja informaciją apie vaistus, sudaro vaistų paklausos ir pasiūlos balansą, teisinėmis priemonėmis reguliuoja vaistų tiekimą, registruoja vaistus, kontroliuoja farmacinės veiklos sąlygas”, [Lietuvos Respublikos Vyriausybės 1998 m. liepos 24 d. nutarimo Nr. 926 „Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos nuostatų patvirtinimo. *Valstybės žinios.* 1998, Nr. 67-1961.]. Naujoje nuostatų redakcijoje šio punkto nebelieka [Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2008 m. balandžio 9 d. nutarimas Nr. 378 Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 1998 m. liepos 24 d. nutarimo Nr. 926 "Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos nuostatų patvirtinimo" pakeitimo. *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 49-1830.].

Aptartieji vaistų prieinamumo teisinio reglamentavimo pavyzdžiai patvirtina, jog tam tikrų įsipareigojimų dėl gyventojų aprūpinimo reikiamais vaistiniais preparatais Lietuvoje esama. Pakankamai aiškiai reglamentuotas ir kompensuojamųjų vaistų prieinamumo apdraustiesiems mechanizmas. Tačiau, atsakomybės už vaistų tiekimą rinkai klausimas lieka dviprasmiškas. Praktikoje vaistų tiekimas rinkai daugiausia priklauso nuo suinteresuotumo ja. Taigi pareiga vaistus tiekti rinkai iš esmės tenka vaisto rinkodaros teisių turėtojui. Problemų dažniausiai nekyla dėl paklausių vaistų tiekimo. Tuo tarpu retųjų vaistų pardavimams Lietuvos rinka yra pernelyg maža, komerciškai nepatraukli. Farmacijos įstatyme VVKT pavesta kontroliuoti vaistinių preparatų rinkodaros teisių turėtojų pareigos užtikrinti vaisto tiekimą laikymąsi, tačiau esant vaisto tiekimo sutrikimams ji gali tik įspėti gamintoją apie jo pareigą iš anksto pranešti apie laikiną ar nuolatinį vaisto tiekimo rinkai nutraukimą (LR FĮ 15 str. 8 d.), o priversti tiekti ar taikyti kitokių sankcijų negali. Farmacijos įstatymas paveda SAM užtikrinti rinkodaros teisių turėtojų atsakomybę atitinkamais teisės aktais, tačiau iki šiol kokių nors teisės normų šiuo atžvilgiu nepriimta. Manytina, kad komerciškai nepatrauklių vaistų, tarp jų ir retųjų tiekimui į Lietuvą užtikrinti, reikėtų parengti atskirus teisės aktų projektus.

2.2. Lygiateisiškumo ir solidarumo principų įgyvendinimas

Dar du argumentai, kuriais grindžiama valstybės pareiga užtikrinti retųjų vaistų prieinamumą skiriant atitinkamą dėmesį retų ligų gydymui ir pakankamai lėšų retųjų vaistų kompensavimui – lygiateisiškumo ir socialinio solidarumo principai. Jų reikšmę savo strapsniuose akcentuoja C. A. Gericke ir kt., J. W. Dear ir kt.[433], A. Rappagliosi. 2009 metais priimtoje Tarybos rekomendacijoje dėl Europos veiksmų retų ligų srityje taip pat teigiama, kad valstybės narės remdamosi visoje ES priimtais lygiateisiškumo ir solidarumo principais savo šalies teritorijoje turi imtis veiksmų siekdamos retomis ligomis sergantiems ligoniams užtikrinti visapusiškas bei vienodas galimybes naudotis aukštos kokybės sveikatos priežiūros paslaugomis, įtraukiant diagnostiką, gydymą ir retuosius vaistus[434].

Nuostata, kad valstybės turi imtis priemonių, kad savo jurisdikcijoje asmenims sudarytų ,,lygiateisiškas galimybes gauti atitinkamos kokybės sveikatos priežiūrą“ įtvirtinta Žmogaus teisių

[433] GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics.* 2005, 31: 164–168; DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D. J. Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. *British Journal of Clinical Pharmacology* [interaktyvus]. 2006, 62(3): 269 [žiūrėta 2008-07-10]. <http://www.pubmedcentral.nih. gov/articlerender.fgi? artid =1885144>; RAPPAGLIOSI, A. Patient access to innovation: biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology.* 2001, 7(4): 304.

[434] Preambulės 2 pastr. ir 1 rekomendacija [Tarybos 2009 m. birželio 8 d. rekomendacija dėl retųjų ligų srities veiksmų. [2009] OL C 151/02.].

ir biomedicinos konvencijos, kuri 2002 metais ratifikuota ir Lietuvoje, 3 straipsnyje[435]. Konvencijos Aiškinamojoje ataskaitoje[436] nurodyta, jog šios nuostatos tikslas yra garantuoti vienodą, asmens sveikatingumo reikmes atitinkančią sveikatos priežiūrą, o Valstybės įpareigojamos dėti visas galimas pastangas šiam tikslui pasiekti (23, 24, punktai). ,,Vienoda“ sveikatos priežiūra pirmiausia reiškia neteisėtos diskriminacijos nebuvimą (25 punktas). Sveikatos priežiūra (diagnostika, profilaktika, gydymas ir reabilitacija) turi atitikti mokslinės pažangos standartus (24 punktas). Imtis šių priemonių Konvencijos Šalys turi tiek, kiek leidžia jų turimi ištekliai.

LR SSĮ 6 straipnyje nurodyta, kad vienas iš Lietuvos nacionalinės sveikatos sistemos pagrindų yra socialinio teisumo sveikatinimo veikloje užtikrinimas[437]. Tai reiškia, kad valstybė pripažįsta sveikatos priežiūros sąlygas lygiomis galimybėmis siekti sveikatos, kiek įmanoma sumažinant skirtumus tarp jos siekiančių asmenų (2 str. 17 d.). Asmens teisė turėti kuo geresnę sveikatą lygybė, nesvarbu, kokios jis būtų lyties, rasės, tautybės, pilietybės, socialinės padėties ir profesijos taip pat yra ir vienas iš sveikatinimo veiklos teisinio reguliavimo principų (5 str. 1 d. 3 p.), kildintinas iš LR Konstitucijos 29 straipsnio.

Interpretuojant pastarąsias nuostatas Tarybos rekomendacijos[438] kontekste galima teigti, jog valstybė turėtų dėti visas įmanomas pastangas, kad retomis ligomis sergantys pacientai gautų jų sveikatos reikmes ir mokslinės pažangos standartus atitinkantį gydymą, kuris neatsiejamas nuo retųjų vaistų (jei atitinkamai ligai gydyti jie jau sukurti ir jų veiksmingumas moksliškai įrodytas). Lygiateisiškumas šiuo atveju turėtų būti traktuojamas pakankamai plačiai: ir kaip diskriminacijos nebuvimas tarp retomis ir įprastomis ligomis sergančių pacientų (tiek vieni, tiek kiti turėtų gauti jų svekatos reikmes atitinkantį gydymą), ir pačių retomis ligomis sergančių pacientų tarpe (pvz., kompensuojant vaistus, siunčiat gydytis į užsienį ir pan.). Taip pat ši samprata turėtų apimti valstybės orientaciją į pažangius pavyzdžius reguliuojant ir užtikrinant retųjų vaistų prieinamumą pacientams kitose valstybėse ES narėse. Pabrėžtina, jog lygiateisiškumo sveikatos priežiūroje užtikrinimas pirmiausia sietinas su asmens sveikatingumo reikmėmis, todėl ,,valstybės turimų išteklių“ argumentas neturėtų paneigti būtinybės valstybei dėti ,,visas įmanomas pastangas“, kad pacientų ,,reikmės“ būtų patenkintos, – aptriamu atveju negali pateisinti abejingumo, teisinio reguliavimo spragų srityse sietinose su aukšta retomis ligomis sergančių pacientų gydymo kokybe.

[435] Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 97-4258.

[436] Explanatory Report to the Convention for the protection of Human Rights and dignity of the human being with regard to the application of biology and medicine: Convention on Human Rights and Biomedicine [žiūrėta 2009-01-20]. <http://conventions.coe.int/treaty/EN/Reports/Html/164.htm>.

[437] Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 63-1231; 1998, Nr. 112-3099; 2000, Nr. 92-2876; 2004, Nr. 68-2367, 2372; Nr. 171-6309; 2007, Nr. 64-2456; 2008, Nr. 50-1850.

[438] Tarybos 2009 m. birželio 8 d. rekomendacija dėl retųjų ligų srities veiksmų. [2009] OL C 151/02.

Kaip ir lygiateisiškumo sveikatos priežiūroje, taip ir solidarumo principas nėra specifinis argumentas tik retųjų vaistų prieinamumo užtikrinimo klausimu. Sveikatos priežiūros srityje dalis doktrinos solidarumo principui apskritai skiria svarbų vaidmenį.

Solidarumo terminas yra kilęs iš lotynų kalbos žodžio *solidare* – sutvirtinti, suderinti dalis taip, kad jos suformuotų tvirtą visumą[439]. Jis apibūdinamas kaip bendramintiškumas, vieningumas, interesų bendrumas, bendra atsakomybė, tarpusavio parama[440]. Filosofijos žodyne solidarumas apibrėžiamas kaip ,,žmogaus esmėje glūdintis individo priklausomumas nuo visuomenės ir visuomenės priklausomumas nuo jos narių dorovine pareiga grindžiamos sąveikos: bendra gerovė yra kiekvieno gerovė“[441]. Taigi solidarumas – nevienareikšmė, sunkiai pamatuojama sąvoka, žyminti socialinį reiškinį, kurį anot E. Durkheimo „iš esmės įmanoma ištirti tik remiantis socialiniais padariniais”[442].

Yra nemažai solidarumo teorijų. Norint suprasti solidarumo motyvus skiriami du požiūriai: pirmasis pabrėžia instrumentinius ir utilitaristinius, antrasis – vertybėmis ir socialiniais jausmais grindžiamus įsipareigojimus. Vieno požiūrio šalininkai solidarumą tapatina su racionaliu išskaičiavimu, kito – su žmonių tarpusavio susietumo jausmu, bendruomenės, kurioje asmuo gyvena, puoselėjamomis vertybėmis[443].

Sveikatos priežiūros kontekste solidarumo principas atspindi visos visuomenės atsakomybę už savo narius, kuriems susirgus gresia patirti ypač dideles išlaidas už teikiamas sveikatos priežiūros paslaugas ar net jų iš viso negauti. Pasak J. Juškevičiaus, skirtingai nei amerikiečių neretai banalizuotos solidarumo sampratos, Europoje solidarumas turi apibrėžtą teisinę galią, kuri konkretizuojasi socialinių darinių ir jų narių pareigomis (pvz., visose Europos šalyse veikianti privalomojo sveikatos draudimo sistema)[444], kadangi čia dauguma valstybių orientuojasi į vadinamąjį ,,gerovės valstybės“ arba kitaip ,,socialinės teisinės valstybės“ modelį.

Šiais laikais ,,socialine valstybe laikoma tokia valstybė, kuri įsipareigoja rūpintis socialiniu teisingumu, savo piliečių gerove, jų socialiniu saugumu“[445]. Gerovės valstybės modelis numato pačios valstybės galimybę spręsti, kokioms socialinėms programoms turėtų būti suteikti prioritetai, kad būtų užtikrinta „ilgalaikė socialinė pažanga“. Valstybė tokiame modelyje tampa tarsi „autoritetu“, įgaliotu tenkinti „visų“ valstybės gyventojų lūkesčius, bent jau tiek, kiek patys

[439] KUZAVINIS, K. *Lotynų-lietuvių kalbų žodynas.* Vilnius: Mokslo ir enciklopedijų leidykla, 1996, p. 800.
[440] *Tarptautinių žodžių žodynas.* Vilnius: Alma littera, 2003, p. 691.
[441] HAEDER, A. *Filosofijos žodynas.* Vilnius: Alma litera, 2002, p. 194.
[442] DURKHEIM, E. *O razdielieniji obščiestviennogo truda*. Metod sociologii. Moskva: Nauka, 1991, s. 68. In BIELIAUSKAITĖ, J. Solidarumo vaidmuo socialinėje teisinėje valstybėje. *Socialinių mokslų studijos*. 2009, 1(1): 79–94.
[443] KOMTER, A. E. Social Solidarity and the Gift. Cambridge: Cambridge University Press, 2005, p. 115. In BIELIAUSKAITĖ, J. Solidarumo vaidmuo socialinėje teisinėje valstybėje. *Socialinių mokslų studijos*. 2009, 1(1): 83.
[444] JUŠKEVIČIUS, J. Teisės principų taikymas norminant sveikatos priežiūros sritį. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 15.
[445] ŽILYS, J. Konstitucijos socialinės prasmės. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2006, 4: 318.

visuomenės nariai to padaryti negali[446]. Valstybė čia suvokiama kaip visuomenę solidarizuojanti jėga, kuri organizuoja vienų visuomenės narių talkinimą kitiems tais atvejais, kai tie ,,kiti“ turi egzistencijos problemų[447]. Sveikatos politikoje tai reikštų valstybės dėmesį labiausiai pažeidžiamoms gyventojų grupėms ir sveikatos priežiūros ir medicinos pagalbos prieinamumą[448].

Tai, jog valstybės vaidmuo rūpinantis sveikatos apsauga yra neatsiejamas nuo solidarumo kaip esminės vertybės rodo Europos Sąjungos pagrindinių teisių chartijos[449] nuostatos. Šiuo metu Chartija *in corpore* yra įtraukta į Lisabonos sutartį, iš dalies keičiančią Europos Sąjungos sutartį ir Europos Bendrijos Steigimo Sutartį, tačiau ji suformuluota taip, kad bet kuriuo momentu galėtų būti įtraukta į ES sutartis ar kitokiu būdu galėtų tapti teisiškai įpareigojančia[450]. Solidarumo principui chartijos preambulėje suteikta esminės vertybės, kuria Sąjunga ,,remiasi“ ir kurią ,,siekia išsaugoti ir plėtoti“ rangas[451]. Chartijos IV skyriuje „Solidarumas“ tarp kitų socialinių teisių įtvirtinta ir kiekvieno asmens „teisė į prevencinę sveikatos apsaugą ir gydymą pagal nacionalinių įstatymų ir nusistovėjusios praktikos reikalavimus“. Pasak J. Juškevičiaus, tikėtina, kad ši socialinė asmens teisė kartu implikuoja asmens solidarumo pareigas[452]. Augančią solidarumo principo teisinę galią liudija ir tai, jog solidarumo principo pripažinimas tampa Europos šalių konstitucinių sistemų ar net Europos žmogaus teisių sistemos skiriamuoju požymiu[453] – integruojančiu tiltu tarp individo teisių ir laisvių ir visuomenės įsipareigojimų individui[454].

Lietuvos Konstitucijoje solidarumo principas tiesiogiai nėra įvardintas, tačiau, tai, kad jis vis dėlto yra įtvirtintas leidžia teigti Konstitucinio Teismo jurisprudencija. Pavyzdžiui, Konstitucinio Teismo teiginys, jog Konstitucijoje ,,įtvirtinta valstybės priedermė rūpintis piliečiais, kurie dėl įstatymuose numatytų priežasčių negali apsirūpinti iš darbo ir kitokių pajamų arba yra nepakankamai aprūpinti“, arba tezė, jog valstybės taikomos „socialinės apsaugos priemonės išreiškia visuomenės solidarumo idėją, padeda asmeniui apsisaugoti nuo galimų socialinių

[446] ARLAUSKAS, S. *Turiningieji teisės pagrindai. Pagrindinių subjektinių teisių teorijos metmenys*. Vilnius: Mykolo Romerio universitetas, 2004, p. 326.

[447] VAIŠVILA, A. *Teisės teorija.* Vilnius: Justitia, 2004, p. 491.

[448] GRABAUSKAS,V. *Lietuvos sveikatos politika XXI amžiuje*. III nacionalinė sveikatos politikos konferencija. Vilnius, 2000, p. 3.

[449] Charter of fundamental rights of the European Union. [2000] OJ C 364.

[450] Europos Konvento nariai, kūrę šią chartiją, yra pabrėžę, kad tai yra „minkštosios teisės“ dokumentas bent iki tol, kol ES Taryba nenuspręs, kad ją reikia ratifikuoti, tačiau jie iš anksto įsipareigojo taip formuluoti Chartiją, kad ji bet kuriuo momentu galėtų būti įtraukta į ES sutartis ar kitokiu būdu galėtų tapti teisiškai įpareigojančia.

[451] JUŠKEVIČIUS, J. Teisės principų taikymas norminant sveikatos priežiūros sritį. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 15.

[452] JUŠKEVIČIUS, J. *op. cit.*, p. 15.

[453] DELKESKAMP-HAYES, C. *Implementing health care rights versus imposing health care cultures.* (ed. Engerhardt H.T.). Global Bioethics: The Collapse of Consensus. P. 50–94, 75. In JUŠKEVIČIUS, J. Teisės principų taikymas norminant sveikatos priežiūros sritį. *Jurisprudencija.* 2008, 12 (114): 15.

[454] ALPA, G. Solidarietá Nuova giurisprudenza civile commentata. 1994, t. 2, p. 365. In JUŠKEVIČIUS, J. Teisės principų taikymas norminant sveikatos priežiūros sritį. *Jurisprudencija.* 2008, 12 (114): 15.

rizikų"[455]. Kad pagal Konstituciją ,,Lietuvos valstybė yra socialiai orientuota, taigi turi konstitucinę priedermę ir privalo prisiimti vykdyti tam tikrus įsipareigojimus" Konstitucinis Teismas pabrėžė 2007 metų birželio 7 dienos nutarime. Jame, beje, taip pat nurodyta, jog ,,konstitucinis socialinio solidarumo principas suponuoja galimybę dalį šių įsipareigojimų paskirstyti ir visuomenės nariams, tačiau tas paskirstymas turi būti konstituciškai pagrįstas, jis negali būti neproporcingas, negali paneigti valstybės socialinės orientacijos ir iš Konstitucijos kylančių įpareigojimų valstybei[456].

Taigi jei turėsime omenyje brangių retųjų vaistų ekonominio prieinamumo užtikrinimo klausimą, logiškai sektų, kad atsižvelgiant į tai, jog sunkiai sergančiam pacientui savo lėšomis įsigyti dešimtimis ir daugiau tūkstančių litų per mėnesį kainuojančius vaistus būtų nepakeliama finansinė našta, pacientai turi pagrindo tikėtis, kad jiems reikalingi, nors ir brangiai kainuojantys vaistai, būtų visiškai ar bent jau iš dalies kompensuojami. Taigi retomis ligomis sergančių pacientų lūkesčių dėl aukštos retų ligų gydymo kokybės (taip pat ir mokslo pažangos standartus atitinkančių vaistų prieinamumo) pagrįstumas teoriškai sietinas su jų kaip pacientų teise į sveikatos priežiūra, valstybės socialine orientacija, lygiateisiškumo bei solidarumo principų įgyvendinimu valstybei rūpinantis sveikatos priežiūra.

[455] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 1997 m. kovo 12 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos valstybinio socialinio draudimo įstatymo 5 straipsnio, Lietuvos Respublikos valstybinių socialinio draudimo pensijų įstatymo 8 straipsnio antrosios dalies 1 punkto ir Lietuvos Respublikos Vyriausybės 1996 m. sausio 26 d. nutarimo Nr. 142 "Dėl Lietuvos Respublikos 1995 m. vasario 20 d. nutarimo Nr. 266 "Dėl Lietuvos Respublikos valstybinio socialinio draudimo fondo biudžeto sudarymo ir vykdymo taisyklių patvirtinimo" dalinio pakeitimo" 1 punkto atitikimo Lietuvos Respublikos Konstitucijai". *Valstybės žinios.* 1997, Nr. 23-546.

[456] Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2007 m. birželio 7 d. nutarmas ,,Dėl Lietuvos Respublikos civilinio kodekso 3.194 straipsnio 3 dalies (2004 m. lapkričio 11 d. redakcija) atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 65-2529.

3. RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO SKATINIMO TEISINIS REGULIAVIMAS EUROPOS SĄJUNGOJE IR UŽTIKRINIMAS LIETUVOJE

Darbo įvade paskutiniajam tyrimo etapui suformuluotas uždavinys – išskirti teisėtus retųjų vaistų prieinamumo skatinimo ir užtikrinimo būdus ES ir juos išnagrinėti remiantis ES bei atitinkamomis Lietuvos teisės normomis. Iš anksto tenka pripažinti, jog tinkamai sugrupuoti juos nėra lengva, nes: (1) skiriasi retųjų vaistų prieinamumą reglamentuojantys subjektai – t. y. prieinamumas reglamentuojamas tiek Bendrijos, tiek nacionaliniu lygiu; (2) skiriasi tiksliniai paramos subjektai – tai: (a) rėmėjai; (b) pacientai; (3) retųjų vaistų prieinamumo samprata yra daugiaplanė: (a) retųjų vaistų prieinamumas suprantamas ir kaip retai ligai gydyti skirto vaisto kaip produkto prieinamumas rinkoje (bendrai ir konkrečios šalies teritorijoje); ir (b) kaip ekonominis konkretaus vaisto prieinamumas pacientui jo gyvenamojoje šalyje; (4) retieji vaistai kaip ir bet kurie kiti vaistai teoriškai gali būti klasifikuojami (pvz.: į registruotus ir neregistruotus; į skirtus tik stacionariam gydymui bei tokius, kuriuos pacientas gali įsigyti vaistinėje ir vartoti ambulatoriškai ir kt.). Be to, kaip jau buvo pastebėta, neretai retųjų vaistų kategoriją liečiančius klausimus sunku nagrinėti atsietai nuo platesnio konteksto – t. y. kai kada neįmanoma atriboti nuo ,,vaistų, skirtų retų ligų ar būklių gydymui“ prieinamumo teisinio reglamentavimo.

Atsižvelgiant į šiuos ypatumus bei išvadą, jog Bendrija tik *skatina* retųjų vaistų prieinamumą, tuo tarpu kai valstybės ES narės atitinkamomis teisinėmis priemonėmis gali jį *tiek skatinti*, *tiek užtikrinti*, kaip pirmasis retųjų vaistų prieinamumo skatinimo būdas išskirtinos ES lygiu įteisintos paskatos retųjų vaistų rėmėjams. Tai: (1) protokolinė pagalba; (2) lengvatos registruojant retuosius vaistus; (3) rinkos išimtinumas registruotam retajam vaistiniam preparatui; (4) parama retų ligų ir vaistų moksliniams tyrimams; (5) mokesčių lengvatos[457]. Iš šių paskatų išsamiai analizuosime rinkodaros teisių retiesiems vaistams suteikimo lengvatas – t. y. centralizuotos vaistų registravimo procedūros taikymo ypatumus bei maždaug prieš trejetą metų įteisintą galimybę retųjų vaistų rėmėjams įgyti ,,sąlyginį“ arba ,,išskirtinėmis aplinkybėmis“ suteikiamą leidimą prekiauti retuoju vaistu (3.1.2.), taip pat svarbiausia pripažįstamą – 141/2000/EB reglamento 8 straipsnyje numatytą 10 metų rinkos išimtinumo registruotam retajam vaistiniam preparatui paskatą (3.1.3.). Kitas paskatas, nors rėmėjams jos taip pat neabejotinai svarbios, tik apžvelgsime, nes dėl jų techninio-procedūrinio pobūdžio platesnė teisinė analizė mažiau aktuali.

[457] 6, 7, 8, 9 str. [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18].

Tolesnis prieinamumo būdų sisteminimas paremtas galima retųjų vaistų klasifikacija į neregistruotus ir registruotus preparatus. Neregistruotų retoms ligoms gydyti skirtų vaistų[458] prieinamumas apima: (1) galimybę dalyvauti jų klinikiniuose tyrimuose; (2) galimybę įsigyti šalyje neregistruotų vaistų; (3) galimybę dalyvauti labdaringose vaistų programose (angl. *compassionate use programs*). Šių galimybių reglamentavimo ES bei Lietuvos teisėje analizei skirtas disertacijos 3.2. skyrius. O 3.3. skyriuje analizuojamas klausimas dėl retoms ligoms gydyti skirtų vaistų ekonominio prieinamumo užtikrinimo reguliavimo – tiek teoriniame-diskusiniame lygmenyje, tiek praktikoje remiantis Lietuvos atveju.

Reikia paminėti, jog retai ligai ar būklei gydyti teisėtai gali būti panaudoti ir vaistai, kurių charakteristikų santraukoje nenurodytos jo skyrimo retoms ligoms gydyti indikacijos ir (ar) dozės. Kai registruoti vaistiniai preparatai skiriami neregistruotoms indikacijoms angliškai tai vadinama *„off-label prescription“*. Šiuo atveju pasikliaujama teisėta gydytojų prerogatyva spręsti dėl pacientui tinkamiausio gydymo. Pažymėtina, jog tai gana paplitusi praktika. Taikoma ji ir gydant retas ligas. Tačiau specialiomis ES teisės normomis nereglamentuojama, todėl darbe plačiau nenagrinėjama, išskyrus tiek, kiek reglamentuotas šių vaistų kompensavimo klausimas Lietuvoje.

Skyriaus pabaigoje nagrinėjamas priešpaskutinis iš išskirtinų retųjų vaistų prieinamumo skatinimo būdų – pacientų teisės gauti informaciją gerinimas, kurio išraiška – Bendrijos ir atskirų valstybių ES narių parama duomenų apie retas ligas ir retuosius vaistus kaupimui, informacijos sklaidai bei retomis ligomis sergančių pacientų organizacijoms (3.4.). Galiausiai apibendrinamos valstybių ES narių teisinės iniciatyvos ir kitos pastangos remiant retųjų vaistų kūrimą, tyrimus bei gerinant retųjų vaistų prieinamumą savo šalių pacientams (3.5.).

Išskirti retųjų vaistų prieinamumo skatinimo ir užtikrinimo būdai diktuoja tolesnę tyrimo eigą ir struktūrą.

3.1. Prieinamumo skatinimas per ES lygiu įteisintas paskatas retųjų vaistų kūrimui bei lengvatas jų registravimui

3.1.1. Protokolinė pagalba

Protokolinė pagalba (angl. *protocol assistance*) glaustai gali būti nusakyta kaip retųjų vaistų rėmėjams teikiamos mokslinės konsultacijos, patarimai kaip kuriant retąjį vaistą atlikti įvairius mokslinius tyrimus. Ši paskata numatyta 141/2000/EB reglamento 6 straipsnyje, kur teigiama, jog retojo vaisto rėmėjas, prieš pateikdamas paraišką dėl leidimo prekiauti, gali prašyti Europos vaistų agentūros patarimo, kaip atlikti įvairias ekspertizes ir bandymus siekiant įrodyti tą vaistą esant

[458] Neregistruotų vaistų samprata yra šiek tiek paini, nes apima tiek konkrečioje šalyje neregistruotus vaistus (nors jie gali būti registruoti kitoje ar kitose šalyse), tiek apskritai neregistruotus – t. y. dar tiriamus vaistus (*aut. past.*)

kokybišką, saugų ir veiksmingą[459]. Tokias konsultacijas dažniausiai teikia Retųjų vaistų komitetas. Rėmėjai gali užduoti klausimus ir gauti konsultacijas, susijusias su retųjų vaistų kokybės kriterijais (gamybos, cheminiais, farmaciniais ir biologiniais bandymais), neklinikiniais tyrimais (toksikologiniais ir farmakologiniais bandymais) bei klinikiniais tyrimais, taip pat yra konsultuojami teisiniais klausimais. Tokia pagalba svarbi, nes retojo vaisto kūrimo procese rėmėjai susiduria su specifinėmis problemomis (pvz., ligos ar būklės retumo sąlygotu klinikinių tyrimų dalyvių trūkumu[460]), kurios turi būti išspręstos tinkamai, – taip, kad nenukentėtų vaisto kokybės, saugumo ir veiksmingumo tyrimų patikimumas. Protokolinė pagalba ypatingai svarbi mažoms ir vidutinėms įmonėms. Kaip pateikti paraišką dėl protokolinės pagalbos ir daugelis kitų aktualių retųjų vaistų rėmėjams klausimų yra išsamiai paaiškinti nuolat atnaujinamose Europos vaistų agentūros gairėse[461].

Per pirmuosius penkerius 141/2000/EB reglamento galiojimo metus šia pagalba kaip paskata buvo pasinaudota 80 kartų[462]. Nuo 2002 metų protokolinė pagalba retųjų vaistų rėmėjams teikiama nemokamai[463].

3.1.2. Rinkodaros teisių suteikimo retiesiems vaistams lengvatos

Retuosius vaistus registruoti tik centrinės registracijos būdu nuspręsta praėjus penkeriems metams po 141/2000/EB reglamento įsigaliojimo, nes buvo pastebėta, jog retųjų vaistų prieinamumo pacientams kliūtimis neretai tampa įvairūs retųjų vaistų registravimo trukdžiai atskirose valstybėse ES narėse: paini tvarka; kalbos barjerai; vilkinimas ir pan. Panašiu metu atsižvelgiant į retų ligų specifiką ir jos suponuotus duomenų apie vaisto saugumą ir veiksmingumą surinkimo sunkumus apsispręsta ir dėl ,,sąlyginių“ leidimų bei ,,išskirtinėmis aplinkybėmis“ suteikiamų leidimų. Šios trys lengvatos sudaro sąlygas retiesiems vaistams lengviau patekti į rinką. Kartu pagreitinamas ir tokių vaistų prieinamumas pacientams. Todėl šios lengvatos vertintinos ne

[459] Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.

[460] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 4 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-03-25]. <http://ec.europa.eu/ enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory_2006_08.pdf>.

[461] EMEA guidance for companies requesting scientific advice and protocol assistance. European Medicines Agency. Pre-authorisation Evaluation of Medicines for Human Use London, 22 January 2009 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-25]. <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/sciadvice/426001en.pdf>.

[462] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 4 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-25]. <http://ec.europa.eu/enterprise/ pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory_2006_08.pdf>.

[463] Per pirmuosius penkerius 141/2000/EB reglamento galiojimo metus šia pagalba kaip paskata buvo pasinaudota 80 kartų [Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 4 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-25]. <http://ec.europa.eu/enterprise/ pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory_2006_08.pdf>; Guidance for companies requesting scientific advice and protocol assistance. EMEA: London, 22 January 2009 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-25]. <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/sciadvice/426001 en.pdf>.].

tik kaip palankios ir naudingos retųjų vaistų rėmėjams, bet ir retomis ligomis sergantiems pacientams.

3.1.2.1. Centralizuotos procedūros taikymo retųjų vaistų registravimui įteisinimas

Kad vaistinis preparatas galėtų būti tiekiamas Bendrijos rinkai[464] – tai yra, kad juo galėtų būti prekiaujama, jam privalo būti suteikta rinkodaros teisė[465]. Taigi jis privalo būti registruotas – įtrauktas į nacionalinį arba Bendrijos vaistinių preparatų registrus. Prekyba vaistais Bendrijoje neturint atitinkamo leidimo yra neteisėta[466]. 2001/83/EB direktyvos 6 straipsnis skelbia: „joks vaistas negali būti pateiktas į rinką valstybėje narėje tol, kol tos valstybės narės kompetentingos institucijos, remdamosi šia direktyva nėra išdavusios leidimo prekiauti vaistu arba kol jis nėra išduotas remiantis 2309/93/EEB reglamentu“[467] – t. y. pagal centralizuotą vaistų registravimo procedūrą.

Reikia pastebėti, jog į nacionalinį vaistinių preparatų registrą vaistai gali patekti ne tik pagal nacionalinę registravimo tvarką, bet ir savitarpio pripažinimo bei decentralizuotos procedūrų būdu. Nacionalinė procedūra taikoma, jei siekiama įgyti vaistinio preparato rinkodaros teisę tik vienoje valstybėje narėje, kai kitoje ar kitose Europos ekonominės erdvės (EEE) valstybėse šio preparato rinkodaros teisė nesuteikta. Tokius leidimus išduoda atitinkamos valstybės narės kompetentinga institucija[468]. Tuo tarpu savitarpio pripažinimo[469] ar decentralizuota[470] procedūra galima pasinaudoti

[464] Teikimas rinkai (prekyba) – tiekimas už užmokestį ar nemokamai, (...),, siekiant platinti ir (ar) naudoti Bendrijos rinkoje [1 str. 2 dalies h punktas [93/42/EEB].

[465] Vaistinio preparato rinkodaros teisė – asmens teisė organizuoti vaistinio preparato tiekimą rinkai, reklamą ir rinkodaros valdymo priemones [2 str. 65 punktas. Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 78-3056.].

[466] Šis fundamentalus ES farmacijos teisės principas buvo įtvirtintas dar 65/65/EEB direktyvos 3 str. [Council Directive of 26 January 1965 on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products. [1965] OJ L 22.]. Šiuo metu jis įtvirtintas 2001/83/EB direktyvos 6 str. [Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. [2001] OJ L 311] bei 726/20004/EB reglamento 3 str. [Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136.].

[467] Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. [2001] OJ L 311.

[468] Tai numatyta 2001/83/EB direktyvos 6 ir 8 str.

[469] Jei asmuo nori įgyti vaistinio preparato rinkodaros teisę kitoje ar kitose EEE valstybėse, nei ta, kurioje ši teisė jau buvo suteikta, taikoma *savitarpio pripažinimo procedūra*. Jos metu EEE valstybė arba valstybės bendradarbiaudamos nagrinėja paraišką (tapačias paraiškas) pripažinti kitos EEE valstybės suteiktą vaistinio preparato rinkodaros teisę [Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 78-3056. 2 str. 42 punktas.] Taigi pirmiausia reikia prašyti leidimo registruoti vaistą vienoje valstybėje narėje, o tada taikant savitarpio pripažinimo procedūrą prašyti kitos valstybės narės išduoti leidimą prekiauti toje valstybėje [*Europos Sąjungos teisė.* Seminarai. Vilnius: Teisinės informacijos centras, 2006, p. 1018.]. Rinkodaros teisės gali būti nepripažįstamos tik dėl priežasčių, susijusių su pavojumi visuomenės sveikatai – t. y. dėl saugumo, kokybės ir veiksmingumo pagrindų. Jei valstybėms iškyla papildomų klausimų ar jos tarpusavyje nesusitaria, diskutuojamas klausimas perduodamas Patentuotų vaistų komiteto prie Europos vaistų agentūros arbitražui.

norint pagreitinti vaistinių preparatų rinkodaros teisės įgijimą keliose EEE šalyse. Pastarosios procedūros, atsižvelgiant į naujausius teisės aktų pakeitimus yra atitinkamai reglamentuotos 2001/83/EB ir 2004/27/EB[471] direktyvose. Jos turi ir panašumų, ir skirtumų, tačiau tai tyrimo objekto atžvilgiu nėra aktualu. Šiuo atveju, aiškinantis kaip ir kodėl pakito rinkodaros teisės retiesiems vaistams suteikimas kur kas svarbiau išskirti ir aptarti kai kuriuos centralizuotos vaistų registravimo procedūros reglamentavimo raidos istorinius-teisinius momentus ir šios procedūros taikymo tam tikroms vaistų kategorijoms privalumus. Tai padės lengviau susigaudyti rinkodaros teisės retiesiems vaistams suteikimo pakeitimuose, juos įvertinti[472].

Centralizuotos vaistų registravimo procedūros pagrindinis privalumas tas, jog suteikiama galimybė atitinkamu vaistu prekiauti visose ES valstybėse narėse. Už šią procedūrą atsakinga Europos vaistų agentūra, o jos taikymo tvarką nuo 2004 metų vidurio nustato Europos Parlamento ir Tarybos reglamentas (EB) Nr. 726/2004[473] (toliau – 726/2004/EB reglamentas), pakeitęs iki tol galiojusį Tarybos reglamentą (EEB) Nr. 2309/93/EEB[474] (toliau – 2309/93/EEB reglamentas). Istoriškai svarbi ir 1986 metų gruodžio 22 dieną priimta Tarybos direktyva 87/22/EEB dėl nacionalinių priemonių, susijusių su aukštos technologijos, ypač biotechnologijos, sukurtų vaistų pateikimu į rinką, suderinimo[475], kuria buvo nustatytas koordinavimo Bendrijos lygmenyje mechanizmas, veikiantis prieš priimant nacionalinius sprendimus, susijusius su aukštos technologijos vaistais tam, kad būtų daromi vienodi sprendimai visos Bendrijos mastu. Įgyvendinant šią direktyvą įgyta patirtis ir parodė, kad naujųjų technologijų, ypač biotechnologijų būdu sukurtiems vaistams būtinai reikia nustatyti centralizuotą Bendrijos leidimų išdavimo tvarką tam, kad sprendimai dėl leidimų išdavimo tokiems vaistams būtų grindžiami objektyviais moksliniais kokybės kriterijais, tų vaistų saugumu ir veiksmingumu, o ne ekonominiais ar kitais sumetimais, kaip tai nutikdavo ar galėtų nutikti, paliekant teisę rėmėjams pasirinkti ir nacionalinę

[470] *Decentralizuota procedūra* – procedūra, kurios metu EEE valstybės bendradarbiaudamos nagrinėja tapačias paraiškas suteikti jose vaistinio preparato rinkodaros teisę, kai tokia teisė dar nesuteikta nė vienoje EEE valstybėje [Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 78-3056. 2 str. 4 punktas.]. Tokiu atveju paraiška bei atitinkamas detalus aprašas, kiti dokumentai pirmiausiai pristatoma referencinės valstybės kompetetingai institucijai, kuri parengia vaistinio preparato farmacinių, ikiklinikinių ir klinikinių tyrimų rezultatų vertinimo protokolą, kurio pagrindu kitos savitarpio pripažinimo arba decentralizuotoje procedūroje dalyvaujančios EEE valstybės priima sprendimą dėl to vaistinio preparato rinkodaros teisės suteikimo.

[471] Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. [2004] OJ L 136.

[472] Per pastarąjį dešimtmetį sparčiai keičiantis farmacijos veiklą reglamentuojančiai ES teisinei bazei 141/2000/EB reglamente liko daug nuorodų į jau panaikintas ES direktyvas bei reglamentus, todėl dabartinis retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimas yra painokas (*aut. past.*).

[473] Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136.

[474] Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. [1993] OJ L 214.

[475] Council Directive 87/22/EEC of 22 December 1986 on the approximation of national measures relating to the placing on the market of high-technology medicinal products, particulary those derived from biotechnology. [1987] OJ L 105.

procedūrą. Todėl 1993 metais liepos 22 dieną priimto 2309/93/EEB reglamento 3 straipsnio 1 dalyje buvo nustatyta, jog joks šio reglamento Priedo A dalyje nurodytas vaistas negali būti išleistas į Bendrijos rinką, jei Bendrija nėra išdavusi leidimo juo prekiauti. O šio straipsnio 2 dalyje sakoma, jog asmuo, atsakingas už 2309/93/EEB reglamento Priedo B dalyje nurodyto vaisto išleidimą į rinką, gali prašyti, kad leidimą išleisti tą vaistą į rinką Bendrija suteiktų pagal šio reglamento nuostatas – t. y. taikant centralizuotą procedūrą[476]. Paminėtų 2309/93/EEB reglamento A ir B priedų turinys rodo, jog 3 straipsnio 1 dalimi buvo įtvirtinta, jog pagal centralizuotą procedūrą turi būti privalomai registruojami vaistai, sukurti naudojant konkrečius biotechnologinius procesus[477], o 3 straipsnio 2 dalyje centralizuota procedūra *suteikta teisė* pasinaudoti ir asmenims, sukūrusiems vaistus naudojant *kitus*, nei aptariamo straipsnio 1 dalyje nurodytus biotechnologinius procesus ar naujas tiekimo sistemas, taip pat vaistus, sukurtus radioaktyvių izotopų pagrindu, išvestus iš žmogaus kraujo ar žmogaus plazmos, skirtus visiškai naujai terapinei indikacijai ir pan.[478]. Už šios procedūros įgyvendinimą atsakomybė priskirta tuo pačiu reglamentu įsteigtai Europos vaistų vertinimo agentūrai. 2001 metų lapkričio mėnesį Europos Komisija pateikė Europos Parlamentui ir Europos Tarybai du išsamius teisinius pasiūlymus[479] atlikti pakeitimus 2001/82/EB[480] ir 2001/83/EB[481] direktyvose dalinai keičiant ir praplečiant centralizuotos vaistų registravimo procedūros taikymą. 2004 metų kovą Europos Tarybos galutiniai pasiūlymai, skirti papildyti 2309/93/EEB reglamentą ir 2001/83/EB direktyvą buvo išleisti kaip Europos Parlamento ir Tarybos direktyva 2004/27/EB[482], papildanti 2001/83/EB direktyvą (toliau – 2004/27/EB direktyva) ir Europos Parlamento ir Tarybos reglamentas (EB) Nr. 726/2004 reglamentas[483] (toliau –

[476] Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. [1993] OJ L 214.

[477] 2309/93/EB reglamento Priedas A.

[478] 2309/93 reglamento Priedo B dalis: (a) Vaistai, sukurti kitais biotechnologiniais procesais, kurie, Europos vaistų agentūros (toliau – EVA) nuomone, yra svarbi naujovė. (b) Vaistai, vartojami naudojant naujas tiekimo sistemas, kurios, EVA nuomone, yra svarbi naujovė. (c) Vaistai, pateikiami dėl visiškai naujos indikacijos, kuri, EVA nuomone, yra svarbi terapiniu požiūriu. (d) Vaistai, sukurti radioaktyvių izotopų pagrindu, kurie, EVA nuomone, yra svarbūs terapiniu požiūriu. (e) Nauji vaistai, išgauti iš žmogaus kraujo ar žmogaus plazmos. (f) Vaistai, kurių gamyboje naudojami procesai, EVA nuomone, rodantys didelę techninę pažangą, kaip antai dviguba elektroforezė mikrotraukos lauke. (g) Vaistai, skirti žmonėms vartoti, turintys naują veikliąją medžiagą, kurią naudoti žmonėms skirtuose vaistuose iki šio reglamento įsigaliojimo nė viena valstybė narė nebuvo davusi leidimo. [Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. [1993] OJ L 214.].

[479] Proposal for a Regulation of the European Parliament (and the Council) laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human use (2001/0253/COD) and amending Directive 2001/82/EC on the Community code relating to veterinary medicinal products (2001/0254/COD). European Union Commision, November 26, 2001.

[480] European Parliament and Council Directive 2001/82/EC of 6 Nov 2001. [2001] OJ L 311.

[481] European Parliament and Council Directive 2001/83/EC of 6 Nov 2001. [2001] OJ L 311.

[482] Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. [2004] OJ L 136.

[483] Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136.

726/2004/EB reglamentas). Atkreiptinas dėmesys, jog 2004/27/EB direktyvos 88 straipsniu 2309/93/EEB reglamentas buvo panaikintas. O 726/2004/EB reglamente privaloma centralizuota leidimų išdavimo tvarka papildomai nustatyta dar kelioms vaistų grupėms, skirtoms tam tikrų ligų terapinėms indikacijoms.

Sistemiškai aiškinant 141/2000/EB reglamento 6 straipsnio 2 dalies, 7 straipsnio 1 dalies ir 8 straipsnio 1 dalies nuostatas, kuriose yra nuorodų į jau panaikintą 2309/93/EB reglamentą, o taip pat į jau netekusias galios 65/65/EEB bei 75/319/EEB direktyvas, matyti, jog rėmėjai galėjo (a) retąjį vaistą registruoti pagal nacionalinę ar savitarpio pripažinimo procedūrą[484], (b) privalomai kreiptis dėl Bendrijos leidimo prekiauti išdavimo, jei tai buvo vaistas sukurtas naudojant vieną iš 2309/93/EB reglamento A priede įtvirtintų biotechnologinių procesų arba (c) prašyti taikyti centralizuotą procedūrą, nereikalaujant įrodyti, kad tas vaistas atitinka reglamento priedo B dalies reikalavimus. Pastaroji nuostata reiškė, jog atsakingam už retojo vaisto pateikimą į rinką asmeniui sudaryta galimybė kreiptis į Europos vaistų agentūrą dėl leidimo prekiauti tuo vaistu, net jei jis ir nėra mokslinė, techninė ar terapinė naujovė. Tokia tvarka galiojo beveik penkerius metus.

Remiantis naujojo 726/2004/EB reglamento 3 straipsnio 1 dalimi, nurodančia, kad joks šio reglamento priede nurodytas vaistas ,,negali būti pateikiamas į rinką Bendrijoje, nebent Bendrija išdavė leidimą prekiauti“ ir atitinkamai to paties reglamento priedo 4 dalimi, – nuo 2005 metų lapkričio 20 dienos retųjų vaistų registravimo liudijimų išdavimo atveju tapo daugiau nebeįmanoma pasirinkti nacionalinės bei savitarpio pripažinimo procedūros. Kitaip tariant, centralizuota procedūra tapo privaloma visoms paraiškoms dėl leidimo prekiauti retųjų vaistų kategorijai priskirtais vaistais. Taigi asmenys, atsakingi už retojo vaisto pateikimą į rinką, norėdami gauti leidimą juo prekiauti nuo 2005 metų lapkričio 20 dienos paraiškas gali teikti tik Europos vaistų agentūrai[485]. Beje, tokį Europos Parlamento ir Tarybos sprendimą labai palaikė ir Retųjų vaistų

[484] 141/200/EB reglamento 8 straipsnio 1 dalyje numatyta, jog išduoti leidimus prekiauti retuoju vaistu galėjo valstybės narės, remdamosi 65/65/EEB direktyvos 7 ir 7a straipsniu arba kai vaistui leidimas prekiauti išduotas savitarpio pripažinimo tvarka, nustatyta 75/319/EEB direktyvos [[1975] OJ L 147.] Direktyvos paskutiniai pakeitimai, padaryti 93/39/EEB direktyvoje [[1993] OJ L 214] dėl įstatymų ir kitų teisės aktų, susijusių su patentuotais vaistais suderinimo 9 straipsnio 4 dalyje nustatyta tvarka. (2001 m.lapkričio 6 d. priėmus 2001/83/EB direktyvą, 141/2000/EB reglamento 8 str. 1 dalyje minimos direktyvos panaikintos kartu su jų papildymais. Beje, jei tam, kad vaistui būtų pritaikyta rinkos išimtinumo paskata, leidimus turėjo būtų išdavusios visos valstybės narės.

[485] Šiuo atveju, kaip ir kiekvienoje paraiškoje kreipiantis dėl leidimo prekiauti žmonėms skirtu vaistu turi būti pateikiama tam tikra išsami informacija bei dokumentai, kaip nurodyta 2001/83/EB direktyvos 8 straipsnio 3 dalyje, 10 straipsnyje, 10a straipsnyje, 10b straipsnyje arba 11 straipsnyje ir I priede. Rengiant šiuos dokumentus rėmėjas gali kreiptis pagalbos į Retųjų vaistų komitetą. Per 210 dienų Europos vaistų agentūroje, bendradarbiaujant su moksliniu Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetu (*Committee for human medicinal products*, CHMP) atlikus mokslinį vertinimą, komiteto nuomonė perduodama Europos Komisijai. Šios nuomonės pagrindu yra išduodamas leidimas prekiauti, kuris galioja visoje Bendrijoje. Jis suteikia tas pačias teises ir įsipareigojimus kiekvienai valstybei ES narei kaip ir tos valstybės narės leidimas prekiauti išduotas pagal Direktyvos 2001/83/EB 6 straipsnį. Žmonėms skirti vaistai, tarp jų ir retieji, kuriems išduodamas leidimas, įrašomi į Bendrijos vaistinių preparatų registrą, suteikiant numerį, nurodomą pakuotėje. Pranešimas apie leidimą prekiauti paskelbiamas Europos Sąjungos oficialiajame leidinyje, darant nuorodą ypač į leidimo išdavimo datą ir registracijos Bendrijos registre numerį, vaisto veikliosios medžiagos bet kurį tarptautinį nepatentuotą pavadinimą, jo farmacinę formą ir į bet kurį anatominį terapinį cheminį kodą. Leidimas prekiauti galioja penkerius metus ir gali būti pratęsiamas [Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament

komitetas, nes penkerių metų retųjų vaistų registravimo patirtis parodė, jog nacionaline arba savitarpio pripažinimo procedūra patvirtinti vaistai gavo leidimus prekiauti tik dalyje valstybių ES narių[486], o tai savu ruožtu apsunkino šių vaistų prieinamumą pacientams. Beje, griežta 726/2004/EB reglamento 3 straipsnio, interpretacija ne tik reiškia, kad po 2005 metų lapkričio 20 dienos retieji vaistai registruojami taikant centralizuotą procedūrą, bet ir tai, jog šie vaistai nuo tos datos iš tiesų net nebegali būti rinkoje neturėdami Bendrijos išduoto leidimo[487].

Taip pat atkreiptinas dėmesys į tai, kad Bendrijos leidimas prekiauti retuoju vaistu apima *tik tas* terapines indikacijas, kurios atitinka vaistų priskyrimo retiesiems kriterijus. Tai reiškia, kad ,,vaistas yra registruojamas kaip retasis ir leidimas prekiauti juo yra suteikiamas *tik tai* terapinei indikacijai dėl kurios buvo kreiptasi ir dėl kurios vaistas buvo priskirtas retiesiems“[488]. Europos Komisija formuluoja tvirtą poziciją, jog vaisto priskyrimas retųjų vaistų kategorijai ir leidimo prekiauti vaistu išdavimas yra dvi skirtingos procedūros. Tai logiška, nes rėmėjai į vaisto priskyrimą retiesiems pretenduoja labai ankstyvoje vaisto kūrimo stadijoje savo paraišką grįsdami vaisto paskirtimi tam tikrai retos ligos terapinei indikacijai. Kitose vaisto kūrimo stadijose gali paaiškėti kitokia vaisto paskirtis, todėl vykstant leidimo prekiauti išdavimo procedūrai dėl to paties vaisto jau gali būti priimtas visai kitoks sprendimas. Vis dėlto ,,neatmetama galimybė rėmėjui prašyti atskiro leidimo prekiauti ir dėl kitų indikacijų, nepriklausančių 141/2000/EB reglamento taikymo sričiai“[489]. Taigi galima situacija, kai tas pats vaistas yra skirtas ne tik retos ligos gydymui, bet ir kitiems dažniau pasitaikantiems susirgimams diagnozuoti, jų profilaktikai ar gydymui. Kita vertus, galima ir tokia situacija, kai prekybos ne retuoju vaistu leidimo turėtojas patobulina tą vaistą taip, jog jis tiktų retos ligos indikacijai. Tuomet jis gali kreiptis į Europos vaistų agentūrą dėl to vaisto priskyrimo retųjų kategorijai būtent tos naujos terapinės indikacijos pagrindu.

Kaip bebūtų 141/2000/EB reglamento 7 straipsnio 3 dalyje įtvirtinta nuostata suteikia pagrindą teigti, jog leidimo prekiauti retuoju vaistu išdavimas yra traktuojamas kitaip nei leidimo prekiauti įprastais vaistais išdavimas tam, kad teisiškai būtų visuomet užtikrinta galimybė rėmėjams pasinaudoti rinkos išimtinumo paskata dėl retoms ligoms skirtų vaistų. Todėl vertinant prekybos leidimų retiesiems vaistams suteikimo reglamentavimo kaitą, privalomos centralizuotos procedūros taikymas retiesiems vaistams traktuotinas kaip stiprėjantis Bendrijos vaidmuo derinant naujų vaistų vidaus rinką ir tuo pačiu sudarant bei užtikrinant palankesnes sąlygas retųjų vaistų prieinamumui.

---

and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136. 13 str.].

[486] COMP report to the Commision in relation to article 10 of Regulation 141/2000 on orphan medicinal products. London: European Medicines Agency, 25 July 2005, p. 13.

[487] *Ibid.*

[488] C dalies 1 punkto 2 pastraipa [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.].

[489] 7 str. 3 d. [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

3.1.2.2. „Sąlyginių leidimų“ ir „išskirtinėmis aplinkybėmis“ suteikiamų leidimų prekiauti vaistu išdavimas

Dar vienas rinkodaros teisės retiesiems vaistams suteikimo palengvinimas buvo įtvirtintas 2006 metų kovo 29 dieną priimtame Komisijos reglamente (EB) Nr. 507/2006 dėl sąlyginių leidimų prekiauti žmonėms skirtais vaistais, kuriems taikomas Europos Parlamento ir Tarybos reglamentas (EB) Nr. 726/2004/EB[490] (toliau – 507/2006/EB reglamentas). Šis reglamentas atliekamo tyrimo atžvilgiu svarbus tuo, jog sudarė sąlygas, kad vaistai skirti labai sekinančių arba gyvybei pavojų keliančių ligų gydymui, profilaktikai arba diagnozavimui, taip pat vaistai, naudojami kritiškose situacijose iškilus pavojui visuomenės sveikatai (jei tokį pavojų pripažįsta PSO arba Bendrija, atsižvelgdama į 1998 metų rugsėjo 24 dienos Europos Parlamento ir Tarybos sprendimą Nr. 2119/98/EB dėl užkrečiamųjų ligų epidemiologinės priežiūros ir kontrolės tinklo Bendrijoje sukūrimo[491]) bei pagal 141/2000/EB reglamento 3 straipsnio kriterijus retiesiems priskirti vaistai galėtų kuo greičiau tapti prieinami pacientams, kurių gydymui rinkoje tinkamų vaistų nėra.

Paprastai prieš suteikiant leidimą į vienos ar daugiau valstybių narių rinką pateikti žmonėms skirtą vaistą, jis yra išsamiai tiriamas, siekiant įsitikinti jo saugumu, aukšta kokybe ir naudojimo tiksliniams asmenims veiksmingumu. Tuo tarpu 507/2006/EB reglamente nustatyta, jog leidimai prekiauti minėtoms kategorijoms priklausančiais vaistais gali būti suteikiami ir remiantis mažiau išsamiais duomenimis nei įprastai[492]. Reglamentas nustato, jog *vieneriems metams* gali būti išduoti vadinamieji "sąlyginiai leidimai"[493]. Ši procedūra angliškai vadinama *conditional marketing authorisation*.

Remiantis 507/2006/EB reglamento 4 straipsniu, sąlyginis leidimas prekiauti gali būti išduotas tada, kai Žmonėms skirtų vaistų komitetas nustato, kad, nors ir nėra pateikti išsamūs klinikiniai duomenys dėl vaisto saugumo ir efektyvumo, vaistas tenkina visus šiuos reikalavimus: vaisto naudos ir rizikos santykis yra teigiamas; panašu, kad pareiškėjas galės pateikti išsamius klinikinius duomenis; bus patenkintas pacientų, kuriems nėra tinkamų vaistų, gydymo poreikis; nauda, kuri yra suteikiama visuomenės sveikatai iškart pradedant prekiauti rinkoje konkrečiu vaistu,

[490] Commission regulation (EC) No 507/2006 of 29 March 2006 on the conditional marketing authorisation for medicinal products for human use falling within the scope of Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council. [2006] OJ L 192.

[491] Decision No 2119/98/EC of the European Parliament and of the Council of 24 September 1998 setting up a network for the epidemiological surveillance and control of communicable diseases in the Community. [1998] OJ L 268.

[492] Prieš suteikiant leidimą pateikti į vienos ar daugiau valstybių narių rinką žmonėms skirtą vaistą, jis paprastai yra išsamiai tiriamas siekiant įsitikinti jo saugumu, aukšta kokybe ir naudojimo tiksliniams asmenims veiksmingumu. 2001/83/EB direktyvoje dėl Bendrijos kodekso, reglamentuojančio žmonėms skirtus vaistus ir 726/2004/EB reglamente yra nustatytos taisyklės ir tvarka, įprastai taikomos siekiant gauti leidimą prekiauti vaistais.

[493] Preambulės 2 pastr. ir 2 str. 1 d. 3 punktas, 6 str. 1 d. [Commission regulation (EC) no 507/2006 of 29 March 2006 on the conditional marketing authorisation for medicinal products for human use falling within the scope of Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council. [2006] OJ L 192.].

yra didesnė nei pavojus, kuris gali kilti dėl to fakto, kad dar reikėtų papildomų duomenų. Šiuo atveju "tinkamų vaistų nebuvimas" reiškia tokią padėtį, kai nėra Bendrijoje registruotų tinkamų diagnozavimo, profilaktikos arba gydymo metodų arba, net jei tokie metodai yra, naujas vaistas suteiks didelę terapinę naudą sergantiesiems.

Taigi sąlyginiai leidimai prekiauti vaistais gali būti išduodami tik tokiais atvejais, kai paraiškos dėl leidimo prekiauti dokumentuose mažiau išsami nei įprastai yra tik klinikinių tyrimų dalis. Neišsamūs ikiklinikiniai arba farmaciniai duomenys priimami tik tuo atveju, jei produktas skirtas naudoti kritiškose situacijose, kovojant su visuomenės sveikatai iškilusiais pavojais.

Pareiškėjams, norintiems įgyti tokį leidimą, nustatyti tam tikri įpareigojimai – reikalaujama, kad leidimo turėtojas užbaigtų arba pradėtų konkrečius tyrimus, leidžiančius patvirtinti, kad naudos ir rizikos santykis yra teigiamas ir išspręstų visus klausimus susijusius su produkto kokybe, saugumu ir veiksmingumu. Bet kuriuo laikotarpiu po šių įpareigojimų įvykdymo Komitetas gali priimti teigiamą nuomonę dėl leidimo prekiauti išdavimo pagal 726/2004/EB reglamento 14 straipsnio 1 dalį – t. y. leidimas gali būti išduotas įprastiniam penkerių metų periodui[494].

507/2006/EB reglamentas taikomas paraiškoms, pateiktoms nuo 2006 metų balandžio 3 dienos. Numatyta, jog prašymą suteikti sąlyginį leidimą prekiauti vaistu galima pateikti kartu su paraiška pagal 726/2004/EB reglamento 6 straipsnį. Kartu su prašymu turi būti pateikti ir jau minėti duomenys, pagrindžiantys 507/2006/EB reglamento taikymą preparatui[495].

Atkreiptinas dėmesys, jog sąlyginiai leidimai prekiauti žmonėms skirtais vaistais skiriasi nuo „išskirtinėmis aplinkybėmis“ pagal 726/2004/EB reglamento 14 straipsnio 8 dalį vaistams išduodamų leidimų – t. y. procedūros, kuri angliškai vadinama *marketing authorization under exceptional circumstances*. Išskirtinėmis aplinkybėmis leidimai prekiauti vaistu gali būti suteikti tik dėl objektyvių ir įrodomų priežasčių – t. y. jei tam tikrų terapinių indikacijų atžvilgiu pareiškėjas sugeba įrodyti, kad jis negali pateikti išsamių duomenų apie vaistų kokybę, veiksmingumą ir saugumą dėl vieno iš šių motyvų: (a) indikacijų, kurioms tas gaminys skiriamas, pasitaiko taip retai, kad paraiškos pateikėjas pagrįstai negali gauti išsamių įrodymų, arba (b) pagal dabartines mokslo žinias neįmanoma gauti išsamios informacijos, arba (c) tokios informacijos rinkimas prieštarautų visuotinai pripažintiems medicinos etikos principams[496].

Lyginant šiame disertacijos skirsnyje aptartas dvi galimas rinkodaros teisių suteikimo lengvatas, kuriomis gali pasinaudoti ir retųjų vaistų rėmėjai, matyti, jog sąlyginio leidimo prekiauti žmonėms skirtais vaistais atveju leidimas yra išduodamas dar negavus visų duomenų, tačiau nenumatoma, kad leidimas išliktų sąlyginiu neribotą laikotarpį. Atvirkščiai, pateikus trūkstamus

[494] Preambulės 5 pastr. ir 5 str. [Commission regulation (EC) no. 507/2006 of 29 March 2006 on the conditional marketing authorisation for medicinal products for human use falling within the scope of Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council. [2006] OJ L 192.].

[495] *Ibid.,* 3 str.

[496] Šie motyvai nurodyti 2001/83/EB direktyvos I priedo 4 skyriaus G poskyryje.

duomenis, įmanoma sąlyginį leidimą prekiauti pakeisti nesąlyginiu, t. y. tokiu, kurio išdavimui nėra nustatyta tam tikrų įpareigojimų. Tuo tarpu suteikus leidimą prekiauti išskirtinėmis aplinkybėmis nesitikima, jog išsami informacija bus pateikta[497]. Todėl suteiktas leidimas pratęsiamas su kasmet atliekamu pakartotiniu šių sąlygų įvertinimu. Tačiau iš pareiškėjo vis tik reikalaujama paisyti vaistų saugumo užtikrinimo tvarkos ir pranešti kompetentingoms institucijoms apie bet kokį įvykį, susijusį su tokio vaisto vartojimu[498].

2006 metų duomenimis, dėl įvairių problemų atliekant klinikinius tyrimus, net 61 procentas registruotų retųjų vaistų buvo patvirtinti išskirtinėmis aplinkybėmis, kas reikštų, jog nebuvo surinkta pakankamai įrodymų dėl jų saugumo ir veiksmingumo[499]. Todėl tikrai verta sutikti su B.M. Buckley pastaba, jog tam, kad būtų užtikrintas tokiomis sąlygomis patvirtintų retųjų vaistų saugumas būtina įteisinti, jog būtų vykdoma sisteminga, koordinuota ir išsami porinkodarinė visų retųjų vaistų priežiūra[500] – t. y. dėl visų retųjų vaistų atliekamas vadinamasis poregistracinis saugumo tyrimas[501].

3.1.3. Rinkos išimtinumo patvirtintam retajam vaistiniam preparatui paskata

3.1.3.1. Rinkos išimtinumo sampratos akcentai

Rinkos išimtinumas vertintinas kaip svarbiausia, veiksmingiausia ir labiausiai viliojanti paskata farmacijos ir biotechnologijų įmonėms, kuriančioms naujus retų ligų diagnozavimui, profilaktikai ar gydymui skirtus vaistus bei naudingas pasiūlymas tiems retoms ligoms gydyti skirtiems vaistams, kuriems pasibaigė patentinė apsauga.

141/2000/EB reglamento 8 straipsnio 1 dalyje nustatyta, jog Bendrija ir valstybės narės 10 metų nepriima kitos paraiškos išduoti leidimą prekiauti, neišduoda leidimo prekiauti ir nepriima paraiškos pratęsti leidimo prekiauti panašiu vaistu dėl tų pačių terapinių indikacijų[502]. Šios taisyklės

[497] Guideline on procedures for the granting of a marketing authorisation under exceptional circumstances, pursuant to article 14 (8) of Regulation (EC) No 726/2004. Committee for Medicinal Products for Human Use. London, 15 December 2005. Prieiga per internetą: <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/euleg/ 35798105en.pdf>; Preambulės 6 pastraipa [Commission regulation (EC) no 507/2006 of 29 March 2006 on the conditional marketing authorisation for medicinal products for human use falling within the scope of Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council. [2006] OJ L 192.].

[498] 14 str. 8 d. [Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136.].

[499] De BARROS, C. M. T., PAPOILA, A. L. Therapeutic profile of orphan medicines. *Pharmacoepidemiol Drug Saf.* 2007, 16(4): 435.

[500] BUCKLEY, B. M. Clinical trials of orphan medicines. *Lancet.* 2008, 371: 2055.

[501] *Poregistracinis saugumo tyrimas* – farmakologinis epidemiologinis ar klinikinis tyrimas, atliekamas laikantis vaistinio preparato rinkodaros pažymėjimo sąlygų, siekiant nustatyti ar kiekybiškai įvertinti šio vaistinio preparato saugumą [Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 78-3056. 2 str. 34 d.].

[502] 8 str. 1 d. [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

išimtys numatytos to paties straipsnio 3 dalyje, kur sakoma, jog leidimas prekiauti panašiu vaistu dėl tų pačių terapinių indikacijų, gali būti išduotas, tik jei: (a) leidimo prekiauti pirmuoju retuoju vaistu turėtojas yra davęs sutikimą antrajam pareiškėjui arba (b) leidimo prekiauti pirmuoju retuoju vaistu turėtojas negali tiekti pakankamo to vaisto kiekio, arba (c) antrasis pareiškėjas gali paraiškoje įrodyti, kad antrasis vaistas, nors ir panašus į jau turintį leidimą retąjį vaistą, yra saugesnis, veiksmingesnis arba kitaip kliniškai pranašesnis.

Akivaizdu, jog svarbiausi 8 straipsnio 1 ir 3 dalies nuostatų akcentai, galintys geriausiai atskleisti rinkos išimtinumo paskatos turinį yra nustatyto 10 metų rinkos apsaugos periodo taikymo ypatumai ir dvi sąvokos ,,panašus vaistas“ ir ,,klinikinis pranašumas“.

Dešimties metų rinkos išimtinumo paskata, suteikiama rėmėjui išdavus leidimą prekiauti retuoju vaistu yra labiausiai masinanti paskata, nes ja retųjų vaistų rėmėjams suteikiamos išskirtinės teisės prekiauti sukurtu vaistu. Tačiau reikia pastebėti, jog ši taisyklė nėra absoliuti. Jai taikoma ir pora išimčių. Viena iš jų – ribojanti. 141/2000/EB reglamentas numato, kad jei vaistas nebeatitinka šio reglamento 3 straipsnyje nustatytų vaistų priskyrimo retiesiems kriterijų turint įrodymų, jog jo pardavimai pakankamai pelningi, rinkos išimtinumo laikotarpis penktųjų metų pabaigoje nuo 10 metų gali būti sutrumpintas iki 6 metų[503], nes tolesnis rinkos išimtinumas tokiu atveju yra nepateisinamas (pastaroji nuostata yra labai įdomi, literatūroje sukėlusi daug diskusijų, todėl disertacijos 3.1.1.3. skirsnyje bus analizuojama atskirai kaip rinkos išimtinumo sutrumpinimo pagrindas).

Kita išimtis buvo pradėta taikyti nuo 2006 metų pabaigos. Priėmus Europos Parlamento ir Tarybos reglamentą (EB) Nr. 1901/2006 dėl pediatrijoje vartojamų vaistinių preparatų[504] pediatrijoje naudojamiems retiesiems vaistams 10 metų rinkos išimtinumo periodas pratęstas iki 12 metų. Dveji rinkos apsaugos metai pridedami už tai, kad laikomasi pediatrinių tyrimų plano[505] (37 str.). Tokia papildoma rinkos apsaugos garantija numatyta siekiant palengvinti vaikų populiacijai skirtų vaistinių preparatų kūrimą ir jų prieinamumą bei užtikrinti, kad dėl vaikams skirtų vaistinių preparatų būtų atliekami aukštos kokybės etiški moksliniai tyrimai[506].

---

[503] *Ibid.,* 8 str. 2 d.

[504] Regulation (EC) No.1901/2006 of the European Parliament and the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use and amending Regulation (EEC) No 1768/92, Directive 2001/20/EC, Directive 2001/83/EC and Regulation (EC) no 726/2004. [2006] OJ L 378.

[505] Iki šiol nemažai vaistų buvo skiriami vaikams gydyti neatlikus reikiamų tyrimų ar negavus leidimo juos vartoti šiam tikslui ir dėl to stigo informacijos apie tinkamas vaistų dozes, dėl netinkamo vaisto vartojimo kildavo nepageidaujamų reakcijų, mirčių, ar gydymas būdavo neveiksmingas. 2008 m. ES teisės aktais nustatytas reikalavimas atlikti pediatrinius klinikinius tyrimus visiems naujiems ir vaikams gydyti jau vartojamiems registruotiems, bet pediatrinėse populiacijose netirtiems vaistams, vadovaujantis nustatytu ir patvirtintu Pediatrinių tyrimų planu (angl. *Pediatric Investigation Plan*). Įsigaliojo tvarka, jog farmacijos kompanijos pateikta paraiška gauti leidimą prekiauti vaistu Bendrijoje turi apimti ir vaisto Pediatrinio tyrimo planą arba gauti išimtį, jei vaistas netaikomas vaikams gydyti.

[506] Plačiau vaikų gydymo vaistais teisinio reglamentavimo temą nagrinėja D. Stakišatis straipsnyje ,,Vaikų gydymo vaistais teisinio reglamentavimo aspektai“ [*Jurisprudencija.* 2008, 12(114): 36–43.]

Kiti dominantys aspektai – ,,panašaus vaisto“ ir vaisto ,,klinikinis pranašumo“ sąvokos yra išaiškintos 847/2000/EB reglamente[507], o vertinimo principai ir tvarka išsamiai išdėstyta 2008 metų rugsėjį Europos vaistų agentūros priimtose gairėse[508]. Panašus vaistas – tai vaistas, savo sudėtyje turintis panašios veikliosios medžiagos kaip ir retajame vaiste, kuriuo prekiauti jau yra leista[509]. Draudimas Bendrijai ir valstybėms narėms išduoti leidimą prekiauti, priimti paraišką leidimui prekiauti ar pratęsti turimą leidimą prekiauti panašiu vaistu tai pačiai terapinei indikacijai, kaip nustatyta 141/2000/EB reglamento 8 straipsnio 3 dalyje, yra imperatyvi norma, tačiau reikia pastebėti, jog ,,ji jokiu būdu neįtvirtina, jog apskritai uždraudžiama prekiauti kitu vaistu tai pačiai terapinei indikacijai, nes tai reikštų nepagrįstus apribojimus tiek gydymo inovacijoms, tiek pažeistų trečiųjų šalių interesus bei pacientų lūkesčius“[510]. Tai įrodo, jog 141/2000/EB reglamento paskirtis nėra monopolio sukūrimas ar tolesnio retųjų vaistų, skirtų net ir toms pačioms terapinėms indikacijoms, kūrimo ir mokslinių tyrimų stabdymas. Pavyzdžiui, remiantis 8 straipsnio 3 dalies c punktu, pareiškėjas gali kreiptis į Europos vaistų agentūrą dėl leidimo prekiauti panašiu vaistu tai pačiai terapinei indikacijai, nesvarbu, ar tas antrasis vaistas, dėl kurio teikiama paraiška, yra priskirtas retųjų vaistų kategorijai ar ne[511]. Šiuo atveju antrajam pareiškėjui pavykus įrodyti, kad jo vaistas, nors ir panašus į jau turintį leidimą retąjį vaistą, yra saugesnis, veiksmingesnis arba kitaip kliniškai pranašesnis, jis gali gauti leidimą prekiauti tuo vaistu.

Vaisto ,,klinikinis pranašumas“ reiškia, jog rėmėjas tiesioginiais lyginamaisiais klinikiniais tyrimais gali įrodyti didesnį nei jau leidžiamo vartoti retojo vaisto veiksmingumą arba saugumą, ar didesnį veiksmingumą diagnozuojant ligą ar prižiūrint ligonius[512]. Jei antrasis vaistas, dėl kurio keiptasi buvo priskirtas retųjų vaistų kategorijai ir gauna leidimą prekiauti, tuomet – antrasis pareiškėjas turi ,,dalintis“ rinkos išimtinumo teise su pirmuoju pareiškėju likusį iš 10 metų rinkos išimtinumo laikotarpį, nebent atsirastų įrodymų, jog pirmasis vaistas yra pakankamai pelningas ir tolesnis rinkos išimtinumas jam yra nebepateisinamas. Jei antrasis vaistas, teikiant paraišką nebuvo priskirtas retiesiems, pasibaigus pirmojo pareiškėjo rinkos išimtinumo teisės laikotarpiui, antrasis

[507] Commission Regulation (EC) No 847/2000 of 27 April 2000 laying down the provisions for implementation of the criteria for designation of a medicinal product as an orphan medicinal product and definitions of the concepts „similar medicinal product“ and ,,clinical superiority“. [2000] OJ L 103.

[508] Reglamento (EB) Nr. 141/2000 8 straipsnio 1 ir 3 dalių taikymo gairės. Vaistų ir rinkodaros pažymėjimus turinčių retųjų vaistų, kuriems suteikta teisė į rinkos išimtinumą, panašumo vertinimas ir su rinkos išimtinumu susijusių nukrypti leidžiančių nuostatų taikymas. [2008] OL C 242/12.

[509] 3 str. 3dalies b punktas [Commission Regulation (EC) No 847/2000 of 27 April 2000 laying down the provisions for implementation of the criteria for designation of a medicinal product as an orphan medicinal product and definitions of the concepts „similar medicinal product“ and ,,clinical superiority“. [2000] OJ L 103.].

[510] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 4 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-03-25]. <http://ec.europa.eu/enterprise/ pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory_2006_08.pdf>.

[511] D dalies 5 punkto 1 pastr. [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.].

[512] 3 str. 3 d. d punktas [Commission Regulation (EC) No 847/2000 of 27 April 2000 laying down the provisions for implementation of the criteria for designation of a medicinal product as an orphan medicinal product and definitions of the concepts ,,similar medicinal product“ and ,,clinical superiority“. [2000] OJ L 103.].

pareiškėjas gali gauti rinkos išimtinumo teisę visam numatytam 10 metų periodui, jei tuo laiku vaistas atitiks priskyrimo retiesiems kriterijus. Jei trečiasis pareiškėjas norėtų įgyti leidimą prekiauti panašiu vaistu tai pačiai terapinei indikacijai, jis turėtų įrodyti to vaisto didesnį klinikinį pranašumą, nei bet kurio kito retiesiems priskirto vaisto, kuriuo prekiauti leidimas jau suteiktas. Jei jam pasiseka – vėlgi rinkos išimtinumo teise tenka dalintis su pirmaisiais dviem leidimų prekiauti turėtojais[513].

Jei Europos vaistų agentūrai vienu metu pateikiamos dvi paraiškos išduoti rinkodaros pažymėjimus galimai panašiems retiesiems vaistams, sprendžiant šią situaciją galimos kelios alternatyvos. *Išimtiniais atvejais,* kai paraiškos išduoti rinkodaros pažymėjimus vaistams, skirtiems *toms pačioms* retoms ligoms gydyti, yra gautos *tuo pačiu* metu ir nagrinėjamos atsižvelgiant į galiojančius farmacijos teisės aktus, o išdavimo *procedūra vyksta tuo pačiu metu*, nuomonės apie abiejų vaistų panašumą pateikti nereikia. Kita vertus, jei dėl dviejų kartu pateiktų paraiškų išduoti rinkodaros pažymėjimus ypatumų, jų išdavimo procedūra *vyksta ne tuo pačiu metu*, būtina pateikti nuomonę apie atitinkamų vaistų panašumą. Išdavus vieno vaisto rinkodaros pažymėjimą, pareiškėjas, kuris kreipėsi dėl kito (antrojo) vaisto, yra nedelsiant informuojamas apie galimai panašaus retojo vaisto rinkodaros pažymėjimo išdavimą. Taip pat pareikalaujama, kad jis pateiktų ataskaitą apie vaistų panašumą ir, prireikus, informacijos apie vieną iš 8 straipsnio 3 dalyje nustatytų nukrypti leidžiančių nuostatų[514] – t. y. savo vaisto klinikinį pranašumą, leidimo prekiauti pirmuoju retuoju vaistu turėtojo sutikimą, kad antrasis pareiškėjas gautų leidimą prekiauti panašiu vaistu arba įrodymų, jog pirmasis pareiškėjas negali tiekti rinkai to vaisto pakankamai. Paaiškintina, kad jei leidimo prekiauti pirmuoju retuoju vaistu turėtojas sutinka, jog antrajam pareiškėjui būtų išduotas leidimas prekiauti panašiu retuoju vaistu tai pačiai terapinei indikacijai, jis tai turi patvirtinti raštu. Įrodymai, kad gamintojas negali tiekti pakankamo retojo vaisto kiekio turi būti pagrįsti kiekybiniais rodikliais, taip pat išdėstytos vaisto tiekimo problemos ir paaiškinta, kodėl tas gamintojas negalėtų įgyvendinti atitinkama reta liga sergančių pacientų gydymo, diagnozavimo ar profilaktikos poreikių[515].

3.1.3.2. Patentuotų retoms ligoms gydyti skirtų vaistų ir retųjų vaistų rinkos išimtinumo statuso interakcijos

[513] D dalies 5 punkto 1 ir 2 pastr. [Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.].

[514] Reglamento (EB) Nr. 141/2000 8 straipsnio 1 ir 3 dalių taikymo gairės. Vaistų ir rinkodaros pažymėjimus turinčių retųjų vaistų, kuriems suteikta teisė į rinkos išimtinumą, panašumo vertinimas ir su rinkos išimtinumu susijusių nukrypti leidžiančių nuostatų taikymas. [2008] OL C 242/12.

[515] European Commission guideline on aspects of the application of Article 8 of Regulation (EC) No. 141/2000: assessment of similarity and/or clinical superiority of orphan medicinal products when assessing marketing authorizations and variations. December 2004, p. 4.

Aiškinantis likusius rinkos išimtinumo paskatos retiesiems vaistams ypatumus, kitas klausimas – rinkos išimtinumo statuso pranašumas lyginant su patentine apsauga. Reikia nustatyti: kuo retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kūrėjams gali būti patraukli 141/2000/EB įteisinta rinkos išimtinumo paskata?, kuri iš šių sistemų yra pranašesnė? ir kaip šios dvi sistemos sąveikauja esant dviejų laikotarpių ir teisių, įgytų skirtingais būdais sutapčiai?

Pastebėtina, kad pagrindinis panašumas tarp rinkos išimtinumo paskatos ir patentinės sistemos – ribotas rinkodaros teisių apsaugos laikotarpis. Tiek patentų sistema, tiek retųjų vaistų kūrimo skatinimo sistema (JAV, Japonijos ir ES) suteikia išimtines teises rinkoje ribotam laikotarpiui, – tik patento galiojimo laikotarpis yra 20 metų, o pagal retųjų vaistų paskatų sistemą rinkos išimtinumas su tam tikromis išlygomis minėtose šalyse galioja nuo 7 iki 12 metų.

Kalbant apie vienos ar kitos sistemos pranašumą, pastebėtina, jog literatūroje bemaž vieningai sutariama, jog rinkos išimtinumo paskata retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kūrėjams yra naudingesnė nei patentinė apsauga. Pirmasis pranašumas tas, kad retiesiems vaistams rinkos išimtinumo laikotarpis prasideda ne atitinkamą vaistą priskyrus retųjų vaistų kategorijai, bet tik įregistravus jį – t. y. suteikus leidimą juo prekiauti. Tuo tarpu patentas suteikia išimtines teises rinkoje vos tik įgytas (arba paskelbus apie jo suteikimą). Kadangi dėl patentinės apsaugos dažniausiai kreipiamasi ankstyvoje vaisto kūrimo stadijoje, daug patento teikiamos apsaugos laikotarpio gali būti prarasta dar iki tol, kol vaistas atsidurs rinkoje, nes patentinė apsauga visiškai nepriklauso nuo vaisto registravimo proceso. Kitas rinkos išimtinumo paskatos pranašumas patentų apsaugos atžvilgiu, – naujumo kriterijus. Tam, kad įgytų patentą vaisto kūrėjui reikia įrodyti jo naujumą. Tuo tarpu tam, kad būtų suteiktas rinkos išimtinumas pagal 141/2000/EB reglamentą, užtenka, jog vaistas tenkintų retojo vaisto sampratos kriterijus ir būtų registruotas kaip toks[516].

Aiškinantis kaip šios dvi sistemos sąveikauja tarpusavyje, reikia atkreipti dėmesį į 141/2000/EB reglamento 8 straipsnio žodžius, jog ,,Bendrija ir valstybės narės 10 metų nepriima kitos paraiškos išduoti leidimą prekiauti, neišduoda leidimo prekiauti ir nepriima paraiškos pratęsti turimą leidimą prekiauti panašiu vaistu dėl tų pačių terapinių indikacijų *nepažeidžiant intelektinės nuosavybės teisės ar kurių nors kitų Bendrijos teisės nuostatų*“[517]. Pasvirusiu tekstu išskirta formuluotė kaip reikšminga buvo įterpta dar pradinėse reglamento rengimo stadijose, nes buvo suvokta būtinybė aiškiai teisiškai įtvirtinti, jog rinkos išimtinumo paskata nesuteikia retojo vaisto rėmėjui teisės pažeisti bendrųjų intelektinės nuosavybės teisės normų. Vadinasi retųjų vaistų gaminimas ar pardavimas pažeidžiant trečiosios šalies turimas patento teises yra vertintinas kaip

[516] DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D.J. Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. *British Journal of Clinical Pharmacology* [interaktyvus]. 2006, 62(3): 268 [žiūrėta 2008-07-10]. <http://www.pubmed central.nih.gov/articlerender.fcgi?artid =1885144>.

[517] 8 str. 1 d. [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

intelektinės nuosavybės teisės pažeidimas. Tačiau, jei dėl susikirtusių skirtingų interesų byla būtų svarstoma teisme, G. De Luca teigimu, retųjų vaistų rėmėjas galėtų pasiremti tokiais argumentais kaip sunkus ligos, kurios gydymui vaistas skirtas pobūdis bei visuomenės intereso apsauga[518].

Aiškinantis, kokios pasekmės kiltų, jei abiejų sistemų suteikiami apsaugos laikotarpiai panašiems vaistams (skirtiems tai pačiai arba skirtingoms retos ligos terapinėms indikacijoms) sutaptų ir susikirstų dviejų ar daugiau įmonių teisės ir interesai, pravartu pasitelkti dvi hipotetines situacijas, formuluojamas ką tik minėtos autorės straipsnyje[519]. Pirmoji jų tokia: tarkim įmonės A vaistas X buvo priskirtas retiesiems ir remiantis 141/2000/EB reglamentu prekybai šiuo vaistu suteiktas 10 metų rinkos išimtinumo laikotarpis. Jei įmonė B turi patentą tokiam pačiam vaistui X tik skirtam *kitai* terapinei indikacijai, ji įmonei A gali pareikšti ieškinį dėl patento pažeidimo ir pareikalauti kompensacijos dėl sustabdytos vaisto gamybos ar/ir pardavimų. Toks teisių gynimo būdas paremtas lygybės principu ir nuostata, jog pažeidimas sukelia žalą patento turėtojui. Pastebėtina, jog intelektinės nuosavybės teisių „pažeidėjas“ – t. y., įmonė A, siekdama išvengti prekybos draudimų šiuo atveju gali savo veiksmus argumentuoti jų svarba visuomenės interesams, tuo jog uždraudus prekiauti vaistu X, patirs žalą reta liga sergantys pacientai. Atsižvelgiant į konkrečias aplinkybes, manytina, kad yra tikimybė, jog teismas atmestų prašymą uždrausti prekybą įmonės A vaistu, tačiau įpareigotų įmonę A atlyginti įmonės B patirtus nuostolius.

Tačiau, jei patento savininkas jau gamina tokius pačius ar labai panašius vaistus *tai pačiai* retos ligos *indikacijai*, įmonės A vaisto pardavimo uždraudimas būtų tinkamiausia priemonė. Visuomenės ar reta liga sergančių pacientų intereso argumentas tam, kad įmonės A vaistas pasiliktų rinkoje tokioje situacijoje nebūtų svarus. Patento turėtojo teisės šiuo atveju būtų viršesnės ir jis galėtų išsireikalauti žalos atlyginimo ir atitinkamam laikui likti vieninteliu tokio vaisto pardavėju. Taigi retojo vaisto savininkas patirtų nuostolių. Todėl numanant tokią situaciją svarbu, kad įmonės kuo anksčiau pradėtų tarpusavyje derėtis siekiant abipusio kompromiso. Teismas šiuo atveju galėtų leisti, jog įmonės A vaistas pasiliktų rinkoje tol, kol Europos vaistų agentūra patvirtintų įmonės B vaistą (tokį patį ar alternatyvų preparatą) kaip retąjį, ir tam tikrą laikotarpį po to. Taip pat turėtų būti atlyginta įmonės B patirta žala[520].

Kita hipotetinė situacija yra tokia: tarkim, įmonė B, turinti vaisto X patentą norėtų jį pardavinėti kaip skirtą *tai pačiai* retos ligos indikacijai, kuriai skirtam vaistui įmonė A jau yra įgijusi rinkos išimtinumą. Šiuo atveju, Europos vaistų agentūra neregistruotų įmonės B vaisto kaip retojo, kol nesibaigs įmonei A suteiktas rinkos išimtinumo laikotarpis. Taigi vaistas X, gaminamas patento savininko įmonės B, negalės būti pardavinėjamas kaip skirtas tai pačiai retos ligos

[518] De LUCA, G. Orphan drugs and patents: an attempt to clarify the relationship existing between two systems. *Pharmaceuticals Policy and Law*. 2001, 3: 67–68.
[519] *Ibid.*
[520] *Ibid.*

indikacijai, kaip ir įmonės A vaistas. Tačiau jei vaistas X patektų į rinką kaip skirtas tai pačiai terapinei indikacijai kaip ir įmonės B vaistas, pastaroji galėtų pareikšti ieškinį įmonei A dėl patento pažeidimo. Kiltų tokios pat pasekmės, kaip ir prieš tai nagrinėtoje situacijoje.

Iš to seka išvada, jog nei įmonė, kurios vaistas buvo registruotas kaip retasis, nei tokio paties ar panašaus vaisto patento turėtojas nėra vienas nuo kito nepriklausomi. Retojo vaisto savininko priklausomybę nuo patento turėtojo sąlygoja faktas, jog suteikta teisė naudotis rinkos išimtinumo paskata neišplečia šios teisės turėtojo teisių patento savininko atžvilgiu.

3.1.3.3. Rinkos išimtinumo laikotarpio sutrumpinimo pagrindai

Disertacijos 3.1.1.1. skirsnyje pristatant dešimties metų rinkos išimtinumo išimtis, užsiminta, jog vos tik priėmus 141/2000/EB reglamentą daug diskusijų sukėlė jo 8 straipsnio 2 dalies nuostata, teigianti, jog tais atvejais, kai retasis vaistas baigiantis penktiesiems prekyba juo metams nebeatitinka 141/2000/EB reglamento 3 straipsnyje nustatytų kriterijų, *inter alia*, turint įrodymų, jog dėl jo *pakankamo pelningumo* tolesnis rinkos išimtinumas yra nepateisinamas, – išimtinumo laikotarpis penktųjų metų pabaigoje nuo 10 metų gali būti sutrumpintas iki 6 metų[521].

Reglamente nepaaiškinta, kokio dydžio pelnas, gautas parduodant retąjį vaistą galėtų būti ar bus traktuojamas kaip ,,pakankamas“, todėl kilo šios teisės normos interpretacijos problema. Reglamentui įsigaliojus net pasigirdo nuogąstavimų, jog pastaroji nuostata taps neigiamu psichologiniu veiksniu, atstumiančiu potencialius retųjų vaistų rėmėjus, esą sukeliant jiems abejonių ar jų lūkesčiai dėl 10 metų rinkos išimtinumo laikotarpio bus pilnai patenkinti ir jų investicijos atsipirks.

Kadangi penkerių metų periodas nuo to laiko, kuomet ES buvo užregistruotas pirmasis retasis vaistas ėjo į pabaigą, 2004 metų pabaigoje Europos Komisijos užsakymu prancūzų mokslininkai atliko nepriklausomą tyrimą[522], skirtą 141/2000/EB reglamento 8 straipsnio 2 dalies, kurioje kalbama apie ,,pakankamo pelningumo“ faktorių, geresniam supratimui. Tuo tikslu buvo apklaustos visos suinteresuotų asmenų grupės: retuosius vaistus kuriančių ir gaminančių farmacijos ir biotechnologijų įmonių vadovai, valstybių ES narių kompetentingų institucijų atstovai, pacientų organizacijų asociacijos ir jų aljansas Eurordis, Europos vaistų agentūra ir Retųjų vaistų komitetas. Paaiškėjo, jog visuotinai priimtino ekonominio ir teisinio metodo, skirto išmatuoti retojo vaisto pelningumą, nėra. Tyrimo autorių žiniomis, pasaulyje apskritai nėra vieningos sistemos ar metodo,

[521] 8 str. 2 d. [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

[522] De VARAX, A., LETELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Considerations on the application of article 8.2 of EC regulation No. 141/2000 concerning orphan drugs. Paris: Alcimed, 2005, p. 5 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-03-14]. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/pricestudy/final_final_ report _ part_ 2_web.pdf>.

skirto tiksliai įvertinti vaisto pelningumą[523]. Todėl mokslininkai nusprendė išskirti tik galimas ,,pakankamo pelningumo“ vertinimo metodikas ir jų interpretacijas. Deja, jiems iš karto kilo neaiškumų: (1) ar baigiantis penktiesiems rinkos išimtinumo metams retojo vaisto pelningumas turėtų būti išmatuojamas tik vienos terapinės indikacijos ar kiekvienos atskirai terapinės indikacijos, ar visų terapinių indikacijų dėl kurių jam šis statusas buvo suteiktas atžvilgiu?; (2) ar turėtų būti vertinamas visų retųjų vaistų, kuriais išduoti leidimai prekiauti, pelningumas ar tik tų, kuriems retojo vaisto statusas buvo suteiktas remiantis ,,nepakankamos investicijų grąžos“ kriterijumi, įtvirtintu 141/2000/EB reglamento 3 straipsnio 1 dalies b punkte – t. y. rėmėjams įrodžius, kad vaistas yra skirtas gyvybei pavojingos, sekinančios ar lėtinės ir sunkios ligos Bendrijoje diagnozavimui, profilaktikai arba gydymui ir, kad be paskatų neįtikėtina, jog pardavus šį vaistą Bendrijoje būtų gauta pakankamai įplaukų, kad būtų susigrąžintos investicijos[524]. Beje, pastebėtina, jog iki 2005 metų pabaigos nei vienam vaistui retojo vaisto statusas nebuvo suteiktas remiantis tik pastaruoju ,,investicijų grąžos“ kriterijumi. O JAV beveik dviejų dešimtmečių patirtis šioje srityje parodė, jog tokių atvejų pasitaikė vos keletas; (3) kokios geografinės teritorijos atžvilgiu turėtų būti vertinamas vaisto pelningumas: Europos, tarptautiniu ar nacionaliniu mastu?[525]; (4) ar turėtų būti vertinamas tik prekybos vaistu penktųjų metų pelningumas ar apskritai visos išlaidos ir įplaukos nuo vaisto kūrimo pradžios iki momento, kuomet nuo leidimo prekiauti vaistu išdavimo praeis penkeri metai?[526]

Tyrimo autoriai ,,pelningumo pakankamumą“ siūlė vertinti pagal du rodiklius: (1) kaip įmonės iš atitinkamo produkto gaunamą naudą, atsižvelgiant į įplaukų ir išlaidų skirtumą; arba (2) atsižvelgiant tik į gaunamas įplaukas, pastaruoju atveju laikantis pozicijos, jog nepelningo vaisto niekas nepardavinėtų[527]. Deja, tyrėjai pripažino, jog nei vienas šių metodų vis dėlto nėra ir negali būti itin objektyvus ir todėl parankus, nes tiek išlaidos, tiek įplaukos kiekvienu atveju gali apimti aibę skirtingų parametrų, kurie savu ruožtu taip pat yra vertintini nevienareikšmiškai[528]. Taigi šiuo klausimu palikta apsispręsti Europos Komisijai, kuri 141/2000/EB reglamento 8 straipsnio 5 dalyje buvo prisiėmusi įsipareigojimą parengti išsamias 8 straipsnio 2 dalies taikymo gaires. Jos buvo priimtos ir publikuotos Europos Sąjungos oficialiajame leidinyje 2008 metų rugsėjį[529].

---

[523] De VARAX, A., LETELLIER, M., BÖRTLEIN, G. *op. cit.*, p. 5; 11.

[524] 3 str. 1 d. b punktas [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

[525] Kadangi sveikatos priežiūros sektorius yra globalus – tai reiškia, jog pelno rodikliai (kaštai ir įplaukos) neretai neturi geografinės lokalizacijos. Neretai būna, jog vaistas yra kuriamas ir ikiklinikiniai tyrimai atliekami JAV, o klinikiniai tyrimai atliekami keletame šalių, paprastai ir JAV ir Europoje arba netgi Japonijoje. Tačiau vėlgi lieka neaišku, ar ES gali teisiškai vertinti geografiškai už Europos ribų esančius duomenis ir jais remdamasi priimti sprendimus. [De VARAX, A., LETELLIER, M., BÖRTLEIN, G.*op. cit.*, p. 16.].

[526] *Ibid.*, p. 12–17.

[527] *Ibid.*, p. 11–12.

[528] Plačiau: De VARAX, A., LETELLIER, M., BÖRTLEIN, G. *op. cit.*, p. 19–32.

[529] Guideline on aspects of the application of Article 8(2) of Regulation (EC) no 141/2000: Review of the period of market exclusivity of orphan medicinal products. [2008] OJ C 242/8 (liet. Europos Parlamento ir Tarybos

Gairėse pirmiausia nustatyti bendrieji 141/2000/EB reglamento 8 straipsnio 2 dalies taikymo principai. Numatyta, jog šiame straipsnyje įtvirtinta procedūra nebus sistemiškai taikoma visiems retųjų kategorijai priskirtiems vaistams, o tik išimtiniais atvejais. Iniciatyvos teisė ir pareiga informuoti Europos vaistų agentūrą, jog vaistas nebeatitinka bent vieno iš pirminių jo priskyrimo retiesiems kriterijų nustatyta bet kuriai valstybei ES narei ar kelioms narėms, turinčioms patikimų duomenų. Gavusi tokios informacijos Europos vaistų agentūra (toliau – Agentūra) vadovaudamasi 141/2000/EB reglamento 5 straipsnio 4 dalyje nustatyta procedūra turi patikrinti valstybės narės pranešimo pagrįstumą ir parengti Retųjų vaistų komitetui (toliau – Komitetas) glaustą pranešimą. Komitetui pateikus savo nuomonę dėl to ar rinkos išimtinumas turėtų būti paliktas ar nutrauktas, ji perduodama Agentūrai, o galutinį sprendimą priima Europos Komisija[530]. Jei nutariama sutrumpinti rinkos išimtinumo laikotarpį, atitinkamas vaistas, vadovaujantis reglamento 5 straipsnio 12 dalimi išbraukiamas iš Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registro[531].

Detalizuojant šiuos bendruosius principus, gairėse nustatyta, jog valstybė narė, turėdama argumentuotų abejonių ir patikimų duomenų dėl to ar vaistas atitinka priskyrimo retiesiems kriterijus, į Agentūrą turėtų kreiptis ketvirtųjų konkretaus retojo vaisto pardavimo metų pabaigoje. Tolesnė procedūra tokia: gavusi valstybės ES narės pranešimą, Agentūra prieš informuodama Europos Komisiją ir prieš pradėdama vertinimo procedūrą apie tai praneša leidimo prekiauti vaistu turėtojui. Jam suteikiama galimybė raštu išdėstyti savo argumentus šiuo klausimu. Komitetas atlikdamas duomenų vertinimą ir formuodamas savo nuomonę dėl rinkos išimtinumo laikotarpio sutrumpinimo vadovaujasi reglamento 3 straipsnyje įtvirtintais vaisto priskyrimo retiesiems kriterijais ir tais įrodymais, kuriuos pateikė valstybė narė bei rėmėjas. Jei turimų duomenų nepakanka patikimai pagrįsti, kad vaistas nebeatitinka priskyrimo retiesiems vaistams kriterijų, Komitetas rekomenduoja, kad rinkos išimtinumo laikotarpis nebūtų sutrumpintas. Vertindamas duomenis Komitetas pirmiausia atsižvelgia į *pirminį* vaisto priskyrimo retiesiems kriterijų – t. y., ar vaistas priskirtas retiesiems remiantis 141/2000/EB reglamento 3 straipsnio 1 dalies a punkto pirmąja ar antrąja pastraipa. Jei rėmėjas teikdamas paraišką vaisto priskyrimą retiesiems argumentavo pastarojo straipsnio 1 dalies pirmąja pastraipa, kuri siejama su ligos epidemiologijos faktoriumi, Komitetas dar kartą perskaičiuoja ligos paplitimą Bendrijoje tuo metu, kuomet buvo teikta paraiška. Jei vaistas buvo priskirtas retiesiems remiantis antrąja 3 straipsnio 1 dalies pastraipa, kurioje sakoma, jog vaistas priskiriamas retųjų vaistų kategorijai, jei rėmėjas gali įrodyti [...], kad be paskatų *neįtikėtina*, jog pardavus šį vaistą Bendrijoje būtų gauta pakankamai įplaukų,

---

reglamento (EB) Nr. 141/2000 8 straipsnio 2 dalies taikymo aspektų gairės. Retųjų vaistų rinkos išimtinumo laikotarpio persvarstymas. [2008] OJ C 242/8].

[530] Bendra procedūra numatyta 141/2000/EB reglamento 5 str. 8 d.

[531] Guideline on aspects of the application of Article 8(2) of Regulation (EC) no 141/2000: Review of the period of market exclusivity of orphan medicinal products. [2008] OJ C 242/8.

kad būtų susigrąžintos investicijos“[532], Agentūra atlikdama vertinimą dėl rinkos išimtinumo vadovaujasi ta pačia metodologija, kuria buvo remtasi vaisto priskyrimo retiesiems momentu. Situaciją šiek tiek komplikuoja tai, jog ,,nepakankamos investicijų grąžos“ kriterijus iš esmės yra pagrįstas *prognoze* – t. y. ,,neįtikėtinumo“ faktoriumi. Vertinant turi būti išsiaiškinta ar vaisto pardavimas be rinkos išimtinumo paskatos neduos *pakankamai* investicijų grąžos, kad būtų išlaikyta rizikos pusiausvyra, kurią rėmėjas kurdamas vaistą jau prisiėmė ar prisiims ateityje. Jei matyti, jog atėmus rinkos išimtinumo teisę, investicijų grąža bus nepakankama, rinkos išimtinumo laikotarpis neturėtų būti sutrumpintas. Taip pat Agentūra rėmėjo gali paprašyti patikslinti duomenis pagal reglamento 3 straipsnio 1 dalies b punktą. Jei vaisto priskyrimas retiesiems buvo pagrįstas ir tuo, jog Bendrijoje nėra įteisinto gero tos ligos diagnozavimo, profilaktikos arba gydymo būdo[533], tuomet rėmėjas turės pateikti kritinę apžvalgą dėl preparato registruotai terapinei indikacijai poveikio pacientus gydant, diagnozuojant ligą ar taikant profilaktikai tuo metu, kuomet svarstomas rinkos išimtinumo klausimas. O jei pirminis vaisto priskyrimo retiesiems argumentas buvo pagrįstas ,,akivaizdžios naudos“ kriterijumi[534] rėmėjas gali būti paprašytas pateikti apžvalgą apie preparato registruotai indikacijai akivaizdaus naudingumo išlikimą, lyginant su kitais gydymo, diagnozavimo ar profilaktikos metodais svarstymo dėl vaisto rinkos išimtinumo momentu. Jei Komitetas prieina išvados, jog preparatas tebeatitinka priskyrimo retiesiems vaistams kriterijus, – rinkos išimtinumo laikotarpis netrumpinamas.

Antroji procedūros pakopa vertinant ar tebepateisinamas rinkos išimtinumo suteikimas prasideda tuomet, jei vaistas, Komiteto nuomone, nebeatitinka *pirminių* jo priskyrimo retiesiems kriterijų. Tuomet Komitetas apsvarsto, galbūt vaistas atitinka *kitus* reglamento 3 straipsnio 1 dalyje įtvirtintus kriterijus. Jei pirminis vaisto priskyrimas retiesiems buvo argumentuotas ligos ar būklės paplitimu ir tai nebeatitinka tikrovės, tuomet vertinama investicijų grąžos tikimybė. Ir atvirkščiai – jei pirmiau buvo remtasi maža investicijų grąžos tikimybe ir tai nepasitvirtino, tuomet Komitetas turi atsižvelgti į ligos paplitimo faktorių. 3 straipsnio 1 dalies b punkte įtvirtinti kriterijai vertinami tuo pačiu principu – jei pirminis vaisto priskyrimas retiesiems buvo argumentuotas kito gero gydymo, diagnozavimo ar profilaktikos metodo nebuvimu ir šis argumentas daugiau neatitinka tikrovės, Komitetas vertina vaisto ,,akivaizdų naudingumą“. Deja, jei pirminis vaisto priskyrimo retiesiems argumentas buvo ,,akivaizdus naudingumas“ ir taip nebėra, Komitetas taikyti alternatyvaus vertinimo negali. Tačiau Komitetas išimties atveju gali įvertinti, ar tas pakankamai

[532] 3 str. 1 d. a. punkto antra pastraipa ,,....without incentives it is unlikely that the marketing of the medicinal productin the Community would generate sufficient return to justify the necessary investment” [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.]

[533] 141/2000/EB reglamento 3 str.1 d., b punkto pirmoji dalis.

[534] 141/2000/EB reglamento 3 str.1 d., b punkto antroji dalis.

geras metodas, kuris egzistavo, kuomet vaistas dėl kurio rinkos išimtinumo atliekamas tyrimas buvo priskirtas retiesiems, tebėra toks esamuoju metu.

Jei atlikdamas šią antrosios pakopos procedūrą Komitetas prieina nuomonės, jog egzistuoja alternatyvūs, nei pirminiai vaisto priskyrimo retiesiems kriterijai, tuomet rinkos išimtinumo laikotarpis nėra trumpinamas. Jei atliekant atitikimo pirminiams ir alternatyviems kriterijams vertinimą vaistas nebeatitinka reglamento 3 straipsnio 1 dalyje įtvirtintų kriterijų, Komitetas priima nuomonę, kurioje gali *rekomenduoti*, jog rinkos išimtinumo laikotarpis būtų sutrumpintas. Komiteto rekomendacijos pobūdis priklauso nuo to, kokia apimtimi vaisto priskyrimo retiesiems kriterijai nėra atitinkami.

Po to kai Komitetas savo nuomonę pateikia Agentūrai, pastaroji nedelsdama ją siunčia Europos Komisijai. Vadovaujantis 141/2000/EB reglamento 5 straipsnio 8 dalimi, ji sprendimą turi priimti per 30 dienų nuo Komiteto nuomonės gavimo dienos. Išskirtiniais atvejais Komisija gali priimti sprendimą nesivadovaudama Komiteto nuomone. Pasinaudodama šia diskrecijos teise Komisija turėtų atsižvelgti į kertinius 141/2000/EB reglamento tikslus – t. y. didinti retųjų vaistų prieinamumą ir užtikrinti tinkamas ir veiksmingas paskatas moksliniams tyrimams ir plėtrai šioje srityje[535].

Iš šių Europos Komisijos priimtose gairėse įtvirtintų nuostatų akivaizdu, jog rinkos išimtinumo sutrumpinimas taikytinas tik išimtiniais atvejais. Laikomasi labai palankios pozicijos, kad retųjų vaistų rėmėjų interesai ir lūkesčiai būtų apsaugoti. Praktiškai sudarytos visos sąlygos, kad rinkos išimtinumo sutrumpinimo ar nutraukimo būtų įmanoma išvengti. Todėl galima tvirtinti, jog nuogąstavimams, kurie buvo išsakyti reglamento įsigaliojimo pradžioje tikrai nėra pagrindo.

3.1.4. Finansinė parama retų ligų moksliniams tyrimams ir mokesčių lengvatos

Dar dvi paskatos retųjų vaistų kūrimui – finansinė parama ir mokesčių lengvatos. Pirmojoje disertacijos dalyje, nagrinėjant 141/2000/EB reglamento priėmimo teisėtumo pagrindus nustatyta, jog vienas jų – Bendrijos kompetencija mokslinių tyrimų ir plėtros srityse. Bendrija dar iki priimant 141/2000/EB reglamentą pradėjo remti retų ligų mokslinius tyrimus ir teikė finansinę paramą įvairiems projektams, – daugiausia pagal Europos Bendrijos mokslinių tyrimų ir plėtros bendrąsias programas. Ją teikia ir toliau. Kadangi vaistus retoms ligoms gydyti įmanoma kurti tik gerai žinant atitinkamos retos ligos patofiziologiją, ši parama taip pat vertintina kaip Bendrijos indėlis skatinant retųjų vaistų kūrimą ir didinant jų prieinamumą.

[535] Guideline on aspects of the application of Article 8(2) of Regulation (EC) no 141/2000: Review of the period of market exclusivity of orphan medicinal products. [2008] OJ C 242/8.

Pagal Ketvirtąją bendrosios mokslinių tyrimų ir plėtros programą (1994–1998)[536] 1994 metais buvo parengta programa „Biomed 2“, kuria siekta paskatinti retų ligų gydymo tyrimus, dotuoti retųjų vaistų kūrimo metodologijas. Buvo paremti iš viso 23 moksliniai retų ligų gydymo tyrimų projektai (skirta 8,65 milijonai eurų)[537].

Kovos su retomis ligomis tikslas lėmė, kad moksliniai retų ligų tyrimai kaip prioritetas būtų įtraukti ir į Penktosios bendrosios mokslinių tyrimų ir plėtros programą (1998–2002)[538]. Jos pagrindu 15,6 milijonų eurų skirta keturiolikai multidisciplininio pobūdžio tyrimų, apimančių tokias sritis kaip: ligų patogenezės ir klinikos charakterizavimas; genetinių ir aplinkos veiksnių identifikavimas; molekulinių ir klinikinių rodiklių, skirtų diagnostikai ir diagnostinių tyrimų plėtrai, kūrimas; klinikinių tyrimų ir retų ligų duomenų bazių bei registrų steigimas; retų ligų gydymo finansavimas[539]. 45 milijonai eurų skirti kitiems trisdešimt keturiems projektams, susijusiems su retomis ligomis, įgyvendinti, 16,8 milijono eurų – smulkesniems projektams. Pavyzdžiui, pagal šią programą buvo finansuotas EuroBioBank projektas. Tai pirmasis Europoje biologinis bankas, tiekiantis žmogaus biologines medžiagas (DNR, audinius, ląsteles) retų ligų tyrimams. Šiam konsorciumui priklauso 16 partnerių iš 8 Europos valstybių: 12 akademinių ar privačių bankų, 2 kompiuterinio aptarnavimo kompanijos, biotechnologijų kompanija ir Eurordis kaip šio projekto iniciatorius. Konsorciumui priklausančiuose dvylikoje bankų saugoma apie 65 000 DNR ir 15 000 audinių pavyzdžių. Projekto finansavimui skirta 1,2 milijono eurų.[540]

Šeštojoje bendrosios mokslinių tyrimų ir plėtros programoje (2002–2006)[541] didžiausias dėmesys sutelktas į gyvybės mokslus, genomikos, biotechnologijų ir sveikatos sritis. ES rūpestis dėl retų ligų gydymo ir vaistų kūrimo išreikštas per „genomiką ir biotechnologijas“. Prioritetai teikti šiuolaikinei genomikai ir jos pritaikymui sveikatos priežiūrai bei kovai su svarbiausiomis (pvz., širdies ir kraujagyslių, nervų sistemos) ligomis. Išskirtinis dėmesys skirtas retiems navikiniams susirgimams, nes Europoje nustatyta sergančiųjų onkologiniais susirgimais didėjimo ir mirtingumo nuo jų tendencija. Todėl siekta sutelkti Europoje vykdomų tyrinėjimų resursus aiškinantis retų ligų plitimo priežastis: parama skirta genomo tyrinėjimams, ligą lemiančių genų išsiaiškinimui.

---

[536] The Fourth Framework Programme of the European Community for research, technological development and demonstration activities (1994–1998). [1994] OJ L 126.

[537] HANSEN, B. Perspective from the European Commision. *Pharmaceuticals Policy and Law*. 2001, 3: 43.

[538] Fifth framework programme of the European Community for research, technological development and demonstration activities (1998–2002). [1999] OJ L 26.

[539] HANSEN, B. *op. cit.*, p. 43.

[540] STOLK, P., WILLEMEN, M., LEUFKENS, H. G. *Drugs for rare diseases on the Essential Medicines List.* A discussion paper prepared for the WHO expert committee on the Selection and Use of Essential Medicines. The Netherlands, Ultrecht: Institute for Pharmaceutical Sciences (UIPS), March 1 2005, p. 25.

[541] The Sixth Framework Programme of the European Community for research, technological development (2002–2006). [2002] OJ L 232.

Naujausioje Septintojoje bendrosios mokslinių tyrimų ir plėtros programoje (2007–2013)[542] retos ligos, jų diagnostikos ir gydymo būdų paieškos tebeišlieka prioritetu sveikatos sektoriuje. Europos finansuojamų mokslinių tyrimų pagrindinėse srityse numatomas naujoviškų gydymo metodų kūrimo skatinimas, nutarta finansuoti vėžio, širdies ir kraujagyslių, retų ligų, kitų lėtinių ligų taikomuosius mokslinius tyrimus.

Be finansinės paramos, skirtos retų ligų tyrimams, retųjų vaistų rėmėjams taip pat yra teikiamos ir kai kurių mokesčių lengvatos. Pavyzdžiui, jie visiškai atleidžiami nuo mokesčių už protokolinę ir mokslinę pagalbą vaistų kūrimo proceso metu (įprastinė kaina apie 82 000 eurų) bei vaistų registracijos mokesčių. Patikros prieš retojo vaisto registravimą mokesčiams Europos vaistų agentūroje teikiama 100 procentų nuolaida (paprastai tokia patikra kainuoja 18 200 eurų), o naujoms paraiškoms dėl retojo vaisto registravimo taikoma 50 procentų nuolaida[543] (paprastai kainuoja 242 000 eurų). 2005 metais mokesčių nuolaidos retiesiems vaistams sudarė net 6 842 900 eurų[544]. Atkreiptinas dėmesys, jog mokestinių kreditų, kasmetinių subsidijų ar dotacijų ES mastu įtvirtinti nėra įmanoma, nes mokestinė sistema yra reguliuojama kiekvienos valstybės ES narės atskirai. Tai pagrindinis paskatų, kurios garantuojamos retųjų vaistų rėmėjams JAV ir ES skirtumas. Tokias paskatas gali teikti pačios valstybės ES narės taip prisidėdamos prie retųjų vaistų kūrimo skatinimo[545]. Tyrimai rodo, jog kol kas jų taikoma nedaug. D. Machartur teigimu, kol kas retųjų vaistų kūrimą labiausiai remia Prancūzija, Italija bei Nyderlandai. Pavyzdžiui Prancūzijoje teikiamos lengvatinės paskolos klinikiniams tyrimams atlikti, Italijos Vyriausybė suteikia tam tikras mokesčių lengvatas įmonėms, atliekančioms retųjų vaistų tyrimus, remia konkrečius mokslinių tyrimų projektus, susijusius su retų ligų ir vaistų joms gydyti tyrimais[546].

---

[542] The Seventh Framework Programme for research and technological development (2007–2013). [2006] OJ L 54.

[543] 2005 metais mokesčių nuolaidos retiesiems vaistams sudarė virš 6 mln. eurų, 2007 – taip pat apie 6 mln. eurų. Atkreiptinas dėmesys, jog mokestinių kreditų, kasmetinių subsidijų ar dotacijų teikimo kaip paramos retųjų vaistų prieinamumui ES mastu įtvirtinti neįmanoma, nes mokestinė sistema yra reguliuojama kiekvienos valstybės ES narės atskirai [DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D. J. Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. *British Journal of Clinical Pharmacology* [interaktyvus]. 2006, 62(3): 268 [žiūrėta 20008-07-10]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/ articlerender.fcgi?artid= 1885144>; Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 4 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-03-25]. <http://ec.europa.eu/ enterprise/pharmaceuticals/ orphanmp/doc/inventory_2006_08.pdf>.].

[544] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 4.

[545] DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D. J. *op. cit.*, p. 268.

[546] MACHARTUR, D. *Orphan drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues.* Macarthur West Sussex, UK: Justpharmareports 2008.

3.2. Prieinamumo skatinimas ir užtikrinimas įteisintomis išimtimis dėl pacientų gydymo neregistruotais vaistais

Jau minėta, jog 2001/83/EB direktyvos[547] 6 straipsnis reikalauja, jog vaistiniai preparatai prieš patekdami į Bendrijos rinką būtų registruoti. Disertacijos 3.1.2. poskyryje buvo aptartos jų registravimo procedūros, išsiaiškinta, kokiais atvejais retoms ligoms gydyti skirtiems vaistams suteikiamos rinkodaros teisių lengvatos. Tačiau tam, kad retųjų vaistų prieinamumas būtų užtikrintas visapusiškai, svarbu ir tai, kad pacientai galėtų teisėtai būti gydomi dar neregistruotais šioms ligoms skirtais vaistais. Čia reikia turėti omenyje tai, jog vaisto kūrimo procesas iki jis patenka į rinką trunka nuo 7 iki 12 metų, tuo tarpu pacientams vaistų reikia kiek įmanoma greičiau, dažnai kaip paskutinės vilties, kai jokio kito alternatyvaus gydymo nėra arba jis neveiksmingas.

Išanalizavus ES teisės norminę bazę sveikatinimo srityje, aiškėja, jog neregistruoti vaistai pacientui gali būti prieinami trimis teisėtais būdais (jei atitinkamos nuostatos yra įtvirtintos nacionaliniuose teisės aktuose): (1) pacientui tampant klinikinių tyrimų dalyviu; (2) per vardinių vaistų procedūrą; (3) per vadinamąsias labdaringas vaistų programas (angl. *compassionate use programms),* kai pacientai, kenčiantys nuo sunkios ar (ir) gyvybei gresiančios ligos, kurios gydymui nėra tinkamų registruotų vaistų ir negalintys dalyvauti klinikiniame vaisto tyrime gali gauti gydymą dar tiriamais vaistais. Galimi du šių programų vykdymo būdai: a) vadinamosios išplėsto prieinamumo programos (angl. *expanded access programms*), skirtos pacientų grupėms; ir b) pavienio paciento gydymo tiriamaisiais vaistais programos (angl. *named-patient programms*), kai pacientą gydančiam gydytojui kreipusis į farmacijos įmonę dėl tiriamo vaisto konkrečiam pacientui ir pastarajai sutikus jį šiuo tikslu tiekti gaunamas nacionalinės kompetentingos institucijos bei medicinos etikos komiteto leidimas (sutikimas) paciento gydymui naudoti vaistą, nors jo saugumas ir veiksmingumas dar neįrodytas.

Europos Parlamento ir Tarybos direktyva 2001/20/EB dėl valstybių narių įstatymų ir kitų teisės aktų, susijusių su geros klinikinės praktikos įgyvendinimu atliekant žmonėms skirtų vaistų klinikinius tyrimus, suderinimo[548] (toliau – 2001/20/EB direktyva) klinikinį tyrimą apibrėžia kaip visus su žmonėmis susijusius tyrimus, kurie ,,skiriami atrasti ar patikrinti vieno arba kelių tiriamojo(-mųjų) vaisto(-ų) klinikinį, farmakologinį ir (arba) kitokį farmakodinaminį poveikį, ir (arba) nustatyti nepageidaujamą reakciją į vieną arba kelis tiriamąjį(-uosius) vaistą(-us), ir (arba) ištirti vieno arba kelių tiriamojo(-mųjų) vaisto(-ų) absorbciją, pasiskirstymą, metabolizmą ir

[547] Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. [2001] OJ L 311.

[548] Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. [2001] OJ L 121.

šalinimą, siekiant nustatyti jo(-jų) saugumą ir (arba) veiksmingumą“[549]. Paprasčiau tariant, klinikinio tyrimo vykdymo tikslas yra gauti duomenų apie vaisto savybes – dozavimą, saugumą, veiksmingumą. Iš pateikto apibrėžimo matyti, jog vaistų prieinamumas nėra klinikinių tyrimų tikslas ar jų vykdymo paskirtis. Vis dėlto galimybė retomis ligomis sergantiems pacientams tapti retųjų vaistų klinikinių tyrimų dalyviais ir taip greičiau gauti naujausių prekybos leidimo dar neturinčių, tačiau galimai veiksmingų vaistų yra jiems labai paranki kaip tik šiuo atžvilgiu. Todėl retųjų vaistų klinikiniai tyrimai šiame darbo skyriuje ir išskirti kaip vienas iš retųjų vaistų prieinamumo būdų.

Kitą išskirtą būdą – t. y. galimybę naudoti vardinius pavieniam pacientui reikalingus vaistus numato 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnis. Pastarosios disertacijos dalies pradžioje pristatant tyrimo eigą buvo užsiminta, kad neregistruotų vaistų samprata yra painoka, nes galima kalbėti tiek apie konkrečioje šalyje neregistruotus vaistus, tiek apie apskritai neregistruotus – t. y. naujus dar tiriamus vaistus. Šios dvilypės interpretacijos pasekmė – skirtingas 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnio perkėlimas į valstybių narių nacionalinę teisę (pvz.: vienur įteisinta galimybė įvežti ir naudoti pavieniam pacientui reikalingus toje šalyje neregistruotus vaistus, tačiau keliama sąlyga, jog tokie vaistai būtų registruoti bent vienoje kitoje ES ar gamintojo šalyje, kitose – leidžiama įvežti tiek šalyje neregistruotus, tiek dar išvis neregistruotus vaistus). Kokia tvarka įteisinta Lietuvoje ir kaip čia reglamentuojamas neregistruotų vaistų įsigijimas aiškinamasi 3.2.3. poskyryje.

Vadinamasis labdaringas vaistų panaudojimas pacientų grupėms, skirtingai nei dalyvavimas klinikiniuose tyrimuose, ES reglamentu 726/2004/EB buvo specialiai įteisintas tam, kad sunkiomis, lėtinėmis, gyvybei gresiančiomis ligomis sergantys pacientai, kurie negali dalyvauti klinikiniame tyrime ir kurių gydymui šiuo metu nėra kitos alternatyvos galėtų teisėtai būti gydomi naujais dar prekybos leidimo neturinčiais vaistais. Jau minėta, jog retos ligos kaip tik ir pasižymi sunkumu, neretai gresia žmogaus mirtimi, todėl ir šis būdas išskirtinas kaip palengvinantis, pagreitinantis retųjų vaistų prieinamumą pacientams.

Prieš pradedant išsamiau nagrinėti kiekvieną iš ES teisėje numatytų būdų patikslinama, jog kalbant apie galimybę pacientams dalyvauti klinikiniuose tyrimuose bus turimi omenyje tik retiesiems priskirti – t. y. į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą įrašyti vaistai, o nagrinėjant vardinių vaistų skyrimo bei labdaringo vaistų panaudojimo klausimus vartojama platesnė retoms ligoms gydyti skirtų vaistų samprata.

[549] 2 str. a punktas [Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. [2001] OJ L 121.].

3.2.1. Galimybė dalyvavauti retųjų vaistų klinikiniuose tyrimuose

Pagrindinis ES teisės aktas, reglamentuojantis klinikinių tyrimų atlikimo sąlygas šiuo metu yra 2001/20/EB direktyva[550]. Retųjų vaistų klinikiniams tyrimams keliami tokie patys reikalavimai kaip ir kitų vaistų tyrimams, todėl į jų vykdymo proceso reikalavimus nesigilinsime. Norint atskleisti pacientų dalyvavimo retųjų vaistų klinikiniuose tyrimuose kaip greitesnio neregistruotų retųjų vaistų prieinamumo būdo esmę, šiuo atveju svarbiau išryškinti pagrindines problemas su kuriomis susiduria tyrėjai organizuodami retųjų vaistų klinikinius tyrimus ir, kurias patiria pacientai, galintys ir norintys juose dalyvauti.

Kalbant apie retųjų vaistų klinikinius tyrimus, sąlyginę takoskyrą galima išvesti tarp dviejų problemų grupių. Pirmoji iš jų apima daugiau techninio-organizacinio pobūdžio sunkumų ratą. Šiuos sunkumus sąlygoja ligõs, kuriai gydyti skirti vaistai tiriami, retumo, todėl atliekant retųjų vaistų klinikinius tyrimus gali būti įvardinami kaip specifiniai. Antroji – susijusi su valstybių ES narių nacionalinių teisės aktų nuostatų, numatančių teisinius-etinius apribojimus tam tikroms pažeidžiamoms pacientų grupėms (pavyzdžiui vaikams) tapti biomedicininių tyrimų (tame tarpe ir vaistų klinikinių tyrimų) dalyviais, skirtumais. Atvirkščiai nei pirmasis problemų spektras, – šie apribojimai retųjų vaistų klinikinių tyrimų atveju, žinoma, nėra specifiniai, tačiau reikėtų atkreipti dėmesį į keletą teisiniu požiūriu aktualesnių aspektų, turint omenyje tai, jog daugybe retų ligų sergama būtent kūdikystėje bei vaikystėje, todėl yra didelis retųjų vaistų, skirtų naudoti pediatrijoje, greitesnio prieinamumo poreikis.

Apie iššūkius ir „galvosūkius“, kylančius atliekant retųjų vaistų klinikinius tyrimus savo straipsniuose rašo B.M. Buckley[551], E. Tambuyzer, P. Mooney ir C. Incerti[552], R. Joppi, V. Bertele ir S. Garrattini[553], M. E. Haffner[554], M. Wastfelt, B. Fadeel, J. I. Henter[555]. Apibendrinant šių autorių įžvalgas matyti, jog retųjų vaistų klinikinius tyrimus pagrinde apsunkina šie faktoriai: pirmiausia, pacientų, galinčių dalyvauti retojo vaisto klinikiniame tyrime trūkumas; su tuo susijusi

[550] Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. [2001] OJ L121.

[551] BUCKLEY, B.M. Cinical trials of orphan medicines. *Lancet.* 2008, 371: 2051–2055.

[552] TAMBUYZER, E., MOONEY, P., INCERTI, C. The new EU clinical trials directive and orphan medicinal products: current status and recommendations. *The Quality Assurance Journal*. 2004, 8: 102–109.

[553] JOPPI, R., BERTELE, V., GARRATTINI, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology*. 2006, 61: 355–360; JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Disappointing biotech. *BMJ*. 2005, 331: 895–897.

[554] HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases. *N Engl J Med.* 2006, 354(5): 445.

[555] WASTFELT, M., FADEEL, B., HENTER, J. I. A journey of hope: lessons learned from studies on rare diseases and orphan drugs. *Journal of Internal Medicine.* 2006, 260: 4.

ilga klinikinių tyrimų trukmė[556], gautų duomenų patikimumas ir jų interpretacija; geografiniu atžvilgiu platus sergančiųjų gyvenamasis arealas[557], o Europoje – ir šalių įvairovės sąlygota daugiakalbystė, daugiakultūriškumas, atskirų valstybių ES narių sveikatos sistemų skirtumai[558]; kompetentingų tyrėjų kai kuriose ES šalyse trūkumas[559]; nepakankamai koordinuotas tarptautinis bendradarbiavimas tarp įvairių tyrimų centrų ir klinikų ir t. t. Mokslininkai M. E. Haffner, R. Joppi, V. Bertele ir kt. keldami klausimą, kodėl per penkerius metus nuo 141/2000/EB reglamento įsigaliojimo ES teritorijoje buvo užregistruota palyginus nedaug retųjų vaistų (vos 22) kaip vieną iš priežasčių įvardijo klinikinių tyrimų atlikimo sudėtingumą[560]. Šį procesą apsunkina nedidelis klinikinio tyrimo dalyvių skaičius dėl ko ne visuomet išryškėja visi galimi tiriamo vaisto šalutiniai poveikiai, taip pat tai, kad: įprastais atvejais būtini atsitiktinis, dvigubai aklas ir placebo-kontrolinis tyrimai retųjų vaistų atveju yra ne visuomet įmanomi[561]; kad vaistų veiksmingumo dažniausiai nėra su kuo palyginti[562]; kad kyla didesnė nei įprastai komplikacijų pacientų sveikatai rizika. Dėl šių objektyvių priežasčių tiek M. Wastfelt ir kt., tiek E. Tambuyzer ir kt. manymu, retųjų vaistų klinikinių tyrimų procedūros turėtų būti supaprastintos[563], tačiau konkrečių to ,,supaprastinimo“ pasiūlymų autoriai nepateikia.

Antrasis problemų spektras, kaip jau minėta, yra susijęs su nacionalinių teisės aktų derinant etinius-teisinius apribojimus, taikomus įtraukiant asmenis į klinikinius tyrimus, kurie dėl dalyvių trūkumo neretai turi būti daugiacentriai[564] skirtumais. Be bendrųjų klinikiniuose tyrimuose dalyvaujančių asmenų apsaugos standartų (teigiamo naudos ir rizikos santykio; tiriamojo asmens teisės į fizinį ir protinį neliečiamumą; duomenų apie jį privatumo ir jų apsaugos; laisvo informuoto sutikimo; paciento interesų viršenybės ir kt.), numatytų 2001/20/EB direktyvos 3 straipsnio 2 dalyje, siekiant apsaugoti pažeidžiamų asmenų grupių interesus direktyvoje numatyti ir papildomi

[556] Pavyzdžiui *itrakonazolio* (angl. *itraconazole*) klinikinis tyrimas, kuriame dalyvavo 39 pacientai, sirgę lėtine granuliomatoze truko 10 metų [LAGAKOS, W. S. Clinical trials and rare diseases. *N Engl J Med.* 2003, 348(24): 2455–2456.]

[557] HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases. *N Engl J Med.* 2006, 354(5): 446.

[558] WASTFELT, M., FADEEL, B., HENTER, J. I. A journey of hope: lessons learned from studies on rare diseases and orphan drugs. *Journal of Internal Medicine*. 2006, 260: 4.

[559] BUCKLEY, B. M. Cinical trials of orphan medicines. *The Lancet.* 2008, 371: 2051.

[560] HAFFNER, M. E. *op. cit.*, p. 446; JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology*. 2006, 61(3): 357.

[561] WASTFELT, M., FADEEL, B., HENTER, J. I. *op. cit.*, p. 4.

[562] JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology.* 2006, 61: 357; TAMBUYZER, E., MOONEY, P., INCERTI, C. The new EU clinical trials directive and orphan medicinal products: current status and recommendations. *The Quality Assurance Journal.* 2004, 8: 103–104.

[563] WASTFELT, M., FADEEL, B., HENTER, J. I. *op. cit.*, p. 4–5; TAMBUYZER, E., MOONEY, P., INCERTI, C. The new EU clinical trials directive and orphan medicinal products: current status and recommendations. *The Quality Assurance Journal.* 2004, 8: 108–109.

[564] Daugiacentris klinikinis tyrimas – pagal vieną protokolą, bet daugiau nei viename tyrimo centre atliekamas klinikinis tyrimas; tyrimų centrai gali būti vienoje Europos Sąjungos valstybėje narėje, keliose Europos Sąjungos valstybėse narėse ir (arba) trečiosiose šalyse [Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2006 m. gegužės 31 d. įsakymas Nr. V-435 ,,Dėl Leidimų atlikti klinikinius vaistinių preparatų tyrimus išdavimo, tyrimų atlikimo ir kontrolės tvarkos aprašo patvirtinimo”. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 62-2292.].

apribojimai. Tarkim siekiant apsaugoti nepilnamečių interesus nustatyta, jog tokie ,,tyrimai turėtų būti tiesiogiai susiję su tiriamojo nepilnamečio klinikine būkle arba jie turi būti tokio pobūdžio, kad gali būti atliekami tik su nepilnamečiais“ (4 str. e punktas), taip pat ypatingas dėmesys skiriamas numanomai ar tiesiogiai reiškiamai nepilnamečio valiai dėl dalyvavimo klinikiniame tyrime (4 str. a, b, c punktai), o 5 straipsnyje papildomi apsaugos standartai numatyti, jei į klinikinius tyrimus įtraukiami riboto veiksnumo suaugusieji. Kadangi direktyvos 3 straipsnio 1 dalyje valstybėms narėms numatyta galimybė įtvirtinti ir griežtesnius reikalavimus, negu nustatytieji 2001/20/EB direktyvoje (nes direktyva taikoma nepažeidžiant nacionalinių nuostatų, jei jos šiuo klausimu yra išsamesnės), tyrėjams kartais problemų kyla dėl to, jog atskirų šalių ES narių pozicijos (pvz.: dėl vaikų dalyvavimo tyrimuose; informuoto sutikimo procedūrų ypatumų; etikos komitetų vaidmens priimant sprendimus dėl tyrimų atlikimo), o kartu ir teisinis šių klausimų reglamentavimas valstybėse ES narėse kartais skiriasi. 1997 metais priimta Europos Tarybos Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija)[565,566] taip pat nustato tik bendruosius minimalius asmenų apsaugos atliekant biomedicininius tyrimus standartus, o šalys gali prisiimti ir griežtesnius įsipareigojimus. Taigi dėl įmanomos ir objektyviai pateisinamos teisinės divergencijos šiais klausimais užsakovams tampa sunkiau organizuoti ir atlikti daugiacentrius klinikinius tyrimus, o pacientams tapti jų dalyviais. Ypač daug problemų norint tirti pediatrijai skirtus vaistus, nes į jų klinikinius tyrimus turi būti įtraukiama pažeidžiamiausia asmenų grupė – vaikai[567].

Neregistruotų vaistų naudojimas vaikų gydymui, vaikų dalyvavimas vaistų klinikiniuose tyrimuose – atskiri mokslininkų (tame tarpe ir teisininkų) dėmesio reikalaujantys klausimai. Kadangi jie nėra tiesiogiai susijęs su šioje disertacijoje atliekamo tyrimo objektu, todėl plačiau šioje disertacijoje nenagrinėjami[568]. Akivaizdu, jog siekiant tinkamos vaikų kaip biomedicininių tyrimų dalyvių apsaugos ir vaikų populiacijos[569] lūkesčių dėl vaistų (tame tarpe ir retųjų vaistų)

[565] Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 97- 4258.

[566] Additional Protocol to the Convention on Human Rights and Biomedicine, concerning Biomedical Research. Strasbourg, 2005 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-04]. <http://conventions.coe.int/ Treaty/en/Treaties/Html/195.htm>.

[567] GEVERS, J. K. M. Medical research involving children. *European Journal of Health Law*. 2008, 15(2): 103–108.

[568] Bendruosius vaikų įtraukimo į biomedicininius tyrimus teisinio reguliavimo aspektus, atkreipdama dėmesį į egzistuojančius reglamentavimo skirtumus tarp 2001/20/EB direktyvos, Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencijos ir jos Papildomo protokolo nagrinėja A. Atavilla straipsnyje ,,Clinical research with children: the European legal framework and its implementation in French and Italian law“. [*European Journal of Health Law*. 2008,15: 109–125.]. D. Stakišaitis straipsnyje ,,Vaikų gydymo vaistais teisinio reglamentavimo aspektai“ apžvelgia susiklosčiusias istorines vaikų gydymo vaistais padėties prielaidas, apibendrina teisinį pediatrinių vaistinių preparatų klinikinių tyrimų reglamentavimą JAV ir ES, pateikia LR teisės aktų, reglamentuojančių vaikų klinikinių tyrimų atlikimą apžvalgą [*Jurisprudencija*. 2008,12(114): 36–43.].

[569] *Vaikų populiacija* – gyventojai nuo gimimo iki 18 metų [2 str. 1 punkt. Europos Parlamento ir Tarybos 2006 m. gruodžio 12 d. reglamentas (EB) Nr. 1901/2006 dėl pediatrijoje vartojamų vaistinių preparatų, iš dalies keičiantis Reglamentą (EEB) Nr. 1768/92, Direktyvą 2001/20/EB, Direktyvą 2001/83/EB ir Reglamentą (EB) Nr. 726/2004. [2006] OL L 378.].

prieinamumo teisinio užtikrintumo, būtina pasiekti didesnio valstybių ES narių tarpusavio sutarimo ir glaudesnio bendradarbiavimo. Vilčių, jog minėtos vaikų gydymo problemos bus išspręstos teikia 2007 metų sausio 26 dieną įsigaliojęs Europos Parlamento ir Tarybos reglamentas (EB) Nr. 1901/2006 dėl pediatrijoje vartojamų vaistinių preparatų[570], privalomas ir tiesiogiai taikomas visose valstybėse narėse.

Galiausiai reikia pastebėti, jog nors klinikiniai tyrimai ir išskirtini kaip retųjų vaistų prieinamumo būdas, jo pernelyg sureikšminti nederėtų. Dalyvavimas klinikiniame tyrime neužtikrina, jog pasibaigus jam pacientas bus gydomas tais pačiais vaistais, netjei jie ir buvo akivaizdžiai naudingi. Gali pasitaikyti ir taip, jog tyrimo dalyvis tyrimo metu gaus *placebą*, kurio naudojimas terapiniuose tyrimuose paprastai pateisinamas, jei nėra patvirtintų efektyvių gydymo būdų. Kita vertus, susidūrusieji su retos ligos diagnoze ir situacijos beviltiškumu, greičiausiai patvirtintų, jog net tais atvejais kai tyrimas yra aklas[571], 50 procentų tikimybė gauti pažangią terapiją kartais yra didesnė potenciali nauda nei jokios terapijos ar standartinis, bet neefektyvus gydymas[572].

3.2.2. Galimybė skirti ir vartoti vardinius vaistus ir dalyvauti labdaringose vaistų programose

1989 metais priimtõs Tarybos direktyvos 89/341/EEB[573] (toliau – 89/341/EEB direktyva) 1 straipsnio 3 dalimi valstybėms ES narėms leista įvežti šalyje dar neregistruotus vaistus esant tam tikroms aplinkybėms – t. y. konkrečiam poreikiui; gydytojo specialisto rekomendacijai; juos skiriant to gydytojo individualiems pacientams už kuriuos jis tiesiogiai ir asmeniškai yra atsakingas[574]. Paprasčiau tariant šia nuostata ES buvo įteisintas neregistruotų vaistų prieinamumo vardiniu pagrindu būdas. Kadangi tai yra išimtis iš bendros taisyklės, kad į šalies rinką gali patekti

[570] Europos Parlamento ir Tarybos 2006 m. gruodžio 12 d. reglamentas (EB) Nr. 1901/2006 dėl pediatrijoje vartojamų vaistinių preparatų, iš dalies keičiantis Reglamentą (EEB) Nr. 1768/92, Direktyvą 2001/20/EB, Direktyvą 2001/83/EB ir Reglamentą (EB) Nr. 726/2004. [2006] OL L 378.

[571] Tyrimas yra aklas, kai tiriamasis nežino ar gauna *placebo* ar tiriamąjį vaistinį preparatą. Dvigubai aklas – kai to nežino nei tiriamasis, nei tyrėjai.

[572] DEUTCH, E. The declaration of Helsinki Revised by World Medical Organization, Edinburgh, 2000 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-07]. <http://www.upf.pf/IMG/doc/03Deutsch.doc>. In ZAMARYTĖ, K. Civilinės atsakomybės už klinikinių vaistinių preparatų tyrimų metu tiriamajam asmeniui padarytą žalą probleminiai aspektai. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 56.

[573] Council Directive 89/341/EEC of 3 May 1989 amending Directives 65/65/EEC, 75/318/EEC and 75/319/EEC on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products. [1989] OJ L 142.

[574] 1 str. 3 d.: „A Member State may, in accordance with legislation in force and to fulfil special needs (…), in response to a *bona fide* unsolicited order, formulated in accordance with the specifications of an authorized health care professional and for use by his individual patients on his direct personal responsibility" [Council Directive 89/341/EEC of 3 May 1989 amending Directives 65/65/EEC, 75/318/EEC and 75/319/EEC on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products. OJ [1989] L 142.].

tik registruoti vaistiniai preparatai[575], šia nuostata įteisintas vaistų prieinamumo būdas kartais dar vadinamas ,,vardinio paciento išimtimi“ (angl. *named patient exemption*)[576].

Pastarõsios direktyvos nuostatas (taigi ir normas dėl vardinių vaistų prieinamumo) tuometinės valstybės narės į nacionalinę teisę turėjo perkelti iki 1992 metų sausio 1 dienos, tačiau joms palikta teisė savo nuožiūra nustatyti įvairius neregistruotų vaistų naudojimo tvarkos ypatumus (leidimų išdavimo, gydytojų atsakomybės ir kt.). Ieškant pavyzdžio, istorinėje retrospektyvoje šiuo atžvilgiu iš visų valstybių ES narių išskirtina Prancūzija. Ji pirmoji įtvirtino teisės nuostatas dėl neregistruotų vaistų retomis ligomis sergantiems pacientams prieinamumo. Tai patvirtina išsamus M. B. Costille tyrimas[577]. 1992 metų gruodžio 8 dieną Prancūzijos visuomenės sveikatos kodekso (pranc. *Code de la Santé Publique*) straipsniu (R 5142-22) gydytojams suteikta teisė teikti prašymus dėl užsienyje parduodamų vaistų, reikalingų konkrečiam reta liga sergančiam pacientui, importo. To paties kodekso kita pataisa (straipsniu L 601-2) Prancūzijos vaistų agentūrai (pranc. *Agence Française de Sécurité Sanitaire des Produits de Santé*) kaip kompetentingai institucijai suteikta teisė išduoti leidimą ligoninėms laikinai naudoti neregistruotus vaistus retų ligų ir būklių gydymui kai nėra šių patologijų gydymo alternatyvų ir kai yra pagrįstai tikimasi, kad tokie vaistai bus veiksmingi konkrečiam pacientui[578]. Remiantis šiomis nuostatomis nuo 1994 metų Prancūzijoje įsigaliojo vadinamoji laikinos registracijos leidimų išdavimo procedūra (pranc. *Autorisations Temporaires d'Utilisation, ATU*; angl. *Temporary Authorisations for Use*). Susiklosčius atitinkamoms aplinkybėms tapo įmanoma šalyje dar neregistruotų vaistų arba dar tik tiriamų vaistų skirti tiek pavienio paciento gydymui, pritaikius vadinamą vardinę laikinos registracijos procedūrą (pranc. *l'ATU dite nominative;* angl. *ATU known as nominative*), tiek naudoti tokius vaistus daugiau nei vienam pacientui – t. y. pacientų grupėms (pranc. *l'ATU dite de cohorte*; angl. *cohort ATU).* Pirmuoju atveju laikinos registracijos leidimas išduodamas vaistams, kurie skiriami vienam biomedicininiuose tyrimuose negalinčiam dalyvauti pacientui, remiantis jį gydančio gydytojo paraiška ir atsakomybe, kai tikimasi kad būtent šie vaistai tikrai bus naudingi pacientui. Antruoju, – dėl leidimo atitinkamais neregistruotais vaistais gydyti pacientus į Prancūzijos vaistų agentūrą suteikta teisė kreiptis vaisto platintojui, jei: yra surinkti patikimi duomenys dėl tokių vaistų saugumo ir veiksmingumo; numatoma neužilgo teikti prašymą dėl to vaisto registravimo; gydant

[575] 6 str. [Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. [2001] OJ L 311.].

[576] ROBERTS, J. Wholesale trade in named-patient medicines in the EU: "Specials" and exempt imports. *Pharmaceuticals Policy and Law*. 2005, 8: 51–68.

[577] COSTILLE, M. B. Les Medicaments Orphelins a l'heure de l'Europe: une longue histoire: these pour le diplome d'etat docteur en pharmacie.Lyon: Universite Claude Bernard – Lyon I, Faculte de pharmacie, Institut des sciences pharmaceutiques et biologiques, 2000 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-12-30]. <http://ispb.univ-lyon1.fr/theses/these_integ/ castilleb/thesecostille.pdf>.

[578] PHILIPON, P. The orphans of the health care system [interaktyvus]. In *Economic aspects of biotechnologies related to human health*. Paris: Organisation for Economic Co-operation and Development, November 1998, p. 254 [žiūrėta 2007-12-30]. <http://www.oecd.org/dataoecd/40/25/2351234.pdf>; COSTILLE, M. B. *op. cit.*, p. 43-44.

pacientus bus griežtai laikomasi gydymo protokolo reikalavimų[579]. Kaip matyti, Prancūzija įteisino tiek šalyje neregistruotų vaistų individualiam pacientui prieinamumą, tiek tiriamųjų vaistų prieinamumo galimybes pavieniam pacientui ir pacientų grupėms.

Kitose valstybėse narėse perkeliant 89/341/EEB direktyvos 1 straipsnio 3 dalies normą dėl neregistruotų vaistų prieinamumo praktika susiklostė įvairi. 2000 metais E. Bourg ir F. Crémiers palyginę valstybėse narėse priimtas teisės normas dėl neregistruotų vaistų naudojimo įvardino nemažai skirtumų: vienur norint įvežti neregistruotą vaistą į šalį reikia gauti kompetentingos institucijos leidimą (kaip Prancūzijoje), kitur pakanka vaistininko paraiškos; šalyse skirtingai paskirstyta atsakomybė tarp gydytojo ir (ar) farmacijos įmonės dėl neregistruoto vaisto naudojimo saugumo; vienur nustatyta, jog vaistą leidžiama naudoti tik jei jis yra registruotas kitose šalyse, kitur nebūtinai; nustatytas skirtingas tokių vaistų kompensavimo pobūdis (vaistą apmoka pacientas; gydymą finansuoja farmacijos įmonė; vaistai kompensuojami iš ligoninės biudžeto ar nacionalinio biudžeto lėšų)[580]; skirtingas tokių vaistų naudojimo kontrolės mechanizmas. Iš to seka išvada, jog dėl įvairialypio šios teisės normos interpretavimo skirtingose valstybėse narėse retomis ligomis sergantiems pacientams susiklostė nevienodos galimybės gauti gydymą reikalingais neregistruotais vaistais.

2001 metais priėmus 2001/83/EB direktyvą[581] ir panaikinus 89/341/EEB direktyvą neregistruotų vaistų prieinamumo teisiniu pagrindu ES tapo 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnis, kuriame nurodyta, jog: „valstybė narė, remdamasi galiojančiais teisės aktais ir siekdama patenkinti konkrečius poreikius, gali netaikyti šios direktyvos nuostatų vaistams, tiekiamiems pagal tikrą, ne per tarpininkus pateiktą užsakymą, kuris yra suformuluotas pagal tam teisę turinčio sveikatos priežiūros specialisto nurodymus ir skirtas jo *individualiems pacientams*, už kuriuos jis tiesiogiai ir asmeniškai yra atsakingas“. Taigi normos dėl vardinių vaistų esmė liko ta pati (kaip ir 89/341/EEB direktyvos 1 str. 3 d.). Nepaisant jau minėto galimo šios nuostatos interpretacijos dvilypumo ji pakoreguota nebuvo. Tik 2004 metų kovo 31 dieną priimta 2004/27/EB direktyva[582] padarytas smulkus pakeitimas – t. y. žodžiai „individualiems pacientams“ iš daugiskaitos perrašyti vienaskaita. Ši, iš pirmo žvilgsnio gramatinė korekcija tampa reikšminga susiejant ją su faktu, jog tą

[579] Šios procedūros labai išsamiai aprašytos Prancūzijos sveikatos ir produktų saugumo agentūros (Afssaps) 2007 metų pranešime prieinamame tiek prancūzų, tiek anglų kalbomis: Avis aux demandeurs d'Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU). Afssaps, November 2007 [žiūrėta 2008-12-30]. <http://afssaps. sante.fr/pdf/5/atu1.pdf>; Notice to applicants for Temporary Authorisation for Use (ATU). Afssaps, November 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12.]. <http://afssaps.sante.fr/ang/pdf/atu1_en.pdf>.

[580] BOURG, E., de CRÉMIERS, F. Compassionate use and early access to the market in the USA and EU. *The Regulatory Affairs Journal*. 2000, 11(9): 640–645. In De VARAX, A., LETELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005, p. 21–22.

[581] Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. [2001] OJ L 311.

[582] Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. [2004] OJ L 136.

pačią dieną Europos Parlamentas ir Taryba priėmė kitą teisės aktą – 726/2004/EB reglamentą[583], kurio 83 straipsnyje įtvirtino naujų nuostatų dėl neregistruotų vaistų naudojimo. Šio straipsnio 1 dalimi valstybėms narėms suteikta galimybė ,,panaudoti labdaros tikslu“ atitinkamus neregistruotus vaistus, tarp jų ir retuosius, daugiau nei vieno paciento – t. y. pacientų grupių gydymui, jei jie labai sunkiai serga (pavyzdžiui vėžiu, ŽIV/AIDS, neurodegeneracine ar autoimunine liga[584]) ir negali būti gydomi patenkinamai, duodant jau registruotą vaistą. Straipsnio 2 dalyje paaiškinta, kad vaistų „panaudojimas labdaros tikslu“ šiame straipsnyje turi būti suprantamas kaip ,,vaistų davimas labdaros tikslais pacientams, sergantiems chroniška arba sunkia sekinančia liga arba kurių liga pripažįstama gyvybei pavojinga ir kurie negali būti gydomi patenkinamai, duodant jau turintį leidimą vaistą“[585]. Tokia teisės norma priimta atsižvelgiant į teisėtus pacientų lūkesčius gauti tinkamą gydymą, nes jiems rizika vartoti dar tiriamus vaistus yra mažesnė už pasekmes, kurios ištiktų jų nevartojant (pvz., egzistuoja didelė tikimybė, jog pacientas mirs nesulaukęs kol jam reikalingi vaistai bus registruoti arba dėl ligos progresavimo patirs negrįžtamų sveikatos būklės pakitimų). Nuo prieš tai aptarto vardinių vaistų prieinamumo būdo, ką tik cituota 726/2004/EB reglamento 83 straipsnyje įtvirtinta norma skiriasi tuo, jog čia išskirtinai kalbama apie prekybos leidimo neturinčių – tai reiškia būtent tiriamųjų vaistų naudojimą, – tokių, kuriuos tik ketinama registruoti.

2007 metų liepą, siekiant palengvinti 83 straipsnio perkėlimą į valstybių narių nacionalinę teisę Europos vaistų agentūra išleido jį išaiškinančias gaires[586]. Jose detaliai išvardinta ir apibrėžta kaip konkrečiai turi būti interpretuojami šiame straipsnyje vartojami terminai. Pabrėžta, jog prieš pasiūlant pacientui dalyvavauti labdaringo vaistų naudojimo programoje visada turi būti apsvarstoma galimybė įtraukti pacientą į klinikinius tyrimus. Taip pat, kad norint labdaringai naudoti vaistus turi būti išpildytas kiekvienas iš straipsnyje įvardintų kriterijų – t. y.: (1) vaistas turi būti prieinamas pacientams, sergantiems ,,chroniška arba sunkia sekinančia liga arba kurių liga pripažįstama gyvybei pavojinga ir kurie negali būti gydomi patenkinamai, duodant turintį leidimą vaistą“ ES; (2) labdaringų vaistų programos turi būti skirtos ,,pacientų grupei“ – t. y. daugiau nei vienam pacientui; (3) vaistas privalo būti toks, kuriam privaloma išduoti leidimą prekiauti pagal šio

[583] Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136.

[584] Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/2004. London: EMEA, 19 July 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-12]. <http://www.emea.europa.eu/ pdfs/human/euleg/ 2717006enfin.pdf>.

[585] 83 str. 2 d.: ,,“compassionate use” shall mean making a medicinal product (…) available for compassionate reasons to a group of patients with a chronically or seriously debilitating disease or whose disease is considered to be lifethreatening, and who can not be treated satisfactorily by an authorised medicinal product”[Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136.].

[586] Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/20004. London: EMEA, 19 July 2007.

reglamento 6 straipsnį – t. y. centralizuotą procedūrą arba turi būti atliekami jo klinikiniai tyrimai ES arba kitur.

Paaiškindama šiuos kriterijus Europos vaistų agentūra atkreipė dėmesį į tai, jog ligos paplitimas, taip pat kaip ir jos lėtinis ir sunkus sekinantis pobūdis, pavojingumas gyvybei turi būti pagrįsti patikimais medicininiais ir epidemiologiniais duomenimis. Įrodinėjant, kad liga yra lėtinė, sunki ir sekinanti reikia įrodyti ligos įtaką kasdieniam pacientų gyvenimui ir tai kaip liga progresuotų, jei liktų negydoma. Žodžiai ,,pacientai, kurie negali būti patenkinamai gydomi turinčiu leidimą vaistu“ šiame straipsnyje reiškia pacientus, likusius be jokių gydymo galimybių ar tuos, kurių liga nepasiduoda esamam gydymui ar vėl pasikartoja, arba tuos, kuriems esantis gydymas yra kontraindikuotinas ar nepakankamas. ,,Turintis leidimą vaistas“ 83 straipsnyje reiškia, kad vaistas neturi būti registruotas toje šalyje, kurioje vyksta labdaringas vaisto panaudojimas – t. y. jis neturi būti toje šalyje registruotas nei pagal nacionalinę, nei pagal decentralizuotą ar abipusio pripažinimo procedūras[587]. Taip pat jis neturi būti registruotas pagal centralizuotą procedūrą (net jei liga ir tikslinė pacientų grupė skiriasi nuo tos, kurios pagrindu vaistas buvo registruotas)[588]. Esminis 83 straipsnio akcentas, į kurį gairėse nekart dėmesį atkreipė ir Europos vaistų agentūra yra tas, kad jame kalbama apie vaistų prieinamumą pacientų grupėms – t. y. daugiau nei vienam pacientui[589]. Iš to seka, jog 83 straipsnis netaikomas neregistruotų vaistų naudojimui vardiniu pagrindu 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnio prasme.

Dabar aiškesne tampa ir pastarajame straipsnyje 2004/27/EB direktyva padaryto pakeitimo apie kurį jau užsiminta reikšmė. Daugiskaitos pakeitimas vienaskaita kalbant apie tikslinius pacientus, kuriems skiriamas gydymas neregistruotais vaistais, greičiausiai yra normos patobulinimas juridinės technikos požiūriu. Taip kur kas aiškiau atskirtas neregistruotų vaistų naudojimo pavieniam pacientui ir pacientų grupėms teisinis reglamentavimas[590]. Tačiau turint omenyje galimą skirtingą 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnio normos interpretavimą, reikia pastebėti, jog sunkiai sergančių pacientų gydymo galimybės tapo priklausomos nuo to, kaip ši norma išaiškinta ir įdiegta nacionalinėje teisėje: siaurinamai, kai įteisintas tik šalyje neregistruotų

[587] Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/20004. EMEA: London, 19 July 2007, p. 4–5.

[588] *Ibid.*, p. 4–5.

[589]726/2004/EB reglamento lietuviškame autentiškame vertime kriterijus ,,group of patients“ išversta kaip ,,pacientams“, o ne pacientų grupei (*aut. past.*).

[590] Palyginimui:

2001/83/EB direktyvos 5 str. ištraukos anglų ir lietuvių kalbomis: ,, ...in accordance with the specifications of an authorized health care professional and for use *by his individual patients* on his direct personal responsibility“; ,, ...pagal teisę turinčio medicinos specialisto nurodymus ir skirtas *jo individualiems pacientams*, už kuriuos jis tiesiogiai ir asmeniškai yra atsakingas“.

2004/27/EC direktyvos 5 str. ištraukos anglų ir lietuvių kalbomis: ,,...in accordance with the specifications of an authorised health-care professional and for use *by an individual patient* under his direct personal responsibility“; „...pagal tam teisę turinčio sveikatos priežiūros specialisto nurodymus ir skirtas *individualiems pacientams*, už kuriuos jis tiesiogiai ir asmeniškai yra atsakingas“. Pastaba: lietuviškas direktyvos vertimas turėtų būti tikslintinas.

vaistų prieinamumas pacientui, ar plečiamai – apimant ir tiriamųjų vaistų naudojimą pavienio paciento gydymui.

A. Wagstaff straipsnyje „Daying for lack of compassion?“ (liet. *Mirštantys dėl užuojautos stokos*?“) nurodo, jog daugelyje valstybių ES narių yra priimtos teisės nuostatos dėl pacientų grupėms skirtų išplėsto prieinamumo programų, kurios turi būti vykdomos pagal tą patį protokolą kaip vaisto klinikinis tyrimas. Tačiau pastebi, jog ne visos farmacijos įmonės siekia, jog vaistai taptų prieinami per šias programas. Dažniausiai jos vykdomos tuomet, jei į užsakovo vykdomą III klinikinių tyrimų fazę yra įtrauktas visas numatytas dalyvių skaičius arba tik tam ar tiems pacientams, kurie neturi jokių galimybių dalyvauti reikalingo vaisto klinikiniame tyrime[591].

Tuo tarpu galimybės tiriamąjį vaistą skirti ir naudoti pavienio paciento gydymui kol kas įteisintos tik nedaugelyje valstybių ES narių. Dažniausiai teisiškai reglamentuotas tik šalyje neregistruotų vaistų įvežimas konkretaus paciento sveikatos priežiūros reikmėms. Taigi teisės normos, priimtos dėl labdaringo vaistų naudojimo, ES šalyse narėse skiriasi. Pavyzdžiui, Vokietijoje įteisintas tiek šalyje neregistruotų vaistų įsigijimas vardiniu pagrindu, tiek pavienio paciento gydymas dar tiriamais vaistais, Italijoje – tiek vardinių vaistų importas, tiek pavienio paciento gydymas vaistais, kuriems baigta II klinikinių tyrimų fazė, Jungtinėje Karalystėje įteisinti atviri klinikiniai tyrimai (kai ir gydytojas ir pacientas žino, koks gydymas skiriamas pacientui), taip pat asmeniniam naudojimui skirtų šalyje neregistruotų vaistų importas bei tiriamųjų vaistų naudojimas pavienio paciento gydymui[592], nuo 2003 metų birželio 1 dienos labdaringas vaistų panaudojimas pavienio paciento gydymui įteisintas Danijoje[593]. Skiriasi ir nustatytas labdaringai naudojamų vaistų apmokestinimas. Vienur tokie vaistai turi būti pilnai apmokami gamintojo, kitur pacientas turi apmokėti programos administravimo išlaidas, o kai kuriais atvejais ir vaisto gamybos ar netgi nedidelę dalį vaisto kūrimo ir tyrimų išlaidų.

Leidimų labdaringai naudoti vaistus išdavimo sistemos taip pat įvairios. Vienose šalyse numatytos ilgai trunkančios kompleksinės procedūros, kai būtina parengti pluoštus dokumentų ir

[591] Farmacijos įmonių prioritetas kiek įmanoma greičiau atlikti vaisto klinikinius tyrimus ir pateikti vaistą į rinką, todėl jos kartais baiminasi, kad pacientai nenorės dalyvauti klinikiniame tyrime, jei vaistas jiems taps prieinamas kitais būdais. Taip pat problemiškais tampa vaisto, skirto plačiai taikomoms išplėsto prieinamumo programoms, gamybos ir logistikos kaštai. Ankstyvosiose klinikinių tyrimų fazėse vaistų rekia keletui šimtų pacientų, kuriuos galima pagaminti ir laboratorijos sąlygomis. Ne kiekviena įmonė gali ryžtis vykdyti išplėsto prieinamumo programas, kai vaistus reikėtų pagaminti ir tiekti tūkstančiams pacientų, nebūdamos garantuotos, jog jų vaistas bus registruotas [WAGSTAFF, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/ December, 2007, p. 24 [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.cancerworld.org/CancerWorld/getStaticModFile.aspx ?id=1955>.

[592] A guide to cancer drug development and regulation. AstraZeneca, 2006. In WAGSTAFF, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/ December, 2007, p. 22 [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.cancerworld.org/CancerWorld/getStaticModFile.aspx?id=1955>.

[593] Compassionate use permit for experimental treatment with medicinal products [interaktyvus] [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.dkma.dk/1024/visUKLSArtikel.asp?artikelID=4619>.

kiekvienas atvejis apsvarstomas keletame skirtingų institucijų. Kitur atvirkščiai – tvarka supaprastinta[594].

Todėl tiriamųjų vaistų prieinamumą pacientams galima sulyginti su loterija. Europos vaistų agentūra 726/2004/EB reglamento 4 dalyje pasiliko sau teisę, pasikonsultavus su tiriamojo vaisto gamintoju ar valstybe nare, kuri praneša, jog siektų to vaisto panaudojimo labdaros tikslu, priimti nuomones dėl to vaisto naudojimo, paskirstymo sąlygų ir tikslinių pacientų. Šiuo atveju būdama tik konsusultuojančia institucija, Europos vaistų agentūra niekaip nesprendžia tiriamųjų vaistų tiekimo skirtumų, sąlygojančių jų prieinamumo pacientams nelygybę skirtingose valstybėse ES narėse. Taigi sunkia, gyvybei gresiančia liga sergančiam pacientui pasiseka, jei jo gyvenamojoje valstybėje yra imtasi veiksmingų teisinių priemonių užtikrinant šalyje neregistruotų bei tiriamųjų vaistų prieinamumo galimybes, jei gydytojų derybos su farmacijos įmone dėl vilties teikiančio vaisto labdaringo tiekimo yra sėkmingos, o etikos komiteto nariai, kuriems dažnai deleguojama funkcija išreikšti pritarimą arba nepritarimą dėl tiriamųjų vaistų panaudojimo, yra kompetentingi ir geranoriški – trumpiau tariant, jei atsakingiems asmenims visose grandyse, turinčiose įtakos, jog sunkiai sergantis pacientas gautų galimai veiksmingą gydymą, tai tikrai rūpi.

3.2.3. Neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo materialinės teisinės garantijos Lietuvoje

LR PTŽSAĮ 8 straipsnio 2 dalis suteikia pacientui teisę, jei „yra galimybė“ rinktis Sveikatos apsaugos ministerijos nustatyta tvarka pripažintas diagnostikos ir gydymo metodikas bei technologijas, tinkamas daugkartiniam naudojimui. Pagal LR SSĮ pakeitimo įstatymo 20 straipsnio 1 dalį tokia pat teisė skiriant gydymą pacientui suteikiama ir sveikatos priežiūros specialistams. Vis dėto, jei ,,tokios galimybės“ nėra ir gydytojo manymu pacientui reikalingas šalyje neregistruotas vaistas, galima pasinaudoti įteisintais neregistruotų vaistų prieinamumo keliais. Iki 2005 metų, kuomet buvo priimtos vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklės[595] (toliau – Taisyklės), nustatančios pavieniam pacientui būtinų neregistruotų vaistų skyrimo, tiekimo ir pardavimo (išdavimo) Lietuvoje tvarką, buvo du keliai, kuriais pasinaudodami sveikatos priežiūros specialistai ir (ar) farmacijos įmonės galėjo padėti pacientams. Pirmasis – tai SAM 1997 metų rugpjūčio 19 dienos įsakymo Nr. 444 2 priedu patvirtinta “Vaistų, gyvybiškai būtinų pavieniams ligoniams

[594] WAGSTAFF, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/ December, 2007, p. 22 [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.cancerworld.org/Cancer World/getStatic ModFile.aspx?id= 1955>.

[595] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. balandžio 5 d. įsakymas Nr. V-233 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m. gegužės 9 d. įsakymo Nr. V-374 "Dėl Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklių patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 42-1598.

gydyti, išrašymo ir pardavimo tvarka"[596] (vėliau SAM 2003 m. liepos 23 d. įsakymas Nr. V-456 ,,Dėl riboto poreikio vaistų"[597]), antrasis – gavus leidimą iš Farmacijos departamento prie SAM įvežti labdaros vaistus[598] (dabar: ,,Paramai skirtų vaistų importo tvarka", reglamentuojama SAM 2004 m. kovo 10 d. įsakymu Nr. V-118[599]).

Šiuo metu pavieniam pacientui reikalingų vaistų įsigijimą Lietuvoje reglamentuoja 2007 metais patikslintos Vardinių vaistinių preparatų taisyklės. Taisyklių 9 bei 10 punktuose iš esmės atkartotas 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnis, nurodant, kad jei nėra galimybių Lietuvoje registruotais vaistais gydyti pacientą, diagnozuoti ligą ar jos išvengti, o gydymo neregistruotu vaistu naudos ir rizikos santykis yra reikšmingai palankesnis negu šalies rinkoje esamų vaistinių preparatų ir gydymo būdų (10 punktas)[600], toks vaistas gali būti tiekiamas į Lietuvos Respubliką remiantis to paciento gydytojo paskyrimu [...] ir skirtas vartoti tiesiogiai šiam gydytojui atsakant" (9 punktas).

Vardinio vaistinio preparato skyrimo tvarka, priklausomai nuo to, ar pacientas gydomas ambulatoriškai ar stacionare šiek tiek skiriasi. Apsisprendęs skirti vardinį vaistą pacientui besigydančiam ambulatorinėje asmens sveikatos priežiūros įstaigoje, gydytojas turi užpildyti vardinio vaisto skyrimo pareiškimą, jame parašu patvirtindamas vardinio vaisto skyrimą individualiam pacientui, o pacientas pasirašydamas duoda sutikimą juo gydytis. Pareiškimas ir vardinio vaisto užsakymas pateikiami vaistinei. Vardinio vaistinio preparato užsakymas, kurį vaistinė ar asmens sveikatos priežiūros įstaiga pateikia platinimo įmonei, yra pagrindas tiek vaistinei, tiek asmens sveikatos priežiūros įstaigai, tiek platinimo įmonei įsigyti neregistruotus vaistinius preparatus (23 punktas). Jei pacientas gydomas stacionare, vietoj pareiškimo pildymo leidžiama daryti įrašus paciento medicinos dokumente, o įstaigos padalinio atstovas vaistinei pateikia atskirą vardinio vaisto užsakymą, nurodydamas reikalingus paciento ir skiriamo vardinio vaisto duomenis (15 punktas). Vaistininkas, įvertinęs, ar teisingai užpildyti dokumentai, turi

[596] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1997 m. rugpjūčio 19 d. įsakymas Nr. 444 ,,Dėl vaistų, neįrašytų į Lietuvos Respublikos valstybinį vaistų ir vaistinių medžiagų registrą, pardavimo". *Valstybės žinios.* 1997, Nr. 79-2020.

[597] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2003 m. liepos 23 d. įsakymas ,,Dėl riboto poreikio vaistų". *Valstybės žinios.* 2003, Nr. 78-3578.

[598] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1998 m. lapkričio 10 d. įsaymas Nr. 648 ,,Dėl Labdaros būdu į Lietuvos Respubliką įvežamų vaistų, medicinos pagalbos priemonių, asmens higienos priemonių, medicininės paskirties baldų ir maisto produktų nekenksmingumo ir kokybės reikalavimų bei kontrolės tvarkos patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 1998, Nr. 99-2755.

[599] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2004 m. kovo 10 d. įsakymas Nr. V-118 ,,Dėl Papildomų dokumentų importuojant paramai skirtus vaistus ir medicinos gaminius išdavimo tvarkos patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 41-1359; Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2008 m. gegužės 20 d. įsakymas Nr. V-477 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2004 m. kovo 10 d. įsakymo Nr. V-118 "Dėl Papildomų dokumentų importuojant paramai skirtus vaistus ir medicinos gaminius išdavimo tvarkos patvirtinimo" pakeitimo". *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 59-2267.

[600] 10 punktas [Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. balandžio 5 d. įsakymas Nr. V-233 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m. gegužės 9 d. įsakymo Nr. V-374 "Dėl Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklių patvirtinimo" pakeitimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 42-1598.]. Informaciją apie Lietuvos Respublikoje registruotus vaistinius preparatus galima patikrinti VVKT interneto svetainėje per prieigą internete: <http://www.vvkt.lt>.

nedelsdamas pateikti vardinio vaisto užsakymą platinimo įmonei, o pastaroji – kuo greičiau pristatyti vaistus užsakiusiai vaistinei. Kadangi vardiniai preparatai tiekiami originaliomis pakuotėmis, etiketę su būtina informacija apie vaistą lietuvių kalba prilipdo vaistininkas, išduodamas vaistus pacientui ar jo atstovui.

Apžvelgus pastarąsias teisės normas, matyti, kad teisinis mechanizmas, jog Lietuvoje pacientą pasiektų čia neregistruoti vaistiniai preparatai yra įtvirtintas. Tačiau įteisintas modelis nepritaikytinas, jei rinkoje esantys vaistai pacientui nėra tinkami ir vienintele viltimi lieka išbandyti dar tik tiriamus vaistus (pvz., po II ar III klinikinių tyrimų stadijos), nes Taisyklėse aiškiai apibrėžta, kad vardinis vaistinis preparatas turi būti registruotas bent vienoje kitoje EEE valstybėje arba gamintojo valstybėje (4 punktas) ir, kad šios Taisyklės netaikomos tiriamiesiems vaistiniams preparatams[601] (2.4 punktas). Tai reiškia, jog į sąvokos ,,neregistruoti vaistai“ apimtį kalbant apie vardinius vaistus Lietuvoje patenka tik vaistiniai preparatai, kurie neįrašyti į Lietuvos Respublikos ar Europos Bendrijos vaistinių preparatų registrą (9 punktas), tačiau yra registruoti, pvz. JAV, Japonijoje ar kitose šalyse. Vadinasi Lietuvoje perkeliant ES teisę buvo pasirinkta ,,atsargesnė“ 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnio interpretacija – t. y. ši nuostata išaiškinta siaurinamai.

Vertinant vardinių vaistų prieinamumo Lietuvoje sistemą tam tikrų problemų galima įžvelgti ir gydytojo atsakomybės reglamentavime. Taisyklių 3 punkte teigiama, kad ,,gydytojas, skirdamas vardinius vaistus pavieniams pacientams, už juos tiesiogiai ir asmeniškai atsako Lietuvos Respublikos pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo ir kitų teisės aktų nustatyta tvarka“ (3 punktas), todėl gali skirti pacientui vardinį vaistą tik turėdamas apie jį pakankamai oficialios informacijos bei pats tiksliai įvertinęs preparato teikiamą terapinę naudą ir jo saugumą (11 punktas). Viena vertus, reikia pripažinti, jog tokia griežto pobūdžio nuostata yra logiška, nes skatina gydytojo atsakingumą priimant sprendimą dėl paciento gydymo Lietuvoje neregistruotu vaistu. Kita vertus tai, jog už priimtą sprendimą ir galbūt ne visuomet įmanomo tikslaus terapinės naudos, saugumo bei to vaisto naudos ir rizikos santykio įvertinimo padarinius tiesioginė atsakomybė tenka asmeniškai tik gydytojui, gali sąlygoti tai, kad gydytojai vengdami galimų nesklandumų, nesiims ieškoti visų įmanomų būdų gydyti sunkiai sergančio paciento. Taip tikėtinai tinkamesnis ar kokybiškesnio gydymo prieinamumas pacientui tampa priklausomas tik nuo jį gydančio gydytojo asmeninės iniciatyvos ir geranoriškumo. Dėl šios priežasties manytina, jog gydytojo atsakomybė turėtų būti paskirstoma ar ribojama.

[601] *Tiriamasis vaistas*: farmacinė aktyvios sudedamosios medžiagos arba jos placebo forma, kuri tiriama arba vartojama klinikiniame tyrime kaip vaisto arba kontrolės atitikmuo, įskaitant vaistus, kuriais prekiauti rinkoje jau išduoti leidimai, bet kurie yra vartojami arba surenkami (sudedami arba supakuojami) kitaip nei yra registruoti arba kai jie tiriami nepatvirtintai indikacijai nustatyti arba norint gauti išsamesnių duomenų apie registruotą vaisto formą [Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. [2001] OJ L 121. 2 str. d punktas.].

Dar vienas neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo būdas Lietuvoje, – į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą įtrauktų vaistų klinikiniai tyrimai. Deja, Lietuvoje jų vykdoma labai mažai. Nuo 2004 metų gegužės iki 2007 metų vidurio mūsų šalyje buvo vykdomi tik keturi retųjų vaistų klinikiniai tyrimai, tuo tarpu kai bendras vaistų klinikinių tyrimų, atliktų per šį laikotarpį skaičius siekia daugiau nei tris šimtus[602]. Pagrindinė tokio nedidelio retųjų vaistų klinikinių tyrimų skaičiaus priežastis ta, jog Lietuva yra maža valstybė, kurioje atitinkama reta liga sergančių pacientų yra nedaug, todėl užsakovams finansiškai neapsimoka teikti paraiškų dėl klinikinių tyrimų vykdymo. Tačiau konstatuotina, jog teisinės sąlygos (tiek tyrėjams, tiek pacientams) atitinkamai vykdyti tokius tyrimus ir dalyvauti juose yra palankios. Lietuvoje galioja pagrindiniai tarptautinių klinikinių tyrimų etikos dokumentai – Helsinkio deklaracija[603], Geros klinikinės praktikos taisyklės[604], Europos Tarybos priimta Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija[605], į nacionalinę teisę perkelta klinikinius tyrimus reglamentuojanti 2001/20/EB direktyva[606], priimti kiti teisės aktai, reglamentuojantys klinikinių tyrimų atlikimo tvarką[607].

Kiti galimi neregistruotų vaistų prieinamumo būdai Lietuvoje nėra detaliau reglamentuoti. Vienintelė teisės nuostata, kuri iš pirmo žvilgsnio galėtų būti interpretuojama kaip neregistruotų tiriamųjų vaistų naudojimo galimybė pavienio paciento gydymui (ne klinikinių tyrimų metu) – LR SSĮ 20 straipsnis, kuriame sakoma, jog sveikatos priežiūros specialistas turi teisę ,,panaudoti naujus, moksliškai pagrįstus, bet dar nustatyta tvarka neįregistruotus vaistus“, tačiau ,,tik stengdamasis pacientą išgydyti, išgelbėti ar pratęsti jo gyvybę“. Vis dėlto įsigilinus paaiškėja, jog tokia šios nuostatos interpretacija gali būti ir neteisinga. Pirmiausia tai prieštarautų LR Farmacijos įstatymo 8 straipsnio 3 daliai, kuri numato, jog Lietuvos Respublikos rinkai gali būti tiekiami ir vartojami sveikatos priežiūrai tik neregistruoti būtinieji vaistiniai preparatai[608] ir vardiniai vaistai[609]. Bet to,

---

[602] ŠPOKIENĖ, I. Legal assessment of current situation on orphan patients in Lithuania. *Medicina.* 2008, 44(8): 574.

[603] World Medical Association Declaration of Helsinki. Ethical Principles for Medical Research Involving Human Subjects. Version 2004 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-14]. <http://www.wma.net/e/policy/pdf/17c.pdf>.

[604] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1998 m. birželio 12 d. įsakymas Nr. 320 „Dėl geros klinikinės praktikos taisyklių“. *Valstybės žinios.* 1998, Nr. 57-1608.

[605] Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 97-4258.

[606] Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. [2001] OJ L 121.

[607] Lietuvos Respublikos farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006. Nr. 78-3056; Lietuvos Respublikos biomedicininių tyrimų etikos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2000, Nr. 44-1247; Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2006 m. gegužės 31 d. įsakymas Nr. V-435 „Dėl Leidimų atlikti klinikinius vaistinių preparatų tyrimus išdavimo, tyrimų atlikimo ir kontrolės tvarkos aprašo patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2006. Nr. 62-2292; Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1998 m. birželio 12 d. įsakymas Nr. 320 „Dėl geros klinikinės praktikos taisyklių“. *Valstybės žinios.* 1998, Nr. 57-1608.

[608] Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų, kurie gali būti tiekiami Lietuvos Respublikos rinkai, kriterijus, leidimų tiekti rinkai tvarką ir kitus reikalavimus nustato ,,Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų tiekimo rinkai taisyklės“, patvirtintos Sveikatos apsaugos ministro 2007 m. gruodžio 29 d. įsakymu Nr. V-1080 [*Valstybės žinios.* 2008, Nr. 4-140.].

[609] Lietuvos Respublikos farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 78-3056.

turint omenyje, jog detaliau šios nuostatos nereglamentuoja jokie poįstatyminiai teisės aktai, nelogiška tokiu atveju būtų ir tai, jog įstatymas numato pernelyg paprastą dar tiriamų vaistų panaudojimo galimybę, nes LR SSĮ 20 straipsnio 2 dalyje teigiama, kad šiuo atveju sveikatos priežiūros specialistai privalo gauti raštišką paciento, o jeigu jis yra nesąmoningos būsenos arba nepilnametis, – jo tėvų, artimųjų, globėjų ar jo atstovo, taip pat sveikatos priežiūros įstaigos medicinos etikos komisijos sutikimą[610]. Nenumatyta nei šių vaistų įsigijimo tvarka, nei kokiai klinikinių tyrimų fazei esant vaistas gali būti panaudotas sveikatos priežiūros reikmėms, neaiškus gydytojo atsakomybės aspektas, nenurodyti ligos sunkumo kriterijai ir t.t. Nesietina ši nuostata ir su 726/2004/EB reglamento 83 straipsniu, nes jis kaip jau minėta, skirtas harmonizuoti valstybių ES narių praktiką dėl sunkiomis retomis ligomis sergančių *pacientų grupių* gydymo dar tiriamais vaistais. O Lietuvoje, kaip ir dar maždaug dešimtyje ES šalių ši procedūra kol kas nėra reglamentuota, todėl teoriškai nėra galima. Taigi darytina išvada, kad retomis, gyvybei gresiančiomis ligomis sunkiai sergančių pacientų, negalinčių dalyvauti klinikiniuose tyrimuose, gydymo neregistruotais tiriamaisiais vaistais prieinamumas Lietuvoje kol kas neįteisintas: nei pavieniam pacientui, nei vadinamasis labdaringas vaistų naudojimas pacientų grupėms. O tai siekiant pagerinti vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumą reikėtų padaryti. Todėl cituotą LR SSĮ 20 straipsnio 2 dalies nuostatą, kuri, beje, išliko nepakitusi nuo pat šio įstatymo priėmimo 1994 metais[611] (tuomet tai buvo 41 str.) reikėtų patikslinti, taip pat poįstatyminiais teisės aktais detaliau reglamentuoti paciento(-ų) gydymo neregistruotais vaistais galimybes, priimti atitinkamas pataisas LR Farmacijos įstatyme.

Įdomu pastebėti, jog 2008 metų pabaigoje Lietuvos laisvosios rinkos instituto (toliau – LLR) iniciatyva buvo surengta diskusija[612] teoriškai svarstant galimybę įteisinti tiriamųjų vaistų po I klinikinių tyrimų fazės naudojimą sunkiai sergančių pacientų gydymui. Šį itin radikalų modelį pristatė iš JAV atvykęs nepriklausomas tyrinėtojas B. J. Madden, jo įdiegimo svarbą argumentuodamas pacientų kaip vartotojų pasirinkimo teise[613]. JAV palaikančiųjų siūlymą, kad sunkiai sergantiems pacientams būtų suteikta galimybė teisėtai įsigyti naujų dar tik pradėtų tirti vaistų padaugėjo prieš keletą metų teismui svarstant bylą *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*. Ši tema pasaulyje aktyviai tebediskutuojama nepaisant to,

[610] Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 63-1231; 1998, Nr. 112-3099; 2000, Nr. 92-2876; 2004, Nr. 68-2367, 2372; Nr. 171-6309; 2007, Nr. 64-2456; 2008, Nr. 50-1850.

[611] Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 63-1231.

[612] Lietuvos laisvosios rinkos instituto surengta diskusija: „Nauji vaistai: kaip nepavėluoti?“ vyko 2008 m. lapkričio 18 d.

[613] MADDEN, B. Didesnis pasirinkimas – geresnė sveikata. Laisvi rinktis eksperimentinius vaistus. Lietuvos laisvosios rinkos institutas, 2008 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-05-27]. <http://www.learningwhatworks. com/papers/dtrack_ lithuania.pdf>.

jog 2008 metais minėta byla baigta teismui atsisakius pripažinti, jog sunkiai sergantis pacientas turi teisę rinktis nesaugų gydymą[614].

Lietuvoje kaip ir kitose šalyse B. J. Madden idėjos sutiktos prieštaringai. Pagrindinis oponentų argumentas tas, kad I klinikinių tyrimų fazės metu ištiriamas tik vaisto toksiškumas ir farmakokinetika, taigi nėra informacijos apie vaisto veiksmingumą, todėl tokių preparatų net negalima vadinti vaistais. Tuo tarpu idėjos šalininkai (mirtinai sergantys pacientai, jų artimieji, kai kurie gydytojai) teigia, kad tiriamo vaisto saugumo, jo ilgalaikio šalutinio poveikio klausimas yra niekis, nes ,,negaunant jokio gydymo – vienintelis ilgalaikis šalutinis poveikis, kuris laukia yra mirtis“[615]. Taigi atsakymo į klausimą, koks pasirinkimas teisingesnis – pacientui leisti mirti draudžiant galimybę gauti ankstyvoje tyrimų stadijoje esantį galimai veiksmingą gydymą, ar leisti jam rizikuoti ir vartoti galimai nesaugų vaistą, tebeieškoma. O akademinės diskusijos, narpliojančios čia persipinančius psichologinius, etinius, medicininius, ekonominius ir net politinius aspektus rodo, jog rasti teisingą sprendimą yra sudėtinga[616].

3.3. Prieinamumo užtikrinimas kompensuojant retoms ligoms gydyti skirtus vaistus ar gydymą užsienyje

3.3.1. Bendrijos teise nustatyti nacionalinių sprendimų dėl vaistų kainos ir kompensavimo priėmimo terminai

Kad retieji vaistai, registruoti centrinės registracijos būdu taptų prieinami pacientams vienoje ar kitoje valstybėje ES narėje, jie turi būti įtraukti į tos valstybės kainodaros ir kompensavimo sistemą. 2007 metais Eurordis atlikto tyrimo dėl registruotų retųjų vaistų

[614] *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 445 F.3d 470 (D.C. Cir. 2006), *rev'd*, 495 F.3d 695 (D.C. Cir 2007) (en banc). *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 495 F.3d 695, 697 (D.C. Cir. 2007) (en banc), *cert. denied*, 128 S. Ct. 1069 (2008).

[615] WAGSTAFF, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/ December, 2007, p. 23 [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.cancerworld.org/Cancer World/getStatic ModFile.aspx?id= 1955>.

[616] Apie vartojant tiriamuosius vaistus dažnai pasitaikantį klaidingą vaisto gydomojo poveikio supratimą (angl. *therapeutic misconception*) ar didelę šio psichologinio veiksnio, kuris ištinka tiek pacientą, tiek jo artimuosius ir gali įtakoti gydytoją ir net pačius vaisto kūrėjus, tikimybę rašoma straipsniuose [CAPLAN, A. Is it sound public policy to let the terminally ill access experimental medical innovations? *The American Journal of Bioethics.* 2007, 7: 1–3; BENDER, S., FLICKER, L., RHODES, R. Access for the terminally ill to experimental medical innovations: a three-pronged threat. *The American Journal of Bioethics.* 2007, 7: 3–6.]. Preziumuojant pasekmes, galinčias kilti įteisinus retai ligai skirtų vaistų po I klinikinių tyrimų fazės prieinamumą, taip pat čia išskirtos ir tokios problemos, kaip klinikinių tyrimų dalyvių trūkumas vėlesnėse to vaisto klinikinių tyrimų stadijose; įmonių intereso vykdyti brangius klinikinius tyrimus smukimas; neigiama įtaka mokslinių tyrimų procesui ir tūkstančiams pacientų, laukiantiems kol bus patvirtintas moksliškai pagrįstas gydymo metodas.

Tačiau yra ir kritiškai vertinančių teismo priimtą sprendimą, jo pagrįstumą [CHIN, B. R. One last chance: *Abigail Alliance v. von Eschenbach* and the right to access experimental drugs. Note. University of California, Davis [interaktyvus]. 2008, 41: 1969–2000 [žiūrėta 2009-05-23]. < http://lawreview.law.ucdavis.edu/issues/41-5_Chin.pdf>.].

prieinamumo[617] išvados rodo, jog nepaisant sėkmingų pastangų kurti ir įregistruoti retuosius vaistus[618], pacientų galimybę nedelsiant gauti gyvybiškai būtiną gydymą riboja valstybių narių kompetentingų institucijų administracijos delsimas priimti sprendimą dėl tokių vaistų įtraukimo į nacionalinę vaistų kainodaros ir kompensavimo sistemą, kartais net smarkiai viršijant teisiškai nustatytus terminus. Dėl šios priežasties įmonės ne į visų valstybių ES narių rinkas gali tiekti registruotus retuosius vaistus. Taigi skirtingose valstybėse narėse pacientams galimybės gauti reikiamų retųjų vaistų yra labai nevienodos[619].

Ši išvada patvirtina faktą, jog kai kuriose valstybėse ES narėse nėra laikomasi dar 1988 metų gruodžio 21 dieną priimtoje Tarybos direktyvoje 89/105/EEB dėl priemonių, reglamentuojančių žmonėms skirtų vaistų kainų nustatymą ir šių vaistų įtraukimą į nacionalinių sveikatos draudimo sistemų sritį, skaidrumo[620] (toliau – 89/105/EEB direktyva) nurodytų maksimalių nacionalinių sprendimų dėl vaistų kainos ir kompensavimo priėmimo terminų.

89/105/EEB direktyvos 2 straipsnyje nustatyta, jog valstybės narės turi užtikrinti, kad sprendimas dėl konkretaus vaisto galimos kainos nustatymo būtų priimamas ir pranešamas pareiškėjui per 90 dienų nuo paraiškos, kurią pagal atitinkamoje valstybėje narėje nustatytus reikalavimus pateikė leidimo pardavinėti gaminį rinkoje turėtojas, gavimo (jei reikalinga papildoma informacija šis terminas gali būti pratęstas iki 180 dienų). O 6 straipsnio 1 dalyje teigiama, kad jei vaistą nacionalinė sveikatos draudimo sistema kompensuoja tik kompetentingoms institucijoms nusprendus įtraukti šį vaistą į nacionalinės sveikatos draudimo sistemos kompensuojamų vaistų sąrašą valstybės narės turi užtikrinti, kad sprendimas dėl leidimo prekiauti gaminiu turėtojo pagal tos valstybės narės keliamus reikalavimus pateikto prašymo įtraukti vaistą į sveikatos draudimo

---

[617] Survey: 4th Eurordis Survey on Orphan Drugs Availability in Europe (2007) [interaktyvus] [žiūrėta 2008-11-12]. <http://www.eurordis.org/article.php3?id_article=1644>.

[618] Per pirmuosius penkerius 141/2000/EB reglamento galiojimo metus (nuo 2000 m. balandžio iki 2005 m. balandžio) Europos vaistų agentūrai buvo pateiktos 458 paraiškos dėl vaistų priskyrimo retiesiems. Daugiau nei pusė šių paraiškų patenkintos – taigi 268 vaistai dėl beveik 200 retų ligų indikacijų buvo įtraukti į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą. 36 proc. šių vaistų skirti vėžiniams susirgimams gydyti, 21 proc. medžiagų apykaitos, 11 proc. imuninės sistemos, 12 proc. širdies ir kraujagyslių ligoms gydyti. 54 proc. iš retiesiems priskirtų vaistų skirti naudoti pediatrijoje: iš jų 11 proc. išskirtinai pediatrijoje, o 43 proc. ir pediatrijoje ir suaugusiųjų gydymui Iš 268 vaistų, priskirtų retųjų kategorijai per minėtą laikotarpį išduoti leidimai prekiauti 22 vaistams dėl dvidešimties skirtingų retų ligų indikacijų, 8 iš kurių prieš tai Bendrijos rinkoje nebuvo jokios gydymo alternatyvos. Retieji vaistai kitoms 12 retų indikacijų, išduodant leidimus jais prekiauti, pasižymėjo didesniu veiksmingumu ir saugumu nei rinkoje esantys vaistai – taigi buvo/yra „akivaizdžiai naudingi“ pacientams. To pasekoje maždaug milijonui retomis ligomis sergančiųjų gydymas tapo arba apskritai įmanomas, arba veiksmingesnis bei saugesnis [Commission staff working document on the experience acquired as a result of the application of Regulation (EC) no 141/2000 on orphan medicinal products and account of the public health benefits obtained. Document on the basis of Article 10 of Regulation (EC) no 141/2000. Brussels, Commission of the European communities, 2006 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-14]. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/orphan_en_06-2006.pdf>; COMP report to the Commision in relation to article 10 of Regulation 141/2000 on orphan medicinal products. London: European Medicines Agency, 25 July 2005, p. 5.].

[619] Survey: 4th Eurordis Survey on Orphan Drugs Availability in Europe (2007) [interaktyvus] [žiūrėta 2008-11-12]. <http://www.eurordis.org/article.php3?id_article=1644>.

[620] Council Directive of 21 December 1988 relating to the transparency of measures regulating the pricing of medicinal products for human use and their inclusion in the scope of national health insurance systems (89/105/EEC). [1989] OJ L 40.

sistemos kompensuojamų vaistų sąrašą būtų priimamas ir pareiškėjui pranešamas per 90 dienų nuo jo gavimo. Jei sprendimas dėl vaistų kainos ir sprendimas dėl jo įtraukimo į sveikatos draudimo sistemos kompensuojamų vaistų sąrašą yra priimami viena administracine procedūra, tas laikotarpis yra pratęsiamas dar 90 dienų. Taigi bendras laikotarpis, kurį užima tos dvi procedūros, turi neviršyti 180 dienų.

Šie terminai yra nustatyti ir turėtų būti taikomi visose valstybėse narėse priimant sprendimus dėl visų žmonėms skirtų vaistų kainų ar į nacionalines sveikatos draudimo sistemas įtraukiamų vaistų asortimento. Taigi tai nėra specialūs terminai, kurie turėtų būti taikomi tik dėl retųjų vaistų. Tačiau mokslininkai, tiriantys ir vertinantys registruotų retųjų vaistų prieinamumą ES šalyse priežastimi, kodėl valstybės nesilaiko 180 dienų termino, delsia ir pasitaiko, kai retieji vaistai net ir šiam terminui pasibaigus nėra prieinami pacientams, įvardija valstybių siekį vilkinti įsipareigojimų kompensuoti brangų vaistą prisiėmimą[621]. Tyrimai rodo, jog kai kurių retųjų vaistų patekimas į valstybės narės rinką buvo uždelstas iki 700 dienų[622] ar net iki 1 400 dienų[623].

Tokią neetišką situaciją, kai sunkių, gyvybei gresiančių ligų gydymui skirtų vaistų prieinamumui patekti į šalies rinką sudaromos mažiau palankios sąlygos, nei vaistams įprastoms ligoms gydyti pagrinde lemia finansinės priežastys. Todėl kompromiso paieška tarp reta liga sergančio paciento lūkesčių, interesų, o ir teisės gauti tinkamą gydymą bei sprendimo tokius vaistus kompensuoti – t. y. užtikrinti jų ekonominį prieinamumą net ir turtingose pasaulio valstybėse neretai tampa dilema. Pastaraisiais metais ji narpliojama tiek viešuose debatuose, tiek ir akademinėje plotmėje.

3.3.2. Retųjų vaistų ekonominio prieinamumo užtikrinimo dilema

2008 metais atliktas palyginimas tarp mažiausiai ir daugiausiai kainuojančių registruotų retųjų vaistų kainų už vieną pakuotę parodė, kad kaina svyruoja nuo 200 eurų iki daugiau nei 10 000 eurų[624]. Paskaičiuota, jog per metus vieno paciento gydymas retaisiais vaistais gali kainuoti nuo 2 150 eurų (*Wilzin* Vilsono (*Wilson*) ligai) iki 650 000 eurų (*Cerezyme* Gošė (*Gaucher*) ligai)[625] ar net

[621] PARISSE-BRASSENS, J. Improving patient access to orphan drugs Eurordis, April 2006 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-01-05]. <http://www.eurordis.org/ article.php3?id_article=1013>.

[622] *Ibid.*

[623] WEELEY, S., *et al.* Zeldzame zorg binnen takenpakket. Pharmaceutisch weekblad. 2006, 11: 373–376. In VERMEER, D. Introducing orphan medicinal products in The Netherlands: how to shorten the process? Master thesis. [interaktyvus] The Netherlands, School of Management & Governance, University of Twente [žiūrėta 2009-03-23]. <http://essay.utwente.nl/58110/1/scriptie_Vermeer.pdf>.

[624] 2006 m. duomenimis vieno paciento gydymo retuoju vaistu kaina per metus svyravo nuo 6 000 iki 300 000 eurų [De VARAX, A., LETELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005, p. 27].

[625] DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D. J. Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. *British Journal of Clinical Pharmacology*

850 000 eurų (*Naglazyme* (mukopolisacharidozei VI))[626]. Atsižvelgiant į tai, kad gydymas paprastai turėtų trukti visą gyvenimą, savaime suprantama, jog pavienis reta liga sergantis pacientas tokių didelių sumų vaistams įsigyti negalėtų skirti. Todėl retųjų vaistų prieinamumas tampa labai priklausomas nuo paciento gyvenamojoje valstybėje sveikatos priežiūrai ir konkrečiai retųjų vaistų kompensavimui skiriamų lėšų kiekio, nacionaliniuose teisės aktuose nustatytos retųjų vaistų skyrimo bei kompensavimo tvarkos ypatumų.

Pasak A. Rappagliosi, užtikrinti retųjų vaistų prieinamumą šalyje – reiškia sudaryti palankiausias sąlygas reta liga sergančiam pacientui gauti naujausius vaistus – t. y. tinkamą gydymą kiek įmanoma greičiau, idealiu atveju visiškai jį kompensuojant[627]. Vadinasi, ekonominiu požiūriu labiausiai užtikrintas retųjų vaistų prieinamumas pacientui, – kiek įmanoma greitesnis kiekvieno iš jų įtraukimas į kompensuojamų vaistų sąrašus. Tačiau Europoje šalių, kuriose situacija yra tokia palanki pacientams, esti vos keletas. 2006 metais nepriklausomų Prancūzijos ekspertų atliktas tyrimas[628] parodė, jog tik Vokietijoje, Ispanijoje, Prancūzijoje, Nyderlanduose ir Švedijoje patvirtinti retieji vaistai automatiškai įtraukiami į kompensuojamųjų vaistų sąrašus. Kitose valstybėse narėse praktika įvairi. Vienur retųjų vaistų įsigijimo lėšos kompensuojamos pilnai arba iš dalies, kitur sudaromi atskiri retųjų vaistų sąrašai arba jie įtraukiami į specializuotus sąrašus (pvz., inovacinių ir/ar brangių ir/ar gyvybiškai būtinų vaistų sąrašus[629]), dar kitur nustatyta tik konkrečiam reta liga sergančiam pacientui skirtų vaistų kompensavimo tvarka. Skiriasi ir biudžetai iš kurių finansuojamas tokių vaistų įsigijimas. Vienur retųjų vaistų įsigijimo išlaidos apmokamos iš nacionalinio sveikatos draudimo fondo biudžeto, kitur – iš specialiai šiam tikslui valstybės ar vaisto gamintojo įsteigto biudžeto, privačių fondų ar bendro ligoninės biudžeto, dar kitur iš biudžeto, išskirto specialios visuomenės sveikatos programos rėmuose (pvz. Lenkijoje) ir pan.[630]. Tokie skirtumai lemia situaciją, jog retųjų vaistų prieinamumas pacientams valstybėse ES narėse yra nevienodas. O jeigu vaistai retoms ligoms gydyti kompensuojami iš vietos ligoninių biudžetų, retųjų vaistų prieinamumas skiriasi net ir tarp atskirų tos pačios šalies regionų[631].

Jei tiksliau norėtume palyginti padėtį dėl retųjų vaistų ekonominio prieinamumo kiekvienoje ES šalyje reikėtų duomenų apie pilnai kompensuojamais retaisiais vaistais veiksmingai gydomų retomis ligomis sergančių pacientų skaičių. Deja, tokių duomenų gauti ir juos palyginti sunku: jie

---

[interaktyvus]. 2006, 62(3): 269 [žiūrėta 2008-07-10]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/articlerender.fcgi?artid =1885144>.

[626] MACHARTUR, D. *Orphan drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues.* Macarthur West Sussex, UK: Justpharmareports 2008. Prieiga per internetą: <www.justpharmareports.com>.

[627] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to orphan drugs in the European Union. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 56.

[628] De VARAX, A., LETELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005, p. 26–28.

[629] Pavyzdžiui Belgijoje retieji vaistai įtraukiami į vadinamąjį A kategorijos vaistų sąrašą, Airijoje į sąrašą, skirtą ,,aukštųjų technologijų“ vaistams, Prancūzijoje - į gyvybiškai būtinų vaistų sąrašą.

[630] De VARAX, A., LETELLIER, M., BÖRTLEIN, G. *op. cit.*, p. 27–28.

[631] *Ibid.*

nesisteminami, skirtingose valstybėse taikomos skirtingos vaistų kainodaros ir kompensavimo sistemos ir pan. Vis dėlto net ir nesant tokios statistikos, remdamiesi keliais iki šiol atliktais tyrimais galime konstatuoti, jog daugelyje valstybių ES narių retųjų vaistų prieinamumas užtikrinamas nepakankamai[632]. Pagrindinė priežastis – vaistai labai brangūs, o sveikatos draudimo biudžetų resursai riboti.

„Pinigų yra tiek, kiek jų yra“, – argumentuoja valdininkai, įvesdami įvairias kvotas, nustatydami farmakoekonominius vaistų vertinimo kriterijus, įteisindami sudėtingas ir ilgai trunkančios retųjų vaistų įsigijimo ir kompensavimo procedūras, taip mėginant apriboti išlaidas brangiai kainuojančių retųjų vaistų įsigijimui. Viena vertus, tokios priemonės atrodo neišvengiamos. Sveikatos sistemoms kasdien susiduriant su vis didesniais iššūkiais (gyventojų senėjimu, didėjančia naujų veiksmingų vaistų paklausa, vėžio ir kitų sunkių ligų plitimu), užtikrinti kasdien augančių pacientų poreikių be jokių apribojimų praktiškai neįmanoma, nes kaip konstatuota anksčiau, – sveikatos priežiūros prieinamumas priklauso ir nuo šalies ekonominių galimybių. Kita vertus, reikia pripažinti ir tai, kad nemažai priklauso nuo to, kokie prioritetai pasirenkami skirstant lėšas – t. y. nuo valstybės socialinės ir sveikatos apsaugos politikos.

Šiuose svarstymuose akivaizdus prieštaringas konfliktas. Nelaimei, ryškiausiai jis pasireiškia pacientų kasdienybėje. Todėl literatūroje vienareikšmiškai pripažįstama, jog brangiai kainuojančių retųjų vaistų kūrimo finansavimas ir ypač milžiniškų materialinių resursų reikalaujantis retų ligų gydymo kompensavimas yra tiek etinė, tiek teisinė dilema[633]. Kodėl „etinė“? Todėl, kad sveikatos priežiūrai skirtų išteklių paskirstymas neišvengiamai remiasi viena ar kita iki šiol vienareikšmiško apibrėžimo neturinčia moraline paradigma (teisingumu, lygybe, solidarumu ir pan.). Kodėl „dilema“? Nes argumentai, kuriais įrodinėjamas tokių vaistų kompensavimo būtinumas ir pacientų lūkesčių dėl to teisinis pagrįstumas ar atvirkščiai – tokio kompensavimo našta visuomenei yra prieštaringi. Etika ieško principų pagal kuriuos lėšos sveikatos priežiūrai būtų paskirstytos teisingai. Teisė atlikdama savo socialinę paskirtį bando suderinti skirtingus interesus taip, kad resursai būtų paskirstyti nenusižengiant socialiniam teisingumui (dar vadinamam paskirstomuoju teisingumu (angl. *distributive justice*)). Tačiau juk tai, ar tam tikrą teisinėmis priemonėmis nustatytą paskirstymo sistemą (pvz., lėšų retųjų vaistų kompensavimui) vertinsime kaip socialiai teisingą

[632] Rare diseases: Europe's challenges. Public consultation. European Commission. Health and Consumer protection directorate-general, 2007, p. 12.

[633] Straipsniuose: RAPPAGLIOSI, A. Patient access to innovation: biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology*. 2001, 7(4): 299–308; GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics.* 2005, 31: 164–168; HUGHES, D. A., TUNNAGE, B., YEO. S. T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *Q J Med.* 2005, 98: 829–836; HOLLIS, A. *Drugs for rare diseases: paying for inovation*. November 2005, p. 1–16 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-01-17]. <http://www.irpp.org/books/archive/IRPP-JDI/hollis.pdf>;

[633] McCABE, C., BERGMANN, L., BOSANQUET, N., ELLIS, M., ENZMANN, H., von EULER, M., *et al.* Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology* [interaktyvus]. 2009, 20: 403–412 [žiūrėta 2009-06-14]. <http://annonc.oxfordjournals.org/cgi/reprint/20/3/403>.

labai priklauso nuo filosofinio principo, kurį palaikysime: teisingu teigsime esant skirstymą pagal poreikius, pagal nuopelnus, o galbūt postuluosime visų asmenų lygybę.

3.3.2.1. Teisingumo teorijos taikymo sveikatos priežiūroje galimybės ir ribos

Aprašant paskirstomojo teisingumo kategoriją išskiriamos kelios šiuolaikinės politinės filosofijos atstovų formuluojamos konkuruojančios teorijos: utilitarizmas; J. Rawls ,,teisingumas kaip nešališkumas“ (angl. *justice as fairness*); R. Nozick libertarizmas (angl. *rights-based libertarian theories of justice*); ir egalitarizmas[634]. Nei utilitarizmo klasikai J. Bentham ir J. S. Mill, nei sudėtingą teisingumo teorijos paiešką savo veikaluose plėtojęs J. Rawls, nei R. Nozick atskirai nesprendė sveikatos priežiūros išteklių skirstymo problemos, tačiau jų formuluojami bendrieji teisingumo principo argumentai gali būti pritaikomi ją sprendžiant.

Remiantis paminėtomis socialinio teisingumo teorijomis, medicinos etikoje yra išskiriami trys resursų skirstymo modeliai: nešališkas, selektyvus ir resursų skirstymas remiantis laisvosios rinkos dėsniais[635].

Pirmojo modelio filosofinis pagrindas – J. Rawls požiūris, kad teisingumo esmė yra susitarimas dėl resursų skirstymo principų, iš kurių svarbiausias yra nešališkumas. Nešališkai skirstant resursus visi piliečiai laikomi lygiais. Teisingumas pagal J. Rawls reiškia pastangą pagerinti kiekvieno piliečio padėtį kompensuojant likimo skriaudas tiems, kurie atsidūrė nepalankiausioje situacijoje ir yra labiausiai nuskurdę[636].

Selektyvus resursų skirstymas orientuojasi į bendrą socialinę gerovę. Pagal jį, resursai turi būti skiriami tiems projektams, kurie duoda optimaliausius rezultatus visuomenės mastu. Šio resursų skirstymo modelio teorinis pagrindas – utilitaristinė etika, kurios pagrindinę nuostatą atspindi J. Bentham teiginys: "kuo didesnio žmonių skaičiaus kuo didesnė laimė".

Libertarinį požiūrį į teisingumą išplėtojo R. Nozick. Jis prieštarauja J. Rawls siūlomai paskirstomojo teisingumo schemai, teigdamas, jog asmenys turi patys susitarti kaip galėtų vienas su kitu elgtis ir ką galėtų vienas kitam duoti. Pasak jo, valstybėje, kurios įstatymai neapriboja asmens teisės nevaržomai disponuoti savo nuosavybe, bet, atvirkščiai, ją gina, resursų skirstymas netenka normatyvinio pagrindo – t. y. būtinybė perskirstyti resursus apskritai išnyksta. ,,Negali būti jokio

[634] *Philosophy of law: an encyclopedia* (ed. C. Berry Gray). New York and London: Garland Publishing, Inc, 1999, p. 221–223.

[635] JAKUTYTĖ, S. Resursų skirstymas [interaktyvus] [žiūrėta 2008-08-19]. <http://bioetika.sam.lt/index.php?-1414754954>.

[636] RAWLS, J. *A Theory of Justice*. Cambridge: Harvard Uiversity Press, 1971. In JAKUTYTĖ, S. Teisingumo teorijos taikymas sveikatos priežiūroje: galimybės ir ribos. *Filosofija, sociologija.* 2001, 2: 4.

centrinio skirstymo, nėra jokio asmens ar asmenų grupės, turinčios teisę kontroliuoti visus išteklius ir kartu spręsti kaip juos išdalyti“ – teigia filosofas[637].

Šiuolaikinės medicinos filosofijos atstovai N. Daniels ir R. Veatch palaiko žymaus utilitarinio mąstymo atstovo J. Rawls ,,nešališkąjį požiūrį“. Jų manymu teisinga skirti tokį sveikatos priežiūros lygį, kuris būtų vienodai prieinamas visiems. Tačiau raginama atsižvelgti ir į diferenciacijos principą, reikalaujantį skirstyti išteklius taip, kad pagerėtų labiausiai nuskriaustos asmenų grupės padėtis[638]. Tai atitinka J. Rawls formuluojamą išlyginamojo paskirstymo principą, pagal kurį socialinė bei ekonominė nelygybė būtų reguliuojama taip, kad ji būtų kuo naudingiausia blogiausioje padėtyje esantiems visuomenės nariams[639]. Ši koncepcija neprieštarauja skirstymo pagal poreikius principui, kuomet vadovaujamasi nuostata, jog pats žmogus geriausiai žino savo poreikius.

Kitas medicinos etikos specialistas T. Engelhardt yra libertarinio skirstymo šalininkas. Libertarinėje teorijoje teisingumas – autonomijos ir ekonominės laisvės apsauga. Todėl T. Engelhardt požiūriu, teisinga būtų leisti kiekvienam įsigyti tas medicinos paslaugas, kurios jam yra reikalingos pasinaudojant nuosavais ištekliais, nes sveikata – tai ,,natūrali loterija“, kai vieniems reikia gerokai mažiau sveikatos priežiūros negu kitiems. O toks didesnis ar mažesnis poreikis gali būti traktuojamas tik kaip nesėkmė, o ne kompensavimo reikalaujanti neteisybė, todėl naudojimasis sveikatos priežiūros ištekliais turėtų priklausyti nuo asmens turimų lėšų, kurias jis gali skirti savo reikmėms šioje srityje tenkinti[640]. A. Patapo nuomone, ši koncepcija iš esmės palaiko lygybės principą, tačiau nepaisant iš pirmo žvilgsnio akivaizdaus patrauklumo, deja, ji toli gražu ne visada galėtų užtikrinti socialinį teisingumą, ypač medicinoje. Pripažįstant, kad žmonių išeities pozicijos ne visada yra lygios (vieni iš prigimties yra sveiki ir jiems reikia mažiau medicinos paslaugų, kiti serga lėtinėmis ligomis, reikalaujančiomis ilgalaikio gydymo ir priežiūros), griežta lygybė atvestų prie paradoksalios situacijos – radikalios nelygybės[641]. T. Engelhardt siūlo išeitį – asmuo, negalintis sumokėti už gydymą ir neturėdamas teisės jo reikalauti, nes tai darydamas pretenduotų į kito asmens nuosavybę, gali prašyti, kad kiti asmenys geranoriškai sutiktų jam padėti, paaukodami dalį savo turto jo gydymui. Tuomet, pasak filosofo, nebūtų pažeistas teisingumas, o padedantieji asmenys vadovautųsi geradarystės principu. Tačiau toks požiūris iš karto provokuoja klausimą, ar gali geradarystės veiksmus koordinuoti valstybė per mokesčių sistemą? Atsakyme, pasak S.

[637] NOZICK, J. *Anarchy, State and Utopia.* New York: Basic, 1974, p 149. In JAKUTYTĖ, S. Teisingumo teorijos taikymas sveikatos priežiūroje: galimybės ir ribos. *Filosofija, sociologija.* 2001, 2: 5.

[638] JAKUTYTĖ, S. Teisingumo teorijos taikymas sveikatos priežiūroje: galimybės ir ribos. *Filosofija, sociologija.* 2001, 2: 7.

[639] RAWLS, J. *Politinis liberalizmas.* Vilnius: Eugrimas, 2002, p. 62.

[640] JAKUTYTĖ, S. Teisingumo teorijos taikymas sveikatos priežiūroje: galimybės ir ribos. *Filosofija, sociologija.* 2001, 2: 7–8.

[641] PATAPAS, A. Moralės objektyvumo problema G. Moore‘o, J. Mackie ir J. Rawlso filosofijoje. Daktaro disertacija. Vilnius, 2001, p. 3.

Jakutytės, slypi prieštaravimas – juk jeigu veiksmas nėra savanoriškas, bet privalomas, – t. y. laisvės idealas įgyvendinamas tik per tam tikrą socialinę privalomybę, tuomet jo negalima pavadinti geradarišku. Šiuo atveju, valstybės, reguliuojančios mokesčių sistemą, vaidmuo sveikatos priežiūroje prieštarauja moralinės pareigos sampratai, taip susilpnindamas tiek egalitarinio teisingumo, tiek libertarinio teisingumo teorijas. Šis konfliktas apsritai verčia suabejoti išteklių skirstymo vertinimu remiantis vien teisingumo principu[642].

Todėl išvada trumpa – vienareikšmiško sprendimo kaip teisingiausia paskirstyti sveikatos priežiūros lėšas kol kas nėra. Pagrindinė priežastis teisingumo paradigmos problema: nors pripažįstama, kad teisingumas nėra tuščia sąvoka ir teisėje vienaip ar kitaip būtina į teisingumo reikalavimus atsižvelgti, tačiau dėl jos turinio tebesiginčijama. Priimtina atrodo M. Walzer, teisingumo sampratų pliuralizmo idėja. Kadangi „teisingumas yra žmogaus kūrinys" ir „nėra nei vienodos paskirstymo schemos, nei vienintelio kriterijaus, kuriuo remiantis skirstymą galima būtų įvardyti kaip teisingą", priklausomai nuo skirtingos socialinės reikšmės, įvairios gėrybės turėtų būti skirstomos remiantis skirtingais kriterijais. Pavyzdžiui, medicina ir kitos oraus gyvenimo būtinybės – pagal poreikius[643]. Tačiau iškyla problema – kiek iš tiesų kam reikia ir kas turi skirstyti – juk kiekvienas gali manyti, kad jo poreikiai yra svarbesni už kito. Jeigu pagal medicininės indikacijas to paties reikia keliems asmenims, tai kieno „reikia" svarbesnis? Ir apskritai, ar įmanomas racionalus savųjų poreikių patenkinimas nepažeidžiant kito žmogaus poreikių?[644] Galimą išeitį savo straipsnyje siūlo A. Stefanini: asmenys turintys vienodus poreikius turi būti traktuojami vienodai, o tiems, kurių poreikiai didesni, dėmesio turėtų būti skiriama daugiau[645].

3.3.2.2. Polemika dėl retųjų vaistų kompensavimo etinių ir teisinių pagrindų

Išdėstyti teoriniai svarstymai yra akivaizdus įrodymas, jog trūkstant resursų nustatyti teisingus ir nešališkus jų skirstymo prioritetus labai sunku. Tačiau vienaip ar kitaip šį klausimą spręsti būtina, nes jis glaudžiai susijęs su asmens teisėmis[646]. Todėl gvildenant retųjų vaistų ekonominio prieinamumo reglamentavimo temą reikia panagrinėti klausimus: kokios ką tik išdėstytų teorinių modelių pritaikymo galimybės sprendžiant ribotų išteklių paskirstymo problemą praktikoje?; ar

[642] JAKUTYTĖ, S. *op. cit.*, 10.

[643] WALZER, M. *Spheres of Justice: A Defense of Pluralism and Equality*. Oxford: Basil Blackwell, 1983, p. 5. In BIELIAUSKAITĖ, J. Socialinio teisingumo principų sistema šiuolaikinėje Vakarų teisės tradicijoje. *Socialinių mokslų studijos.* 2009, 2(2): 120.

[644] PATAPAS, A. Moralės objektyvumo problema G. Moore'o, J. Mackie ir J. Rawlso filosofijoje. Daktaro disertacija. Vilnius, 2001, p. 3.

[645] STEFANINI, A. Ethics in health care priority-setting: a north-south double standard? *Tropical Medicine and International Health.* 1999, 4(11): 709.

[646] FEHR, A., THURMANN, P., RAZUM, O. Drug development for neglected diseases: a public health challenge. *Tropical Medicine and International Health*. 2006, 11(9): 1337.

ligos retumas ir sunkumas yra pateisinama priežastis taikyti pacientų diferenciaciją[647] – t. y. suteikti reta liga sergančiam asmeniui išskirtinį statusą (tam tikrų lengvatų, privilegijų) kitų pacientų atžvilgiu ir jei taip, – tai ar šis argumentas randa atliepį teisingumo principe?; ar lėšos, skiriamos retų ligų gydymui skirtų vaistų kompensavimui galėtų būti traktuojamos kaip visuomenės pareiga nepalikti likimo valiai žmogaus, kurio gyvybei gresia pavojus?

Polemika svarstant tokius klausimus pastaraisiais metais vyksta ir tarp etikos specialistų C. A. Gericke, A. Riesberg, R. Busse[648] ir tarp sveikatos ekonomistų J. McKie, J. Richardson[649], D. A. Huges, B. Tunnage, S. T. Yeo[650], C. McCabe, A. Tsuchiya, K. Claxton, J. Raftery[651].

Susiduria du požiūriai. Viena vertus, retųjų vaistų kompensavimas – tai nedideliam pacientų skaičiui skiriamos milijoninės sumos. Taigi tai tarsi utilitarinio principo, įpareigojančio siekti kuo didesnio naudingumo kuo didesniam individų (šiuo atveju pacientų) skaičiui pažeidimas. Kita vertus, – naujausių vaistų prieinamumas – tai retomis ligomis sergančių pacientų teisių sveikatos priežiūros srityje įgyvendinimas, galintis būti traktuojamas ir kaip lygybės principo taikymas ir kaip iš visuomenės solidarumo kylanti pareiga neatstumti tų, kuriems nepasisekė ir kurie serga liga, kuriai gydyti vaistų kol kas nėra arba gydymas itin brangus[652]. Tai atitiktų skirstymo pagal poreikius bei egalitarinio teisingumo teorinius modelius.

Pasak C. A. Gericke ir kt., remdamiesi grynąja utilitarine koncepcija, prieitume išvados, jog nors retomis ligomis sergantys asmenys turi poreikį būti gydomi, tačiau, atsižvelgiant į didžiausios naudos visuomenei principą, dėl to, kad jų liga yra nedažna ir gydymas brangus, skirti resursų jiems gydyti negalima arba gali būti skiriama labai nedaug[653]. Šią tezę papildo D. A. Hughes ir kt., pastebėdami, jog utilitarinis požiūris į paskirstymo teisingumą patvirtina, jog skirstant sveikatos priežiūros išteklius, retomis ligomis sergantiems pacientams neturėtų būti suteikiamas ypatingas statusas, nes tokiu atveju būtų pažeisti kitų asmenų sveikatos priežiūros poreikiai/interesai – t. y.

---

[647] *Diferenciacija* – teisių pridėjimas arba lengvatų suteikimas valstybės priemonėmis, bet tik tiems asmenims, kurie patys objektyviai nepajėgia bent minimaliai garantuoti savo pagrindinių žmogaus teisių (tai nepilnamečiai, seneliai, iš prigimties neįgalūs asmenys ir pan.). Tokią diferenciaciją kai kurie autoriai vadina pozityviąja diskriminacija. Jos teisėtumas grindžiamas visuomenės solidarumu, humanizmo pajauta ir socialinio stabilumo, kaip visų teisių saugumo garanto, poreikiu [VAIŠVILA, A. *Teisės teorija.* Vilnius: Justitia, 2004, p. 183].

[648] GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics.* 2005, 31: 164–168.

[649] McKIE, J., RICHARDSON, J. The rule of rescue. *Soc Sci Med.* 2003, 56: 2407–2419.

[650] HUGHES, D. A., TUNNAGE, B., YEO. S. T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *Q J Med.* 2005, 98: 833.

[651] McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., RAFTERY, J. Orphan drug revisited. *Q J Med.* 2006, 99: 343; McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., RAFTERY, J. Drugs for exceptionally rare diseases: a commentary on Hughes *et al*. *Healt economics and decision science.* Discussion paper series [interaktyvus]. February 2006 [žiūrėta 2009-01-15]. <http://www.shef.ac.uk/content/1/c6/01/87/47/0602FT.pdf>.

[652] GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. *op. cit.*, p. 164–168; DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D. J. Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. *British Journal of Clinical Pharmacology* [interaktyvus]. 2006, 62(3): 269 [žiūrėta 2008-07-10]. <http://www.pubmedcentral.nih. gov/articlerender.fcgi? artid =1885144>.

[653] GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics.* 2005, 31: 164–165.

sukuriama situacija, jog dažnai pasitaikančia liga sergantis pacientas, kuriam turėtų tekti resursų lygiai kaip ir kitiems, tarsi yra mažiau vertas gydymo. Taigi ribotus sveikatos priežiūros išteklius neproporcingai naudojant retų ligų gydymui, kyla žmonių, kurie serga paprastomis ligomis diskriminacijos pavojus[654]. Pritardami pastarajam teiginiui ir jį plėtodami mokslininkai C. McCabe, A. Tsuchiya, K. Claxton savo straipsnyje pateikia hipotetinę situaciją, kur viena grupė individų įvardijama kaip serganti liga J, o kita grupė – liga K. Tariamai liga K yra dešimt kartų dažniau pasitaikanti nei liga J, o ligą J gydyti kainuoja dešimt kartų brangiau, nei ligą K. Taigi tiek pat lėšų užtenka vienam sergančiajam J liga arba dešimčiai sergančiųjų K liga gydyti. Kyla problema: jei ligonis sergantis liga J nepaisant nieko turėtų gauti gydymą, išeitų jog jo sveikata yra vertinama dešimteriopai labiau nei kiekvieno sergančio liga K sveikata. ,,Jei būtų laikomasi pozicijos, jog svarbiausias kriterijus yra nauda paciento sveikatai, o ne lygybės principas, tuomet kiltų klausimas, – kodėl kažkieno sveikata kaip vertybė turėtų būti vertinama mažiau vien todėl, jog susirgimas nėra retas?“ – kelia klausimą C. McCabe ir kt.[655].

Priešinga pozicija – pacientų, nesvarbu, kokia ir kaip brangiai gydoma liga jie sirgtų teisė į sveikatos priežiūros prieinamumą ir visuomenės pareiga suteikti pagalbą sergantiesiems[656]. Antroje disertacijos dalyje jau nagrinėjome minėtos konstitucinės teisės bei visuomenės solidarumo principo įgyvendinimą kaip retųjų vaistų prieinamumo užtikrinimo teisines prielaidas. Reikia pridurti, jog net keletame skirtingų straipsnių[657] be ką tik įvardintų retųjų vaistų prieinamumo teisinių prielaidų, retų ligų, ypač tų, kurios yra gyvybei gresiančios gydymo prieinamumas yra siejamas ir su kai kurių šalių konstitucine norma, įpareigojančia pagelbėti asmenims, kuriems gresia pavojus[658]. Nors ši nuostata, autorių įvardinama kaip ,,pagalbos taisyklė“ (angl. *the rule of rescue*), iš tiesų, yra dažniau taikytina pateisinti gydytojų medicinines intervencijas situacijose kai paciento gyvybei kyla akivaizdi grėsmė, autorių nuomone, ji pritaikytina ir argumentuojant būtinybę nepalikti likimo valiai asmenų, kuriems reikalingas specifinis gydymas, net jei resursai yra riboti[659]. D. A Hughes ir kt. teigimu, ši taisyklė gali būti interpretuota ir kaip teisinis argumentas, kad visuomenės požiūris į retų ligų gydymo finansavimą yra palankus. Pasak autorių, atsižvelgiant į visuomenės nuomonės formavimosi procesą akivaizdu, jog visuomenė linkusi pritarti ir pateisinti išlaidas atskirų asmenų

[654] HUGHES, D. A., TUNNAGE, B., YEO. S. T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *Q J Med.* 2005, 98(11): 833.

[655] McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., RAFTERY, J. Orphan drug revisited. *Q J Med.* 2006, 99: 343.

[656] GERICKE, C.A., RIESBERG, A., BUSSE, R. *op. cit.*, p. 165; HUGHES, D. A., TUNNAGE, B., YEO. S. T. *op. cit.*, p. 833.

[657] PABST, J. Y. Médicaments orphelins: quelques aspects juridiques, éthiques et économiques. Rev Epidemiol Sante Publique. 2001, 49: 387–396; GERICKE, C.A., RIESBERG, A., BUSSE, R. *op. cit.*, p. 166; HUGHES, D. A., TUNNAGE, B., YEO. S. T. *op. cit.*, p. 829–836; McKIE, J., RICHARDSON, J. The rule of rescue.*Soc Sci Med.* 2003, 56: 2407–2419.

[658] Kaip pavyzdys straipsnyje pateikiamos Prancūzija ir Vokietija. (*aut. past*).

[659] McKIE, J., RICHARDSON, J. The rule of rescue. *Soc Sci Med.* 2003, 56: 2407–2419.

ar jų grupių sveikatos priežiūrai, jei: (a) tokių atvejų nėra daug; (b) būklė reta; ir (c) neegzistuoja alternatyvaus gydymo[660].

Tokią nuomonę kaip stokojančią logikos savo straipsnyje kritikuoja sveikatos ekonomikos specialistai C. McCabe, A. Tsuchiya ir kt. teigdami, jog pagal ją punktas (c) reikštų, kad jei egzistuoja vienintelė galimybė (būdas) išgelbėti ar pratęsti asmens gyvybę, ji turėtų būti gelbėjama bet kokia kaina, bet jei tam egzistuoja daugiau nei vienas būdas – ši taisyklė nebegalioja, o tai minėti autoriai vertina kaip absurdą[661]. ,,Alternatyvų neturinčio gydymo“ argumentą C. McCabe ir kt. apskritai pavadina visišku realybės iškraipymu, nes išsivysčiusiose šalyse retomis ligomis sergantys pacientai nepaliekami be visiškai jokio medicininio gydymo. Pasak autorių, šioje vietoje vertėtų prabilti apie dichotomiją tarp geriausios palaikančiosios sveikatos priežiūros ir ligą įtakojančios, jos eigai poveikį darančios sveikatos priežiūros. Sveikatos priežiūros sistemos uždavinys, tokiu atveju, yra bet koks paciento sveikatos pagerinimas. Iš to seka, jog nauda sveikatai dėl geriausios palaikančiosios sveikatos priežiūros neturėtų būti vertinama mažiau nei nauda sveikatai dėl ligą įtakojančio gydymo[662].

Minėti autoriai nepritaria ir D. A. Hughes pateikiamam tipiškam ,,pagalbos taisyklės“ pritaikymo konkrečioje situacijoje pavyzdžiui, kuomet skurdžiose šalyse gyvenantys vaikai, turintys didelę fizinę negalią, skraidinami gydyti į šalis, kur ekonominės gerovės lygis yra aukštas[663]. C. McCabe ir kt. manymu, ,,šis fenomenas gali būti įvardintas tik kaip pirmenybės teikimas ,,visuotinai pripažintai aukai““. Nors D. A. Hughes cituoja P. Dolan tyrimus, kurie patvirtina nuostatą, jog kalbant apie asmens sveikatos pagerėjimą (naudą sveikatai) visuomenė tam teikia daugiau reikšmės tuomet, kai tai patiria asmuo, kuriam tokį pagerėjimą prognozuoti buvo sunku[664], C. McCabe ir kt. pastebi, kad ,,pagalbos taisyklė“ yra toli gražu ne ,,taisyklė“, o veikiau ,,koncepcija“, paaiškinanti daugumos visuomenės narių instinktyvią emocinę reakciją į tragiškus įvykius sunkiomis aplinkybėmis. Jie pastebi, jog neretai tam pasitelkiama žiniasklaida, o paviešinus konkretaus paciento istoriją, jis tarsi įgyja išskirtinį statusą, nes tampa ,,mums pažįstamu“. Tuo tarpu resursus sveikatos priežiūrai skiriančios institucijos patiria spaudimą. Pasak C. McCabe ir kt., tam, kad vadinamoji ,,pagalbos taisyklė“ taptų atitinkamu retomis ligomis sergančių pacientų atžvilgiu formuluojamos sveikatos politikos ir teisėkūros pagrindu, būtinas aiškus normatyvinis pagrindimas. Kitu atveju, žvelgiant iš plačios visuomeninės perspektyvos, akivaizdu, jog visuomenė preferencijas dažniau teikia ,,pažįstamiems“ asmenims ir jų gyvybėms, taip remdama daugiau

[660] HUGHES, D. A., TUNNAGE, B., YEO. S. T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *Q J Med.* 2005, 98(11): 833.

[661] McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., RAFTERY, J. Orphan drug revisited. *Q J Med.* 2006, 99: 343.

[662] *Ibid.*, p. 341.

[663] HUGHES, D. A., TUNNAGE, B., YEO. S. T. *op. cit.*, p. 833.

[664] DOLAN, P., SHAW, R., TSUCHIYA, A., WILLIAMS, A. QALY maximisation and people‘s preferences: a methodological review of the literature. *Health Econ.* 2005, 14: 197–198.

privatų (konkretaus asmens retos ligos gydymo) nei visuotinį – brangiai atsieinantį kiekvieno reta liga sergančio paciento gydymo interesą, todėl teikiant pirmenybę našališkumo pozicijai, svarbu, jog priimant sprendimus tie, kurių labui jie priimami mums liktų nežinomi“[665].

Apibendrinant išsakytus argumentus darytina išvada, jog vienareikšmiško atsakymo kaip teisingiausia paskirstyti resursus taip ir nepavyko rasti, nes jo tiesiog nėra. Todėl pacientų padėtis priklauso nuo to, kuri teorija laikoma priimtinesne konkrečioje šalyje. Manytina, jog ES šalyse prioritetas turėtų būti teikiamas filosofinio diskurso pozicijai, teigiančiai, kad reikia siekti kiek įmanoma įgyvendinti retomis ligomis sergančių pacientų interesus gauti kokybišką ir ekonomiškai prieinamą sveikatos priežiūrą. Libertarinis egalitarizmas atsižvelgiant į tai, jog daugelyje Europos šalių pripažįstamos valstybės socialinės priedermės, čia nelabai pritaikytinas. Tačiau tenka pripažinti, jog pilnavertiškai įgyvendinti šią poziciją sunku, todėl net ir turtingose valstybėse ES narėse vaistų kompensavimo sistemą administruojančios valstybės institucijos prieš priimdamos sprendimą dėl brangių retųjų vaistų kompensavimo pacientams atsižvelgia ne tik į vaisto kokybę, saugumą, veiksmingumą, bet ir į vadinamuosius farmakoekonominius rodiklius.

Ar farmakoekonominių rodiklių taikymo įteisinimas reglamentuojant retųjų vaistų kompensavimo tvarką yra pagrįstas? O gal tai tik papildoma kliūtis retųjų vaistų prieinamumui? – atsakymų kartu su šia tema rašančiais autoriais – M. F. Drummond, A. Hollis, A. Rappagliosi, C. Møldrup bei C. McCabe, L. Bergmann ir kt. ieškoma kitame disertacijos skirsnyje.

3.3.2.3. Farmakoekonominių kriterijų pritaikomumas svarstant retųjų vaistų kompensavimo klausimą

Siekiant racionalaus sveikatos priežiūrai skirtų išteklių paskirstymo tarp kitų išlaidų kontrolės priemonių[666] vis populiaresniu tampa reikalavimas arba rekomendacija prieš vaistui patenkant į kompensavimo sistemą atlikti jo farmakoekonominį vertinimą – t. y. taikant analitinius metodus susieti gydymo vaistais ar kitokiomis intervencijomis kaštus su gydymo rezultatais. Kitaip tariant siekiama įvertinti ne tik vaisto medicininės savybes, veiksmingumą, saugumą, bet ir tai, kiek ligonis ar valstybė už vaisto didesnį efektyvumą ar saugumą santykinai daugiau turi primokėti.

Europos šalys taiko įvairias metodikas šiam vertinimui atlikti[667]. Metodikos skirtingos kaip ir valstybių ES narių sveikatos sistemos bei jų finansavimo principai. Tačiau dažniausiai

[665] McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., RAFTERY, J. Orphan drug revisited. *Q J Med*. 2006, 99: 343.

[666] Pvz.: nustatyti didmeniniai ar mažmeniniai antkainiai vaistams; nustatytos bazinės vaistų kainos; ligonio priemokos už kompensuojamuosius vaistus taikymas; derybos su vaistų gamintojais; gydytojams nustatomas lėšų limitas kompensuojamiesiems vaistams išrašyti; kompensuojamųjų vaistų kainų šalyje palyginimas su kitų šalių kainomis.

[667] 1999 m. PSO regioninis Europos biuras (WHO/EURO) surengė valstybių ES narių sveikatos apsaugos ministrų ir socialinio draudimo institucijų vadovų diskusiją dėl farmakoekonominių metodų taikymo priimant

pasitelkiamos dvi farmakoekonominės analizės rūšys: kaštų mažinimo analizė arba kaštų efektyvumo analizė[668].

Kaštų mažinimo analizė atliekama tuo atveju, kai terapinė tiriamojo vaisto vertė sutampa su lyginamojo vaisto terapine verte ir abiem atvejais gydymo rezultatai yra vienodi. Tokiu atveju lyginami tik gydymo abiem vaistais kaštai.

Kaštų efektyvumo analizė – tai dviejų ar daugiau tuo pačiu tikslu taikomų alternatyvių gydymo būdų kaštų ir rezultatų, kurie matuojami fiziniais matavimo vienetais, palyginimas. Kaštų efektyvumo analizės tikslas – taikant inkrementinį kaštų efektyvumo koeficientą apskaičiuoti kaštus, tenkančius pasiekto rezultato vienetui. Šis koeficientas nustato ryšį tarp papildomos (didesnės) naudos ir papildomų kaštų.

Kai šios dvi analizės rūšys taikomos sveikatos apsaugos aspektu, imami tik tiesiogiai su sveikatos sistema susiję kaštai[669] ir vertinama nauda (rezultatai) sveikatos apsaugai. Rezultatų vertinimo rodikliai – mirties atvejų sumažėjimas; sumažėjęs komplikacijų skaičius; sumažėjęs nepageidaujamų reakcijų skaičius; sumažėjęs ligos simptomų skaičius ir pan.

Papildoma (speciali) kaštų efektyvumo vertinimo forma yra *kaštų naudingumo analizė*. Kaštų naudingumas yra vertinamas ne sveikatos apsaugos, o visuomenės aspektu, todėl į analizę gali būti įtraukti ir nemedicininiai kaštai: pavyzdžiui, paciento kelionės, maitinimosi, socialinių paslaugų išlaidos; išlaidos dėl darbo užmokesčio praradimo; taip pat ir menamos (nematerialios) išlaidos dėl patirto skausmo, sielvarto, kančių ir kt. Rezultatai vertinami ir išreiškiami pilnaverčio gyvenimo metais. Gautas metų skaičius naudojamas skaičiuojant kaštus, tenkančius rezultato vienetui (papildomi kaštai reikalingi papildomiems pilnaverčio gyvenimo metams), vertinant sergančio asmens poreikius. Turi būti nurodyta naudingumo kilmė bei pagrįsta gyvenimo kokybei vertinti taikyta priemonė[670,671]. Gyvenimo kokybė plačiąja prasme – tai holistinis subjektyvus pasitenkinimo svarbiais individui dalykais įvertinimas. Su sveikata susijusi gyvenimo kokybė – tai gyvenimo kokybės dalis, kurią įtakoja sveikata ar sveikatos priežiūra. Gyvenimo kokybės tyrimai

---

sprendimus dėl vaistų kompensavimo. Tuo metu keletas Europos šalių kaip tik rengė farmakoekonominių metodų taikymo nuostatus, kitose jie jau buvo patvirtinti. Susitikime buvo prieita vieningos išvados, jog vaistų kompensavimo srityje būtina vadovautis farmakoekonomika, tačiau pripažinti ir procedūriniai bei metodologiniai šių metodų taikymo, tyrimo metu gautų duomenų interpretavimo sunkumai. PSO dokumente pripažįstama, jog viešosios politikos institucijos turi atsižvelgti į kaštų kriterijus, tačiau tuo pačiu siekti, jog būtų užtikrinta gydymo prieinamumo pacientams lygybė [Policies on Pricing and Reimbursement of Medicines in Europe: Networking for Information Excange among Policy-makers. Copenhagen, WHO, 1999, p. 2.].

[668] HUTTON, J., McGRATH, C., FRYBOURG, J. M. Framework for describing and classifying decision-making systems using technology assessment to determine the reimbursement of health technologies. *International Journal of Technology Assessment in Health Care.* 2006, 22: 10–18.

[669] Pavyzdžiui: tiesioginiai gydymo vaistais kaštai ir šalutinio poveikio gydymo vaistais kaštai; ambulatorinio gydymo paslaugų (tarp jų ir procedūrų) kaštai; stacionarinio gydymo paslaugų kaštai; diagnostikos ir laboratorinių tyrimų kaštai.

[670] DRUMMOND, M. F., SCULPHER, M. J., TORRANCE, G. W, *et al. Methods for the economic evaluation of health care programmes.* 3rd ed. Oxford: Oxford University Press, 2005.

[671] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2003 m. sausio 20 d. įsakymas Nr. V-26 „Dėl vaistų farmakoekonominės analizės rekomendacijų patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2003, Nr. 13-532.

leidžia įvertinti ligą paciento požiūriu, o ne tik remiantis klinikiniais simptomais ir laboratorinių tyrimų duomenimis[672]. Su sveikata susijusiai gyvenimo kokybei vertinti skirtos priemonės gali būti standartinės arba parengtos konkrečiam negalavimui vertinti. Tokių metodikų (matavimo instrumentų) yra sukurta nepaprastai daug, tačiau praktiškai visos jos apima tokius komponentus kaip fizinė būklė, psichologinis gerbūvis, bendravimas ir kasdienė veikla[673]. Tokie tyrimai leidžia įvertinti ne tik gydymo poveikį paciento gyvenimo trukmei, bet ir kokybei, o tai savu ruožtu gali įtakoti ne tik sprendimą dėl gydymo tikslingumo, bet ir gydymo strategiją.

Koks šių farmakoekonominės analizės rūšių pritaikomumas reglamentuojant retųjų vaistų kompensavimą? – klausimas, kurį pastarųjų metų publikacijose retųjų vaistų tema paliečia vis daugiau mokslininkų, ypač sveikatos ekonomikos specialistų. Nėra keista, kad jų nuomonės nesutampa, ypač, kuomet kalbama apie nepaprastai brangių vaistų, skirtų labai retų ligų gydymui kompensavimą. Vieni teigia, jog privalu taikyti aiškius kriterijus kurie leistų apspręsti vaistų itin retoms ligoms gydyti prieinamumą, pavyzdžiui: adekvačiai sieti gydymo kaštus su gyvenimo kokybės rodikliais[674]; atsižvelgti į tai, kad valstybės patiriamos išlaidos atitiktų naudą sveikatai[675]. Tuo tarpu kiti nepritaria, jog metodai, sukurti įprastoms ligoms skirtų vaistų ekonominiam efektyvumui įvertinti, būtų beatodairiškai taikomi retiesiems vaistams, nes, pasak M. F. Drummond, tuomet nei vienas iš jų kaštų atžvilgiu nebūtų įvertintas kaip efektyvus. O kraštutiniu atveju labai retomis ligomis sergantiems pacientams gydymas taptų apskritai neprieinamas. Tuomet sektų klausimas: kam apskritai reikėjo įteisinti retųjų vaistų kūrimo paskatas ir kurti tokius vaistus, jei vėliau sprendžiant dėl jų kompensavimo būtų priimami tik neigiami sprendimai?[676]

A. Hollis bei A. Rappagliosi savo straipsniuose taip pat prieina išvados, jog pagrindines farmakoekonominės analizės rūšis pritaikyti retųjų vaistų vertinimo atžvilgiu yra sudėtinga, juolab, jog daugeliu atvejų šiems vaistams nėra palyginamosios matavimo priemonės (komparatoriaus).

[672] WOOD-DAUPHINEE, S. Assessing quality of life in clinical research: from where we have come and where we are going? *J Clin Epidemiol.* 1999, 52(4): 355–363. In FURMONAVIČIUS, T. Gyvenimo kokybės tyrimai medicinoje. *Biomedicina*. 2000, 1(2): 129.

[673] Plačiau naudojamas yra laiko mainų (angl. *time trade-off*) metodas, kai pacientų klausiama, kiek dabartinės sveikatos metų jie sutiktų atiduoti už trumpesnį, bet sveikesnį gyvenimą. Pagrindinis šio metodo privalumas – tinkamumas kaštų naudingumo analizėms. Jose gydymo kaina siejama su kokybiškai standartizuotais gyvenimo metais (angl. *quality-adjusted life-years*, QUALY), apskaičiuotais, taikant gydymo metodą, kurio naudingumas yra tiriamas. 1 QUALY reiškia vienerius metus, kai sveikata yra puiki. Jei apskaičiuota su sveikata susijusios gyvenimo kokybės vertė lygi 0,5, – vieneri metai, pragyventi esant tokiai sveikatai, bus prilyginti 0,5 QUALY – tai tarsi pusė metų puikios sveikatos. Lyginant kaštus, kuriais pasiekiama vienerių ,,kokybiško gyvenimo metų“, galima tikslingiau palyginti išteklius įvairioms sveikatos priežiūros programoms [FURMONAVIČIUS, T. Gyvenimo kokybės tyrimai medicinoje. *Biomedicina*. 2000, 1(2): 128–132.].

[674] Reikia pastebėti, jog retų, ypač genetinių ligų atveju , kuomet sergantieji yra vaikai arba liga sukelia ne tik fizinę, bet ir psichinę bei protinę negalią, norint atlikti su sveikata susijusios gyvenimo kokybės tyrimus iškyla problema, kas turėtų vertinti gyvenimo kokybę, jei pats pacientas dėl savo sveikatos būklės ar amžiaus yra nepajėgus atlikti tam tikrą savianalizę ir (ar) užpildyti klausimyną. Tyrimai rodo, jog pasikliaunant slaugytojo, artimojo nuomone iškyla pavojus, jog paciento nerimas, depresija, patiriamas stresas bus pervertinti. Tuo tarpu gydytojai gali nepakankamai įvertinti paciento simptomų visumos sunkumą. [*Ibid.*, p. 129.].

[675] MOBERLY, T. Rationing and access to orphan drugs. *The Pharmaceutical Journal*. 2005, 275: 569–570.

[676] DRUMMOND, M. F., WILSON, D. A., KANAVOS, P., *et al.* Assessing the economic challenges posed by orphan drugs. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2007, 23(1): 37–38.

Pasak autorių, taikant farmakoekonominius kriterijus retieji vaistai taptų beveik arba apskritai neprieinami pacientams[677]. A. Rappagliosi nuomone, valstybės institucijos spręsdamos dėl brangių vaistų kompensavimo turėtų remtis tik trimis tradiciniais – vaisto veiksmingumo, kokybės ir saugumo kriterijais. Tuo tarpu farmakoekonominių kriterijų taikymas sprendžiant vaisto kompensavimo klausimą, autorės teigimu yra – ,,ketvirtoji gydymo prieinamumo pacientams kliūtis“[678]. ,,Farmakoekonominis vertinimas tėra įrankis, galintis padėti kompetentingoms institucijoms priimti sprendimus“, tačiau šis įrankis ,,nėra tinkamas nuspręsti ar gydytojams gydyti ir kaip gydyti savo pacientus“, – gana kategoriškai pabrėžė ši autorė kitame tais pačiais metais publikuotame straipsnyje[679].

Su šia nuomone galima visiškai sutikti, tačiau reali situacija darosi grėsminga: juo daugiau retųjų vaistų yra registruojami ir gaunami leidimai jais prekiauti, juo labiau šių vaistų kompensavimas įtakoja sveikatos draudimo biudžetus, juo sunkiau institucijoms, atsakingoms už administracinio sprendimo dėl retojo vaisto kompensavimo priėmimą[680] rasti objektyvius tokį sprendimą grindžiančius kriterijus[681]. Kokią išeitį autoriai siūlo?

A. Rappagliosi argumentai atspindi humanistinius, visuomenės solidarumo prioritetus. Autorė siūlo atsižvelgti į tai, jog retasis vaistas, pavyzdžiui, yra vienintelis įmanomas gydymas ligoniui, į paciento sveikatos būklės sunkumą, ligos pavojingumą gyvybei, į tai, kiek pacientui kainuotų gydymas vaistu, jei jis nebūtų kompensuojamas[682]. A. Hollis[683] ieškodamas atsakymo pasiremia pastaraisiais metais atliktais mokslininkų (DiMasi, Caglarcan ir Wood-Armany (2001)[684]; DiMasi, Grabowski ir Hansen (2003)[685]; McCabe, Claxton ir Tsuchiya (2005)[686]; M. F. Drummond ir kt.

---

[677] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to innovation: biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology.* 2001, 7(4): 304; HOLLIS, A. *Drugs for rare diseases: paying for inovation.* November 2005, p. 1–16 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-01-17]. <http://www.irpp.org/books/archive/IRPP-JDI/hollis .pdf>.

[678] RAPPAGLIOSI, A. *op. cit.*, p. 305.

[679] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to orphan drugs in the European Union. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 58.

[680] Kai kuriose šalyse retieji vaistai automatiškai įtraukiami į kompensuojamųjų vaistų sąrašus (Vokietijoje, Ispanijoje, Prancūzijoje, Nyderlandose ir Švedijoje). Tačiau dauguma valstybių turi vieną ar kelias specializuotas arba ne, kompetetingas institucijas atsakingas už vaistų, tarp jų ir retųjų, kainų ir kompensavimo nustatymą. (*aut. past.*)

[681] DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D. J. Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. *British Journal of Clinical Pharmacology* [interaktyvus]. 2006, 62(3): 269 [žiūrėta 2008-07-10]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/articlerender.fcgi?artid= 1885144>.

Konkretus pavyzdys kokį poveikį Vakarų Midlando (Anglija) biudžetui 2001–2005 padarė retųjų vaistų kompensavimas pateikiamas straipsnyje BURLS, A., AUSTIN, D., MOORE, D. Commissioning for rare diseases: view from the frontline. *BMJ.* 2005, 331: 1019–1021. Autoriai prieina išvados, jog prieš priimant sprendimą dėl retojo vaisto kompensavimo būtina taikyti farmakoekonominius retųjų vaistų vertinimo metodus.

[682] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to innovation: biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology.* 2001, 7(4): 305.

[683] HOLLIS, A. *Drugs for rare diseases: paying for inovation* . November 2005, p. 1–16 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-01-17]. <http://www.irpp.org/books/archive/IRPP-JDI/hollis.pdf>.

[684] DiMASI, J., CAGLARCAN, E., WOOD-ARMANY, M. Emerging role of pharmacoeconomics in the research and development decision-making process. *Pharmacoeconomics.* 2001, 19(7): 753–766.

[685] Di MASI, J., HANSEN, R. W., GRABOWSKI, H. G. The price of innovation: new estimates of drug development costs. *Journal of Health Economics.* 2003, 22: 151–185.

(2005)[687]) tyrimais ir akcentuoja retųjų vaistų kaip inovacijos kriterijų, šių vaistų svarbą visuomenės sveikatai, teigdamas, jog dėl retųjų vaistų brangumo sveikatos draudimo sistemoms tenkanti našta turėtų būti traktuojama kaip priemoka už sveikatos priežiūros progresą. Retųjų vaistų kūrimas ir tyrimai – brangus ir ilgai trunkantis procesas[688], todėl ir patys vaistai yra brangūs, tačiau ,,pasibaigus patento apsaugai ar rinkos išimtinumo laikotarpiui retųjų vaistų kainos turėtų kristi ir gydymas turėtų atpigti. Visgi taip gali nutikti tik tuo atveju, jei tie vaistai apskritai bus kuriami. Todėl yra naudos šiandien mokėti už brangius vaistus“[689] – tvirtina autorius.

Gydomojo poveikio pacientui padidinimas, inovacijos vertė ir kaina, vaisto gamybos, prekybos ir administravimo išlaidos bei pacientų, kuriems vaistas naudingas skaičius pasauliniu mastu – kriterijai, į kuriuos A. Hollis manymu, galėtų atsižvelgti kompetentingos institucijos svarstydamos klausimą dėl vaisto retai ligai kompensavimo ar apsispręsdamos jį kompensuoti. Deja, nors iš pirmo žvilgsnio, pakankamai aiškūs, šie kriterijai yra problemiški, todėl autorius įvardijęs juos kaip įmanomus, pats juos kritikuoja.

Lengviausia, atrodytų, būtų įvertinti vaisto gamybos, prekybos ir administravimo išlaidas. Deja, tokią informaciją farmacijos įmonės dažniausiai laiko paslaptyje. Apskritai tariant, daugelio vaistų gamybos, pardavimo ir administravimo išlaidos nėra didelės, jei skaičiuotumėme vieno vieneto pagaminimo kainos vidurkį, tačiau, retųjų vaistų kaina dėl mažos potencialios rinkos, šiuo atžvilgiu smarkiai šokteli į viršų.

Diskutuojant gydomojo poveikio pacientui padidinimo kriterijaus turinį atkreiptinas dėmesys į sudėtingą jau šiek tiek anksčiau aptartą farmakoekonominių metodų pritaikymą jam vertinti.

Atskiro vaisto kaip inovacijos vertė ir kaina – elementai, kurie taipogi sunkiai gali būti įvertinami[690]. A. Hollis teigimu, retojo vaisto kaip inovacijos vertė svyruoja nuo 200 milijonų iki 250 milijonų JAV dolerių.

---

[686] McCABE, C., CLAXTON, K., TSUCHIYA, A. Orphan drugs and the National Health Service: should we value rarity? *British Medical Journal.* 2005, 331: 1016–1019.

[687] DRUMMOND, M. F., OBRIEN, B., STODDART, G., TORRANCE, G. W. *Methods for the economic evaluation of health care programmes.* 3rd ed. Oxford: Oxford University Press. 2005; DRUMMOND, M. F., WILSON, D. A., KANAVOS, P., *et al.* Assessing the economic challenges posed by orphan drugs. *International Journal of Technology Assessment in Health Care.* 2007, 23(1): 37.

[688] Nors ir nėra tikslių duomenų, kiek kainuoja vieno naujo vaisto sukūrimas nuo jo pradėjimo kurti iki pateikimo rinkai, 2004 m. duomenimis, naujo vaisto išradimas trunka vidutiniškai 11–15 metų ir kainuoja nuo 300 milijonų iki 936 milijonų JAV dolerių [TELLEKSON, D. K., RICHARDSON, E. A., LEE, S. S. Strategies for attacking and defending pharmaceutical patents: a modern take on ,,The art of war“. *Intelectuall property and technology law journal.* 2005, 17(12); Drug Development Futures. Orphan drug development: a global perspective. Executive Briefing Note, p. 2; DiMASI, J. A., HANSEN, R. W., GRABOWSKI, H. G. *op. cit.,* p. 173.].

[689] HOLLIS, A. *op. cit.,* p. 1–16.

[690] Tyrimą, koks galėtų būti vaisto kaip inovacijos kainos vidurkis atliko DiMasi, Grabowski ir Hansen (2003 m.). Apskaičiuota, jog suma turėtų siekti apie 800 milijonų JAV dolerių (į šią sumą įskaitant ir investuotą kapitalą, ir nesėkmės riziką). Tačiau šis plačiai cituojamas tyrimas yra neretai kritikuojamas teigiant, jog nurodyta suma yra pernelyg ,,išpūsta“. Svarbus veiksnys, į kurį neatsižvelgta, yra tas, kad kai kurios labai vertingos inovacijos pačios savaime gali ir nebūti labai brangios: paprasčiausiai kažkas paprastame dalyke įžvelgė tai, kas ligi tol nebuvo akivaizdu. Pasak prof. A. Hollis, minėtų mokslininkų analizėje nėra atsižvelgiama į tai, kaip inovacijos kaina įvairuoja su atitinkamo vaisto sėkmės rinkoje galimybe, darant prielaidą, jog įmonės yra pasiryžusios investuoti daugiau, jei

Todėl galime prieiti išvados, kad aiškių, visuotinai priimtinų kriterijų nustatant, kiek daug lėšų valstybės turėtų būti pasirengusios mokėti už vaistą, kuriam rinkoje nėra analogo ir naudingas paciento sveikatai, gyvybės pratęsimui ar net jos išsaugojimui kol kas nėra. Ne paslaptis, jog ir pačios biotechnologijų ir farmacijos įmonės naujus vaistus gali pervertinti, spekuliuodamos alternatyvų neturinčio gydymo ir paciento gyvenimo kokybės pagerinimo kriterijais. A. Hollis teigimu, jei retųjų vaistų rėmėjai nebūtų užtikrinti tuo, jog valstybė kompensuos vaistus (pvz., retuosius vaistus automatiškai įtraukiant į kompensuojamųjų vaistų sąrašus) net jei jie yra itin veiksmingi, sumažintų kainas, nes būtų suinteresuoti, kad jų vaistai būtų kompensuoti.

Dar vieną pasiūlymą pateikia C. Møldrup. Jo manymu racionaliausia išeitis – valstybei (draudikui/mokėtojui) ir vaisto gamintojui pasidalinti riziką taikant ,,nėra gydymo rezultatų, nereikia mokėti“ (angl. *,,no cure, no pay“*) strategiją. Paprastai, jei valstybės kompensuotas brangus vaistas pacientą gydant pasirodo esąs neveiksmingas, mokesčių mokėtojų pinigai tarsi yra išleisti veltui. Šiuo atveju, jei vaistas negydo, nesumažina skausmo, pacientui nepadeda išvengti tam tikrų klinikinių simptomų ar nesuteikia kito akivaizdžiai teigiamo rezultato, pacientas ar draudėjas (viešas ar privatus) susigrąžina iš vaisto gamintojo pinigus. Pasak C. Møldrup, toks rizikos pasidalijimo metodas padeda išvengti situacijos, kuomet vaisto nauda sveikatai nėra adekvati už jį mokamai kainai. Patirtos išlaidos turėtų grįžti ir tuomet, jei pacientui pasireiškia žalingas gydymo vaistu poveikis[691].

Šią strategiją kaip racionalios farmakoterapijos modelį nuo 2006 metų taiko Italijos nacionalinė sveikatos tarnyba (it. *Servizio Sanitario Nazionale*), reguliuodama priešvėžinių vaistų, kurie yra labai brangūs, bet tik kartais veiksmingi, pacientams prieinamumą. Pavyzdžiui, pažengusiam nesmulkiųjų plaučių ląstelių vėžiui gydyti skirtas vaistas *erlotinib* (Tarceva™) visiems pacientams pirmuosius du mėnesius yra apmokamas kompensuojant pusę įprastinės kainos. Dėl tolesnio kompensavimo sprendžiama atsižvelgiant į ligos progresą po 8 savaičių pacientams atlikus tyrimus. Analogiškas modelis taikomas retiesiems vaistams *sunitinib* (Sutent™) ir *sorafenib* (Nexavar™), skirtiems pažengusiam inkstų vėžiui bei *dasatinib* (Sprycel™) leukemijai gydyti. Su gamintojais sulygta, jog tris pirmuosius mėnesius pusė gydymo teikiama nemokamai, laukiant po 12 gydymo savaičių atliekamų tyrimų rezultatų. Pacientams, kurių tyrimų rezultatai geri, gydymas pilnai kompensuojamas. Pasak F. Perroni, net per trumpą laikotarpį ši sistema pasiteisino: įgalino ir užtikrinti priešvėžinių vaistų prieinamumą visiems pacientams, ir galimybę susigrąžinti investicijas

---

įmanoma tikėtis didesnio pelno. Be to neaišku kaip traktuoti pakankamai realų faktą, kad įmonės gali pasinaudoti tuo, jog retųjų vaistų kūrimas ir gamyba yra laikomi prioritetu valstybiniu, regioniniu ar net pasauliniu mastu, todėl siekdamos pelno dirbtinai didina vaisto kūrimo kainą ir vertę. Pasak autoriaus, tai paaiškina situaciją, kodėl retųjų vaistų kainos yra nepaprastai aukštos – juk farmacijos įmonėms nereikia jaudintis dėl to ar žmonės sergantys reta liga mokės už tam tikrus vaistus. Jos įsitikinusios valstybė bus tas asmuo kuris bus pasiryžęs mokėti už tai, kad gelbėtų sergančiųjų gyvybes [HOLLIS, A. Drugs for rare Diseases: paying for inovation. November 2005, p. 1–16.]

[691] MØLDRUP, C. No cure, no pay. *BMJ*. 2005, 330: 1262–1264.

bei gauti pelno tiems gamintojams, kurių vaistų poveikis ilgalaikis ir veiksmingas[692]. Tokia pati rizikos pasidalijimo strategija buvo taikoma ir Didžiojoje Britanijoje *bortezomib* (Velcade™) vaistui, skirtam daugybinės mielomos gydymui. Nacionalinė sveikatos tarnyba visiškai vaistą kompensuoja tik po keturių gydymo ciklų, jei pacientams pasireiškia pilnas ar dalinis atsakas į gydymą. Jei vaisto poveikis pacientui nepakankamas, gamintojas yra įpareigotas sugrąžinti valstybės išleistas lėšas paciento gydymui[693].

Savo straipsnyje išvardinę šiuos pavyzdžius C. McCabe ir kt. pritaria, kad toks modelis leidžia minimizuoti ir taip ribotų sveikatos priežiūrai skirtų lėšų iššvaistymo galimybę, tačiau primena, kad patikimų tyrimų, kuriais būtų išmatuotas tokios schemos patikimumas, efektyvumas ir pan., kol kas nėra. Be to pastebi, kad tokias strategijas gana sunku įdiegti ir administruoti. Taip pat, kad jos vaistų gamintojams įneša tam tikrą neužtikrintumą dėl būsimų pajamų srautų bei tarsi prailgina ir taip sunkų ir ilgą vaistų klinikinių tyrimų laikotarpį. Pasak autorių *„no cure, no pay“* modelis galėtų pasiteisinti tik jei tam tikrõs ligõs gydymas turi alternatyvų ir kai valstybė patiria didelį pacientų spaudimą dėl vaistų prieinamumo. Autoriai pabrėžia, jog prieš įteisinant rizikos pasidalijimo schemas, turi būti pasirūpinta tuo, kad jos netaptų brangios ir biurokratizuotos, nes riziką patirti ženklių nuostolių turi ne tik valstybė, bet ir vaistų gamintojai[694].

Argumentų už farmakoekonominių kriterijų vertinant retuosius vaistus taikymą ir prieš juos gali būti ir daugiau, nelygu socialinės vertybės, kuriomis vadovaujamasi, ginami ar atstovaujami interesai (pacientų, valstybės ar gamintojų). Vis dėlto akivaizdu, jog siekiant užtikrinti sveikatos priežiūros prieinamumą retomis ligomis sergantiems pacientams, būtų labai naudingas suderintas valstybių ES narių požiūris šiuo klausimu. Tam svarbu ne tik priimti visuotinius ekonominius retųjų vaistų vertinimo metodus, bet taip pat laikytis paciento pirmenybės prioritetų[695]. Tai pripažinta ir *Ann Marie Rogers v Swindon Primary Care Trust & Secretary of State for Health* byloje[696]. Beje,

---

[692] PERRONE, F. Risk-sharing for new expensive anti-cancer drugs: the Italian strategy. *Lancet Oncol.* 2007, 8. In McCABE, C., BERGMANN, L., BOSANQUET, N., ELLIS, M., ENZMANN, H., von EULER, M., *et al.* Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology*. 2009, 20(3): 409 [žiūrėta 2009-06-14]. <http://annonc. oxfordjournals.org/cgi/reprint/20/3/403>.

[693] National Institute for Health and Clinical Excellence. Bortezomib monotherapy for relapsed multiple myeloma. London: Author 2007 [žiūrėta 2009-06-05]. <www.nice.org.uk/TA129>; In McCABE, C., BERGMANN, L., BOSANQUET, N., ELLIS, M., ENZMANN, H., von EULER, M., *et al.* Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology*. 2009, 20(3): 409.

[694] McCABE, C., BERGMANN, L., BOSANQUET, N., ELLIS, M., ENZMANN, H., von EULER, M., *et al.* Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology*. 2009, 20(3): 409 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-06-14]. <http://annonc. oxfordjournals.org/cgi/reprint/ 20/3/403>.

[695] Rare diseases: Europe's challenges. European Commission. Public consultation. Health and Consumer protection directorate-general. Directorate C – Public Health and Risk Assessment. 2007, p. 12.

[696] 2006 metais plataus atgarsio sulaukė *Ann Marie Rogers v Swindon Primary Care Trust & Secretary of State for Health* teismo procesas, kuriame su Didžiosios Britanijos nacionaline sveikatos draudimo sistemos institucija – Svindono pirminės sveikatos priežiūros fondu (angl. *Swindon NHS Primary Care Trust*) bylinėjosi 53 metų krūties vėžiu serganti pacientė Ann Marie Rogers. Ji apskundė šios įstaigos sprendimą nekompensuoti jos gydymo nauju ir itin veiksmingu, bet labai brangiu vaistu *trastuzumabu* (*Herceptin*), tvirtindama, jog tuo buvo pažeistos jos žmogaus teisės. 2006 metų balandį Londono apeliacinis teismas vienbalsiai nutarė, jog Svindono pirminės sveikatos priežiūros fondo

reikėtų atsižvelgti ir į tai, jog kai kada sergant sunkiomis lėtinėmis, luošinančiomis ligomis paciento gyvenimo kokybės pagerinimas, o ne gyvenimo trukmės prailginimas gali būti svarbesnis gydymo tikslas[697].

3.3.3. Retoms ligoms ar būklėms gydyti skirtų vaistų ir gydymo užsienyje ekonominio prieinamumo teisinės garantijos Lietuvoje

3.3.3.1. Registruotų retųjų vaistų ir retoms onkologinėms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumas Lietuvoje: reglamentavimas ir situacijos apžvalga

Lietuvoje dar iki įstojimo į ES, retųjų vaistų rėmėjams buvo įteisintos kai kurios lengvatos, formaliai turėjusios prisidėti prie retųjų vaistų prieinamumo didinimo: pvz.: 2001 metų gruodžio 22 dieną priimtame sveikatos apsaugos ministro įsakyme Nr. 669, kuriuo patvirtintos bendrosios vaistinių preparatų registravimo taisyklės[698], buvo numatyta, jog Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba skubos tvarka gali ekspertuoti paraiškas įregistruoti retuosius vaistinius preparatus (26 punktas)[699]; 2001 metų rugsėjo 27 dienos sveikatos apsaugos ministro įsakymu Nr. 508[700] ,,siekiant užtikrinti pacientų teisę gauti jiems reikalingų vaistų“ (5 punktas) numatyta, jog retiesiems vaistams gali būti taikomos reikalavimų vaistų pakuotės ženklinimui išimtys (8.2 punktas), o 2002 metų gruodžio 24 dienos sveikatos apsaugos ministro įsakymu Nr. 684[701] nustatyta, kad už Valstybinėje vaistų kontrolės tarnyboje atliekamą labai retoms ligoms gydyti vartojamų (našlaitėlinių) vaistų ir

---

sprendimas, argumentuotas tuo, jog vaistas *Herceptin* kol kas nėra patvirtintas Nacionalinio sveikatos ir klinikinės kompetencijos instituto (angl. *The National Institute for Clinical Excellence, NICE*) (tai institucija, kuri po vaisto registracijos papildomai įvertinusi medikamento klinikinę ir ekonominę naudą, rekomenduoja nemokamo (kompensuojamo) gydymo šiuo vaistu šalies piliečiams skyrimą (*aut. past.*)) buvo ,,iracionalus, neteisėtas ir naikintinas“. Be to, teismas įpareigojo nustatyti teisiškai pagrįstus kriterijus, kuriais vadovaudamasi draudimo institucija ateityje priiminės sprendimus dėl gydymo kompensavimo [žr.: *Ann Marie Rogers v Swindon Primary Care Trust & Secretary of State for Health* [2006] EWCA Civ 392. Judiciary of England and Wales. Court of Appeal (Civil Division). 12 April 2006 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-02]. <http://www.judiciary.gov.uk/judgment_guidance/judgments/ summaries/annmarie_ rogers.htm>.].

[697] CURTIS, J. R., MARTIN D. P., MARTIN T. R. Patient-assessed health outcomes in chronic lung disease: what are they, how do they help us, and where do we go from here. *Am J Resp Crit Care Med*. 1997, 156: 1032–1039. In FURMONAVIČIUS, T. Gyvenimo kokybės tyrimai medicinoje. *Biomedicina*. 2000, 1(2): 129; HAAS, B. K. A multidisciplinary concept analysis about quality of life. *Western Journal of Nursing Research*. 1999, 21(6): 728–742. In FURMONAVIČIUS, T. Gyvenimo kokybės tyrimai medicinoje. *Biomedicina*. 2000, 1(2): 129.

[698] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. gruodžio 22 d. įsakymas Nr. 669 ,,Dėl Bendrųjų vaistinių preparatų registravimo taisyklių patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 8-297.

[699] Tuo metu, kai ši nuostata buvo priimta retųjų vaistų rėmėjai dar galėjo pasirinkti ar vaistą registruoti pagal centralizuotą, ar savitarpio pripažinimo procedūrą (*aut. past.*)

[700] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 27 d. įsakymas Nr. 508 ,,Dėl vaistų pakuotės ženklinimo išimčių taikymo ir tvirtinimo tvarkos patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2001, Nr. 85-2995.

[701] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. gruodžio 24 d. sveikatos apsaugos ministro įsakymas Nr. 684 ,,Dėl mokesčio dydžio nustatymo už Valstybinėje vaistų kontrolės tarnyboje prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos atliekamą labai retoms ligoms gydyti vartojamų (našlaitėlinių) vaistų ir retai vartojamų vaistų ekspertizę ir registraciją“. *Valstybės žinios.* 2003, Nr. 4-132.

retai vartojamų vaistų ekspertizę ir registraciją imamas 35 litų mokestis[702]. Pastebėtina, kad įtvirtinus centralizuotą retųjų vaistų registravimo procedūrą, ši lengvata retųjų vaistų atveju tapo nebeaktuali. Pagal Vaistinių preparatų pakuotės ženklinimo ir pakuotės lapelio reikalavimų aprašo, patvirtinto LR sveikatos apsaugos ministro 2007 metų liepos 10 dienos įsakymu Nr. V-596[703] 25 punktą nustatyta, kad retuosius vaistinius preparatus, įrašytus į Bendrijos vaistinių preparatų registrą, leidžiama platinti pakuotėmis, paženklintomis anglų, prancūzų ar vokiečių kalba. Tai atitinka 2001/83/EB direktyvos 63 straipsnio 3 dalyje numatytą retųjų vaistų ženklinimui galimą taikyti išimtį, kai kompetentingos institucijos gali daryti išimtį tam tikrų vaistų ženklinimui ir informaciniams lapeliams nereikalaudamos, kad būtų pateikiami tam tikri duomenys ir kad lapeliai būtų spausdinami valstybės narės, kurioje tie vaistai yra pateikiami į rinką, oficialiąja kalba ar kalbomis, kai tie vaistai nėra skirti pacientui pačiam vartoti be gydytojo priežiūros[704]. Bei tos pačios direktyvos 63 straipsnio 1 dalies papildymą, kad retųjų vaistinių preparatų atveju įprastai būtini duomenys ant vaisto pakuotės (jie išvardinti 2001/83/EB direktyvos 54 straipsnyje) pagrįstu prašymu gali būti pateikiami tik viena oficialiąja Bendrijos kalba[705]. Taigi retiesiems vaistams Lietuvoje taikoma išimtis iš taisyklės, jog vaistų pakuočių ženklinimas ir pakuotės lapelis turi būti pateikti lietuvių kalba. Šiuo metu šalies teisinėje bazėje tai vienintelė galiojanti lengvata, skirta retųjų vaistų rėmėjams.

Statistinės lyginamosios informacijos apie retųjų vaistų prieinamumo situaciją mūsų šalyje pateikia 2007 metais ES mastu atlikti tyrimai[706]. Jie parodė, jog Lietuvoje situacija yra viena iš prasčiausių Europoje. Palyginę, kiek vaistų iš 24, kurie buvo Europos Komisijos patvirtinti iki 2006 metų gegužės galimi įsigyti konkrečioje ES šalyje, mokslininkai konstatavo, jog Lietuva kartu su Latvija, Estija ir Islandija yra paskutinėje vietoje, nes čia pacientams prieinami ne daugiau nei 4 retieji vaistai. Tuo tarpu Airijoje ir Vengrijoje – po 6, Austrijoje, Belgijoje, Čekijoje, Danijoje, Italijoje, Norvegijoje, Ispanijoje, Slovakijoje, Šveicarijoje ir Didžiojoje Britanijoje nuo 15 iki 19, o

[702] Kitiems vaistams mokesčiai taikomi dešimtis kartų didesni (*aut. past.*).

[703] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. liepos 10 d. įsakymas Nr. V-596 ,,Dėl Vaistinių preparatų rinkodaros teisės suteikimo taisyklių, Supaprastintos homeopatinių vaistinių preparatų registravimo procedūros aprašo, Supaprastintos tradicinių augalinių vaistinių preparatų registravimo procedūros aprašo, Vaistinių preparatų rinkodaros teisės suteikimo taikant savitarpio pripažinimo ir decentralizuotą procedūras aprašo, Vaistinių preparatų analitinių, farmakotoksikologinių ir klinikinių tyrimų standartų ir protokolų, Vaistinių preparatų pakuotės ženklinimo ir pakuotės lapelio reikalavimų aprašo, Pagalbinių medžiagų, kurios turi būti nurodomos ant vaistinio preparato pakuotės ir pakuotės lapelyje, sąrašo, Vaistinio preparato rinkodaros teisės perleidimo kitam asmeniui tvarkos aprašo patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2007. Nr. 78-3176.

[704] Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. [2001] OJ L 311.

[705] Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. [2004] OJ L 136.

[706] BIGNAMI, F. Eurordis survey on orphan drugs availability in Europe. 6 th Eurordis Round Table of Companies Workshop. Barcelona 9 July, 2007; TARUSCIO, D., LOIZZO A., LOIZZO, S., *et al.* Report on mutual availability of medicines for RD in EU countries. 4 April 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-01-05]. <http://www.teddyoung.org/ download/10_Reportonmutualavailabilityofmedicines for RDinEUcountries.pdf>.

Suomijoje, Prancūzijoje, Vokietijoje ir Švedijoje 20 ir daugiau. Tokių skirtumų priežastys šiame tyrime atskirai nebuvo pakomentuotos, nors jos tikrai įdomios.

Nesant kitų šaltinių, pasitelkiant pakankamai reprezentatyvų 2008 metais atliktą D. Vermeer tyrimą pavadinimu: „Introducing orphan medicinal products in the Netherlands: how to shorten the process?“ (liet. *„Retieji vaistai Nyderlanduose: kaip sutrumpinti procesą?“*)[707] matyti, jog registruotų retųjų vaistų neprieinamumą arba pavėluotą tiekimą konkrečios šalies rinkai gali sąlygoti ne tik šalies vaistų kainodaros, kompensavimo ir platinimo teisinio reguliavimo painumas ir (ar) spragos, ir (arba) kompetentingų valstybės institucijų veiksmų skaidrumo stoka (šie faktoriai pripažįstami kaip lemiantys[708]), bet ir pačių farmacijos įmonių nesuinteresuotumas tiekti preparato konkrečiai rinkai ar netgi farmacijos įmonės dydis. Iš pacituotų statistinių duomenų matyti, jog mažesnis skaičius patvirtintų retųjų vaistų yra prieinamas mažesnio bei vidutinio dydžio valstybėse. Pasirodo, tokią situaciją įtakoja ir tai, jog farmacijos įmonės labiau suinteresuotos tiekti ir taip mažą paklausą turinčius vaistus toms šalims, kuriose viena ar kita reta liga sergančių pacientų populiacija yra didesnė, todėl atidėlioja reikiamų dokumentų teikimą mažų valstybių kompetentingoms institucijoms. Tam, jog registruoti retieji vaistai lėčiau pasiekia mažesnių valstybių ES narių pacientus kartais turi įtakos ir tai, jog šalyse nėra tų farmacijos įmonių atstovybių, personalo, kalbančio tos valstybės ES narės kalba ir pan.

Šio darbo autorės duomenimis iš 52 iki 2009 metų rugsėjo Europos Komisijos registruotų retųjų vaistų šiuo metu Lietuvos vaistinėms netiekiamas nei vienas preparatas. Preparato *Glivec* (*imatinib mesilate*), skirto lėtinei mieloleukemijai tiekimas nutrauktas 2009 metų rugpjūčio pabaigoje. Viena iš tokios situacijos priežasčių, manytina, yra ta, jog atsižvelgiant į paklausą, farmacijos įmonių tiesiog nedomina šių vaistų pasiūla, nes pavienių pacientų, išgalinčių juos įsigyti, Lietuvoje tikrai nėra daug (pvz., vienam pacientui gydymas vaistu *Glivec* mėnesiui kainuoja apie 10 000 litų). Be to, Lietuvoje retoms ligoms gydyti skirti vaistai pagrinde kompensuojami individualia tvarka, o itin brangūs pagal apibrėžtas indikacijas vartojami vaistai pavyzdžiui, skirti kai kurioms retoms onkologinėms ligoms gydyti perkami centralizuotai.

Lietuvoje vaistiniai preparatai į centralizuotai perkamų vaistų sąrašą įrašomi tais atvejais, kai tuo metu šalyje tam tikroms ligoms gydyti nėra kompensuojamos jokios technologijos arba esamos technologijos neužtikrina pakankamai efektyvaus gydymo arba naujos technologijos leistų taupyti lėšas bei aprūpinti jomis didesnį pacientų skaičių (pagal didžiausią efektyvumą). Centralizuotai perkamų vaistų kompensavimą apdraustiesiems pagal Privalomojo sveikatos draudimo tarybos

[707] VERMEER, D. Introducing orphan medicinal products in The Netherlands: how to shorten the process? [interaktyvus] Master thesis. School of Management & Governance. University of Twente. The Netherlands, 2008 [žiūrėta 2009-03-23]. <http://essay.utwente.nl/58110/1/scriptie_Vermeer.pdf>.

[708] Skaidrumo trūkumą labiau pabrėžia mažosios farmacijos įmonės [*Ibid.*, p. 41-42].

patvirtintą sąrašą[709] vykdo Valstybinė ligonių kasa remiantis Sveikatos apsaugos ministerijos nustatyta tvarka[710]. Joje nurodyta, jog į sąrašą gali būti įrašyti tik Lietuvoje ar Europos Bendrijoje centrinės registracijos būdu registruoti vaistiniai preparatai. Indikacijos, pagal kurias siūloma vaistą pirkti centralizuotai, taip pat turi būti registruotos Lietuvoje ar Europos Bendrijoje centrinės registracijos būdu (26 punktas). Ambulatoriniam gydymui skiriami vaistiniai preparatai įrašomi į sąrašą tik išimtiniu atveju, jei pacientų yra nedaug (iki 500), jei šiuos vaistinius preparatus skiriančių specialistų skaičius yra ribotas ir, jei šie vaistiniai preparatai nekompensuojami kitais būdais (27.2 punktas). Vaistiniai preparatai į sąrašą įrašomi kai vaistinio preparato socialinė ir terapinė vertė labai didelė ir didelė, ir jei tai leidžia PSDF biudžeto galimybės (37.1 punktas). Šios tvarkos 42 punktas numato, kad jeigu PSDF biudžeto lėšų, skirtų naujai įtraukiamiems į sąrašą vaistiniams preparatams ir medicinos pagalbos priemonėms neužtenka paraiškoms, atitinkančioms visus šiame apraše nustatytus kriterijus, patenkinti, paraiškos vertinamos atsižvelgiant į vieno paciento gydymo kainą, lėšų poreikį metams, į tai, ar gydymas yra tęstinis ar baigtinis (gydymo trukmė aiškiai apibrėžta), į tai ar gydymas buvo (yra) kompensuojamas kitais būdais, ar yra taikomas vaikams.

2009 metais Lietuvoje finansavimas onkologinėms ligoms gydyti skirtų vaistų centralizuotiems pirkimams buvo padidintas 20 procentų. Remiantis VLK pranešimo informacija[711], 2009 metais centralizuotai Lietuvoje nupirkta dešimties pavadinimų vaistų sergantiesiems storosios ir tiesiosios žarnos vėžiu, smegenų glialiniais navikais, agresyviu krūties vėžiu, inkstų, kiaušidžių vėžiu, lėtine mieloleukemija, gastrointestininės stromos navikais, ne Hodžkino limfoma ir mielomine liga. Praktiškai visos šios ligos ES yra priskiriamos retoms. Pavyzdžiui, vaistų agresyviam krūties vėžiui gydyti 2009-aisiais nupirkta 47 procentais daugiau nei 2008-ais. Tai turėjo leisti pradėti dar apie 60 pacienčių gydymą (metinio gydymo kurso kaina – apie 60 tūkst. litų). Vaistų inkstų vėžiui gydyti nupirkta dvigubai daugiau nei 2008 metais, todėl pradėtas 12 naujų pacientų gydymas (metinio gydymo kurso kaina – apie 130 tūkst. litų). Vaistų kiaušidžių vėžiui gydyti nupirkta beveik 42 procentais daugiau – pradėtas dar 7 pacienčių gydymas (metinio vienos pacientės gydymo kurso kaina – apie 90 tūkst. litų). Biologinės terapijos preparatų storosios ir tiesiosios žarnos vėžiui gydyti įsigyta beveik 18 procentų daugiau. Gydymas skirtas 47 naujiems pacientams (metinio gydymo kurso kaina – 82 tūkst. litų).

[709] Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministro 2007 m. kovo 2 d. įsakymas Nr. V-136 „Dėl Centralizuotai perkamų vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių sąrašo sudarymo tvarkos aprašo ir Centralizuotai perkamų vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių sąrašo sudarymo komisijos darbo reglamento tvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 30-1107.

[710] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2000 m. liepos 26 d. įsakymas Nr. 428 „Dėl centralizuotai perkamų vaistų kompensavimo tvarkos". *Valstybės žinios.* 2000, Nr. 65-1974; 2001, Nr. 22-745.

[711] Šiemet bus perkama daugiau vaistų onkologinėms ligoms gydyti. VLK pranešimas [interaktyvus]. 2009-07-16 [žiūrėta 2009-09-06]. <http://www.vlk.lt/vlk/pr/?page=item&kat_id=1&date=2009-07-16&item_id=1713>.

Nors šios tendencijos džiugina, vis dėlto tai nereiškia, jog vaistų retoms onkologinėms ligoms gydyti prieinamumo užtikrinimas Lietuvoje yra pakankamas. Dėl per mažų centralizuotai perkamų vaistų kvotų vaistams, skirtiems retoms vėžio formoms gydyti, neretai kyla pavojus pacientų gydymo tęstinumo užtikrinimui, veiksmingi vaistai negali būti paskirti visiems pacientams, kuriems jie indikuotini. Pavyzdžiui, onkohematologinių ligonių bendrijos „Kraujas" pirmininkės tvirtinimu, Lietuva yra viena iš labiausiai atsiliekančių ES šalių kompensuojant vaistus vienai grėsmingiausių vėžio formų – mieloleukemijai gydyti. Nemokamą gydymą jau minėtu preparatu *Glivec* (vieno paciento gydymas juo kainuoja 120 000 litų per metus) Lietuvoje kol kas gauna tik trečdalis iš maždaug 200 sergančiųjų. Taigi iš poros šimtų tik 60 pacientų turi galimybę išgyventi. Tuo tarpu kitose šalyse minėtų vaistų gauna visi lėtine mieloleukemija sergantys ligoniai. Kam skirti veiksmingus medikamentus, Lietuvoje turi nuspręsti gydytojai, nesant kitos išeities iš pacientų, kuriems tiktų gydymas šiuo vaistu, esantys priversti atrinkti dalį, atsižvelgdami į toli gražu ne pačius objektyviausius kriterijus, pvz., tokius kaip ligonio amžius ar sveikatos būklė. Kaip vieną iš neracionalaus ,,taupymo“ pavyzdžių onkologai teigia esant kai kurių brangiai kainuojančių antinavikinių vaistų skyrimo indikacijas, kai veiksmingų naujų vaistų pacientui galima skirti ne iš karto diagnozavus ligą, bet tik po tarkim ne mažiau kaip dviejų neefektyvių gydymo įprastine chemoterapija kursų. Onkohematologų teigimu, kur kas racionaliau būtų daugiau lėšų skirti veiksmingiems vaistams ir ligą pradėti gydyti jais iš karto, užuot šiuos pinigus skiriant chemoterapijai[712].

3.3.3.2. Labai retoms ligoms ar būklėms gydyti skirtų vaistų kompensavimo tvarkos ypatumai Lietuvoje

Labai retų ligų ar būklių gydymui skirtų vaistų kompensavimo tvarka Lietuvoje pradėta reglamentuoti prieš dešimtmetį, įtvirtinus nuostatą, jog retų ligų ir būklių gydymo Lietuvoje išlaidos kompensuojamos iš centralizuotiems pirkimams skirtų lėšų (1 str.)[713] ir Privalomojo sveikatos draudimo tarybai nutarus, jog retoms ligoms gydyti skirti vaistai negali būti įtraukiami į kompensuojamųjų vaistų sąrašus (1.6. punktas)[714]. Skyrus lėšų, nuo 1999 metų vidurio prašymus dėl medicinos pagalbos priemonių ar vaistų, skirtų labai retomis ligomis ar būklėmis sergantiems pacientams kompensavimo ėmė svarstyti VLK ekspertai. Per metus (nuo 1999 birželio 1 d. iki 2000 m. birželio 1 d.) atsižvelgiant į specialistų konsiliumų išvadas ir VLK ekspertų sprendimus buvo

[712] VALINSKIENĖ, A. Gyvybės kaina – 120 000 litų per metus. *Respublika* [interaktyvus]. 2009-02-26 [žiūrėta 2009-09-06]. <http://www.kraujas.lt/files/public/Balsas_20090226.pdf>.

[713] Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministro 1999 m. sausio 8 d. įsakymas Nr. 11 ,,Dėl SAM 1998 03 20 įsakymo Nr. 151 pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 1999, Nr. 7-159.

[714] Privalomojo sveikatos draudimo tarybos 2001 m. spalio 24 d. nutarimas Nr. 5/5 ,,Dėl medikamentų įtraukimo į kompensuojamųjų vaistų sąrašus reikalavimų“. *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 94-3333.

patenkinti 113 iš 142 prašymų. 2003 metais VLK patenkino 298 paraiškas kompensuoti vaistus retoms ligoms ir būklėms gydyti konkretiems pacientams, 2004 metais – 455. 2004 metais retoms ligoms ir būklėms gydyti skirtų preparatų įsigijimui skirta 3 mln. litų. Tiek pat skirta ir 2005-aisiais.

2005 metų lapkričio 22 dieną buvo priimtas Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus įsakymas Nr. 1K-149[715], kuriuo patvirtintas Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos (toliau – Komisijos) darbo reglamentas (toliau – Reglamentas). Šiame Reglamente nustatyta komisijos sudarymo tvarka, jos kompetencija, reglamentuota prašymų pateikimo, jų nagrinėjimo, sprendimų priėmimo ir darbo tvarka.

Apžvelgiant šį įsakymą kartu su pakeitimais priimtais 2008 metų birželio 11 dienos įsakymu Nr. 1K-93[716] (žr. Priedai), išskirtini šie esminiai vaistų, skirtų labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo tvarkos ypatumai. Lietuvoje kompensuojamojo gydymo skyrimo tikslingumą labai retų ligų ir būklių atvejais pavesta nustatyti universitetinių ar tretinio lygio paslaugas teikiančių asmens sveikatos priežiūros įstaigų gydytojų konsiliumui. Asmens prašymai dėl gydymo kompensavimo nagrinėjami tik išskirtiniais atvejais pačios Komisijos iniciatyva. Kartu su asmens sveikatos priežiūros įstaigos vadovo pasirašytu prašymu kompensuoti pacientui reikalingo vaisto ar medicinos pagalbos priemonės įsigijimo išlaidas Komisijai pateikiamose gydytojų konsiliumo išvadose, šalia ligos ar būklės retumą patvirtinančių statistinių duomenų, paciento duomenų, klinikinės diagnozės, tyrimų rezultatų, taikyto gydymo ir jo rezultatų bei planuojamos gydymo trukmės, visais atvejais privalo būti pagrįstas išsamia gydymo prognoze paremtas vaisto kompensavimo tikslingumas. Gydymo įstaiga Komisijai privalo pateikti medicinos etikos komisijos išvadą (jei vaistinio preparato skyrimo terapinės indikacijos neįregistruotos) ir vardinio vaistinio preparato skyrimo pacientui pareiškimo kopiją (jei vaistinis preparatas neregistruotas).

Komisija prašymą nagrinėja remdamasi VLK atitinkamų skyrių vedėjų paskirtų ekspertų sukaupta, parengta ir pateikta medžiaga (surinktais reikiamais medicinos dokumentais; ekspertinio vertinimo išvadomis (jei reikia); papildoma informacija apie ligos atvejų skaičių Lietuvoje, gydymo alternatyvą ir pan.; informacija apie vaisto ar priemonės kainas). Vadovaudamasis sukaupta medžiaga, darbuotojas parengia įvertinimo pažymą, kurioje pagrindžia reikalingo vaisto ar

[715] Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymas Nr. 1K-149 „Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“. *Valstybės žinios*. 2005, Nr. 139-5037.

[716] Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2008 m. birželio 11 d. įsakymas Nr. 1K-93 „Dėl Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymo Nr. 1K-149 "Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2008, Nr. 68-2612.

priemonės įsigijimo išlaidų kompensavimo tikslingumą, galimas išlaidas ir pateikia išvadą – siūlymą Komisijai tenkinti ar netenkinti prašymą kompensuoti minėtas išlaidas.

Savo sprendimą kompensuoti, nekompensuoti, iš dalies kompensuoti ar skirti papildomą ekspertizę Komisija turi priimti per 30 dienų nuo prašymo gavimo datos, privalo jį motyvuoti. Kadangi į VLK kreipiamasi dėl konkretaus paciento, tai ir komisijos sprendimas priimamas būtent dėl to konkretaus paciento. Jei priimtas sprendimas vaistus konkrečiam reta liga sergančiam pacientui kompensuoti, jų įsigijimu privalo rūpintis prašymą pateikusi asmens sveikatos priežiūros įstaiga. Išlaidos už įsigytą vaistą kompensuojamos tik sunaudojus vaistus ar priemones pacientui gydyti ar juos išdavus. Jei vaistai buvo panaudoti be Komisijos sprendimo ar juos pacientas įsigijo savo lėšomis, jų įsigijimo išlaidos nekompensuojamos. Jei gydymą reikia tęsti ilgiau nei metus, po metų jo taikymo tikslingumą turi pakartotinai pagrįsti gydytojų konsiliumas.

Vertinant įsakymu nustatytą labai retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kompensavimo tvarką, kuri iš esmės atspindi ekonominį tokių vaistų prieinamumą[717], pastebėtina, jog kai kurios nuostatos gali nepagrįstai riboti pacientų galimybes gauti reikiamus vaistus. Pacientų teisių atžvilgiu pirmiausia kritiškai vertintina Reglamento 3 punkte įtvirtinta „*labai* retos ligos ar būklės“ sąvoka. Skirtingai nei 141/2000/EB reglamente, Lietuvoje ji apibrėžta ne per medicininį ir epidemiologinį, bet per kompensavimo kriterijų – t. y. kaip „per metus pasitaikantys pavieniai ypatingi ligos ar būklės atvejai, kuriems gydyti reikiamų vaistų ar priemonių kiti kompensavimo būdai nenumatyti“. Kai kurios valstybės, tarp jų Didžioji Britanija, Danija bei Švedija savo nacionaliniuose teisės aktuose taip pat yra įtvirtinusios „labai retos ligos“ sąvokas[718], tačiau šiose valstybėse jos apibrėžtos per epidemiologinį kriterijų. Tuo tarpu Lietuvoje ligos paplitimui nusakyti pasitelkti abstraktūs ir neaiškūs būdvardžiai, tokie kaip „pavieniai ypatingi“ atvejai. Nors teisiniu požiūriu tokia formuluotė dėl savo neapibrėžtumo yra netinkama, vis dėlto vienareikšmiškai tvirtinti, kad Lietuvoje įtvirtintas apibrėžimas neatitinka 141/2000/EB reglamento, – negalima, nes tokios

[717] Remiantis VLK statistika, 2006 metais išnagrinėti 533 asmens sveikatos priežiūros įstaigų prašymai kompensuoti gydymo išlaidas pacientams, sergantiems retomis ligomis bei būklėmis. Šių pacientų gydymui reikalingų medikamentų ir priemonių kompensuota už 6,1 mln. Lt. – tai yra 2 mln. Lt. daugiau nei 2005 metais. 2008 metais buvo išnagrinėta 569 ASPĮ prašymų kompensuoti gydymo išlaidas pacientams, kuriems diagnozuotos retos ligos bei būklės. Šiems pacientams reikiamų medikamentų ir priemonių įsigijimo išlaidų kompensuota už 9 632 200 litų. [Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos 2006 metų veiklos ataskaita. VLK 2007; Lietuvos Respublikos 2008 metų Privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto vykdymo metinės apyskaitos aiškinamasis raštas [interaktyvus] [žiūrėta 2009-09-09]. http://www.emedicina.lt/site/files/teises_ aktai/2009/geguze/Gydytojui/XIP_624_aiskrastas.doc.].

[718] PSO labai retą ligą (angl. ultra-orphan disease) apibrėžia kaip pasitaikančią 0.18 atvejų iš 10 000. [RAWLINS, M. *Managing rare diseases.* London: Royal College of Physicians, 2004.].

Jungtinės Karalystės Nacionalinis sveikatos ir klinikinės kompetencijos institutas (angl. *National Institute for Health and Clinical Excellence,* NICE) kaip labai retą ligą traktuoja tokią, kuria serga ne daugiau nei 1000 žmonių Anglijoje ir Velse [DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D. J. Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. *British Journal of Clinical Pharmacology* [interaktyvus]. 2006, 62(3): 269 [žiūrėta 2008-07-10]. <http://www.pubmed central.nih.gov/articlerender.fcgi?artid =1885144>.

Švedijoje labai reta laikoma liga pasitaikanti ne daugiau nei 100 individų iš milijono [Rare diseases in Sweden [interaktyvus] [žiūrėta 2008-07-10]. <http://www.socialstyrelsen.se/en/rarediseases/>.

sąvokos reglamente tiesiog nėra (pirmajame šios darbo dalies skyriuje nagrinėjant retos ligos sampratą, buvo pabrėžta, jog Bendrija 141/2000/EB reglamente nepateikia nei konkretaus retos ligos, nei juolab ,,labai retos ligos ar būklės“ apibrėžimo (*aut. past.*)). Manytina, kad toks kalbinės struktūros atžvilgiu netobulas sąvokos apibrėžimas, koks suformuluotas Lietuvoje, suteikia labai plačias jo interpretavimo ir subjektyvaus vertinimo galimybes, o tai savo ruožtu suponuoja nepakankamą retomis ligomis sergančių pacientų teisių įgyvendinimo teisinį apibrėžtumą[719].

Kritikuotinas ir aptariamo Reglamento 5 punktas, nurodantis, jog vaistų įsigijimo išlaidos kompensuojamos ,,neviršijant jiems skirtos lėšų sumos“. Viena vertus, tai gali būti paaiškinta visuomenės interesų ir PSDF biudžeto galimybių suderinamumo principu. Kita vertus, neaišku ar nepasitaiko atvejų, kuomet ,,taupymas“ yra nepagrįstas ir neteisėtas. Nežinia, ar užtikrinamos lygiateisiškos galimybės gauti atitinkamos kokybės sveikatos priežiūrą ne tik tarp retomis ligomis ir įprastomis ligomis sergančių pacientų, bet ir tarp ta pačia sunkia reta liga sergančių pacientų, kuriems reikalingas labai brangus gydymas? Ar gydytojai žinodami apie lėšų vaistams pirkti trūkumą visuomet pacientą informuoja apie brangius alternatyvius gydymo metodus ir ar nėra taikoma neobjektyvi ir diskriminuojanti ta pačia liga ir jos stadija sergančių pacientų diferenciacija pagal amžių, socialinį statusą ar kitus subjektyvius kriterijus? Panašiai vertintinas ir aptariamo įsakymo 24 punktas teigiantis, jog Komisija ,,savo sprendimų priėmimo kriterijus nustato savo tvarkomuosiuose posėdžiuose, atsižvelgiant į lėšų kiekį ir kitas aplinkybes“. Tai reiškia, jog Komisijai suteiktos labai plačios sprendimų motyvavimo galimybės kiekvienu atveju, taip pat, kad ,,teisėtai“ gali būti priimtas sprendimas nekompensuoti labai brangių vaistų motyvuojant tai vieninteliu ir, rodos, nepaneigiamu kriterijumi – lėšų stygiumi. Atrodo, jog ligoniai, likę už nustatytos kvotos ribų, tiesiog praranda teisę būti gydomi pagal medicinines indikacijas reikalingais vaistais, o gydytojai tampa priversti teikti pirmenybę ekonominio naudingumo, o ne paciento gerovės kriterijui. Manytina, kad jei Komisija, priimanti sprendimus dėl vaistų retoms ligoms gydyti kompensavimo suformuluotų ir viešai skelbtų kriterijus, kuriais vadovaujasi priimdama sprendimus – tai suteiktų šiai procedūrai daugiau skaidrumo[720].

Beje, Reglamente nėra net užsiminta apie Komisijos priimto sprendimo apskundimo tvarką (pvz., tokio, kuriuo nutarta vaistą kompensuoti tik iš dalies, ar apskritai atsisakoma kompensuoti reikiamus vaistus). Tai vertintina kaip trūkumas. Galbūt sprendimą būtų galima apskųsti remiantis 2003 metų gegužės 22 dieną VLK direktoriaus įsakymu patvirtintais piliečių ir kitų asmenų prašymų ir skundų nagrinėjimo tvarkos nuostatais[721], kur nurodyta, kad skundas turi būti

[719] ŠPOKIENĖ, I. Legal assessment of current situation on orphan patients‘ in Lithuania. *Medicina.* 2008, 44(8): 575.

[720] ŠPOKIENĖ, I. Retųjų vaistų prieinamumo problema įgyvendinant teisę į sveikatos priežiūrą. *Jurisprudencija.* 2008, 12(114): 64–72.

[721] Valstybinės ligonių kasos prie Sveiatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2003 m. gegužės 22 d.įsakymas Nr. 1K-47 ,,Dėl piliečių ir kitų asmenų prašymų ir skundų nagrinėjimo ir piliečių bei kitų asmenų priėmimo

išnagrinėtas per 30 dienų, o jei pareiškėjas nesutinka su sprendimu dėl jo skundo, turi teisę kreiptis į Administracinių ginčų komisiją ar Administracinį teismą Lietuvos Respublikos administracinių bylų teisenos įstatymo nustatyta tvarka (33 punktas). Arba Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. spalio 23 d. įsakymu Nr. V-864[722]. Tačiau nuorodos į vieną ar kitą teisės aktą taip pat nėra. Praktikoje Komisijos sprendimų apskundimo atvejų yra pasitaikę pacientams kreipiantis į LR SAM, Seimą ar Vyriausybę, tačiau bylos dėl vaistų neprieinamumo Lietuvos administracinių teismų praktikoje kol kas nėra buvę. Todėl įmanoma tik hipotetiškai pasvarstyti galimus tokio skundo argumentus. Atsižvelgiant į disertacijos antrojoje dalyje atliktą retųjų vaistų prieinamumo teisinių prielaidų analizę, manytina, jog tokioje situacijoje pirmuoju teisiniu argumentu galėtų tapti Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalyje įtvirtinta viena iš valstybės funkcijų rūpintis žmonių sveikata. Natūralu, kad asmens negalėjimas pasinaudoti sveikatos priežiūra dėl lėšų trūkumo, ypač kai kyla grėsmė asmens gyvybei, negalėtų būti laikomas tinkamu šios valstybės funkcijos įgyvendinimu. Kiti teisiniai argumentai kildintini iš Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencijos[723] 3 straipsnio dėl lygiateisiško sveikatos priežiūros prieinamumo, Konstitucijos 29 straipsnyje įtvirtinto asmenų lygybės principo, Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo 3 straipsnio 1 dalies ir 4 straipsnio l dalies[724], kuriose įtvirtinta paciento teisė gauti kokybišką ir prieinamą sveikatos priežiūrą, iš gydytojo profesinio pasirinkimo laisvės (angl. *professional discretion*) koncepcijos, teigiančios, jog gydytojas turi laisvę pasirinkti labiausiai paciento interesus atitinkantį gydymą.

Kaip tam tikrą teigiamą poslinkį vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo reglamentavimo srityje reikia paminėti 2009 metų vasario 2 dieną priimtu sveikatos apsaugos ministro įsakymu Nr. V-52[725] patvirtintą Kompensuojamųjų vaistų skyrimo retoms ligoms gydyti tvarkos aprašą (toliau – Aprašas). Juo nustatyta į Ligų ir kompensuojamųjų vaistų joms gydyti sąrašą (A sąrašas)[726] įrašytų vaistų, kurių charakteristikų santraukoje nenurodytos jo skyrimo retoms ligoms gydyti indikacijos ir (ar) dozės, skyrimo retoms ligoms gydyti tvarka. Nurodyta, jog tokie vaistai gali būti skiriami retoms ligoms gydyti, jei tokio vaisto skyrimas yra patvirtintas kitų oficialiai skelbiamų šaltinių ir liga, kuriai gydyti skiriamas vaistas yra įrašyta į retų ligų sąrašą, skelbiamą interneto tinklalapyje

---

Valstybinėje ligonių kasoje tvarkos nuostatų patvirtinimo" [interaktyvus] [2009-07-15]. <http://www.vlk.lt/vlk/orto/files/VLKisakymas_1K-47(2003).pdf>.

[722] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. spalio 23 d. įsakymu Nr. V-864 „Dėl piliečių ir kitų asmenų prašymų ir skundų nagrinėjimo bei piliečių ir kitų asmenų priėmimo Sveikatos apsaugos ministerijoje tvarkos nuostatų patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 112-4579.

[723] Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios*. 2002, Nr. 97-4258.

[724] Lietuvos Respublikos Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo pakeitimo įstatymas. *Valstybės žinios*. 2004, Nr. 115-4284.

[725] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2009 m. vasario 2 d. įsakymas Nr. V-52 „Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2000 m. sausio 28 d. įsakymo Nr. 49 "Dėl kompensuojamųjų vaistų sąrašų patvirtinimo" pakeitimo". *Valstybės žinios*. 2009, Nr. 17-675.

[726] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2000 m. sausio 28 d. įsakymas Nr. 49 „Dėl kompensuojamųjų vaistų sąrašų patvirtinimo". *Valstybės žinios*. 2000, Nr. 10-253.

http://www.orpha.net/ (2 punktas). Teisė su pagrįstu prašymu kreiptis į VLK dėl tokio vaisto įsigijimo išlaidų kompensavimo suteikta tretinio lygio sveikatos priežiūros paslaugas teikiančioms asmens sveikatos priežiūros įstaigoms (3 punktas). Sprendimas turi būti priimtas ir apie jį sveikatos priežiūros įstaiga turi būti informuota ne vėliau kaip per 30 dienų nuo prašymo gavimo (5 punktas).

Jei sprendimas teigiamas galimi du minėtų vaistų įsigijimo išlaidų kompensavimo variantai: (1) jei į A sąrašą yra įrašytas retos ligos pavadinimas ir nurodyti jai gydyti skiriami vaistai bei jų įsigijimo išlaidų dalies kompensavimo dydis procentais, asmeniui šie vaistai kompensuojami taikant įprastą kompensavimo rūšį, priklausomai nuo to ar pacientas vaikas, neįgalusis ar vaistus jam priklauso kompensuoti dėl tam tikros ligos; (2) jei į A sąrašą neįrašytas retos ligos pavadinimas, o jai gydyti reikiamas vaistas pagal A sąrašą numatytas kitai ligai gydyti, tai nuo retos ligos skiriamo vaisto išlaidų dalis kompensuojama tokiu pačiu dydžiu procentais kaip į A sąrašą įrašyto vaisto.

Vertinant nustatytą tvarką vaistų, skirtų retoms ligoms gydyti ekonominio prieinamumo užtikrinimo atžvilgiu, pažangu tai, jog aiškiau reglamentuota ne pagal registruotą indikaciją retoms ligoms gydyti skiriamų vaistų kompensavimo tvarka. Teigiamai vertintina ir nuostata, kad jei vaistas A sąraše numatytas kelioms ligoms gydyti ir nurodomi skirtingi jų įsigijimo išlaidų dalies kompensavimo dydžiai procentais, tai, skiriant šį vaistą nuo retos ligos, jam taikomas didžiausias išlaidų dalies kompensavimo dydis procentais.

Reikia pastebėti, jog pacientą gydant vaistais ne pagal oficialiai registruotas indikacijas gali kilti tam tikrų teisinio-etinio pobūdžio problemų[727,728,729,730]. Nors Kompensuojamųjų vaistų skyrimo retoms ligoms gydyti tvarkos apraše neužsimenama apie gydytojo atsakomybę skiriant tokius vaistus, iš VLK direktoriaus 2008 metų birželio 11 dienos įsakymo Nr. 1K-93[731] aiškėja, jog jei vaistinio preparato skyrimo terapinės indikacijos neįregistruotos gydymo įstaiga VLK Komisijai privalo pateikti medicinos etikos komisijos išvadą (14[1]punktas). Šis reikalavimas vertintinas teigiamai.

[727] MAXWELL, J., MEHLMAN, J. D. Off-label prescribing [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-15]. <http://www.thedoctorwill seeyounow.com/articles/ bioethics/ offlabel_11/>.

[728] ALTAVILLA, A. Clinical research with children: the European legal framework and its implementation in French and Italian law. *European Journal of Health Law*. 2008, 15(2): 109.

[729] Evidence of harm from off label or unlicensed medicines in children. London: EMEA, 26 October 2004, EMEA/11207/04.

[730]STAKIŠAITIS, D. Vaikų gydymo vaistais teisinio reglamentavimo aspektai. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 36–43.

[731] Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2008 m. birželio 11 d. įsakymas Nr. 1K-93 ,,Dėl Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymo Nr. 1K-149 "Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2008, Nr. 68-2612.

3.3.3.3. Pacientų siuntimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis Europos Sąjungos ir kitose šalyse tvarka Lietuvoje ir jos teisinis vertinimas

LR Sveikatos apsaugos ministerija deklaruoja, jog Lietuvoje diegti brangias technologijas, reikalingas retoms ligoms gydyti, ekonomiškai neefektyvu, todėl jomis sergantiems pacientams užtikrinama galimybė gauti paslaugas užsienyje[732]. Šiuo metu pacientai nukreipiami konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis užsienyje remiantis tvarka, patvirtinta 2001 metų rugsėjo 6 dieną priimtu sveikatos apsaugos ministro įsakymu Nr. 478[733]. Pastarasis poįstatyminis teisės aktas yra ne kartą pildytas ir keistas[734], tačiau iki šiol nėra naujos jo redakcijos. Šis faktas ir tai, jog gydymosi užsienyje klausimą reglamentuoja dar keletas ankstesnių ir vėlesnių antrinių teisės aktų, – manytina, įneša painiavos pacientams ar jų artimiesiems, besidomintiems galimybe gauti gydymą užsienyje.

Lietuvoje, kaip ir kitose ES šalyse pacientai pirmiausia tiriami ir gydomi visais galimais čia taikyti metodais. Todėl ką tik paminėti dokumentai reglamentuoja, jog PSDF biudžeto lėšomis paciento konsultavimas, ištyrimas, gydymas ES ir kitose šalyse (toliau – užsienyje) gali būti organizuojamas apdraustiems privalomuoju sveikatos draudimu asmenims, kuriems teiktos konsultacijos ir taikyti visi Lietuvoje galimi tyrimo ir gydymo metodai nedavė teigiamų rezultatų, o užsienyje būtų galima suteikti konsultacijas bei pritaikyti naujus tyrimo ir/ar gydymo metodus[735]. Pacientai, norėdami pasinaudoti tokia galimybe turi gauti leidimą. Dar 1998 metais įsakymu ,,Dėl SAM 1998 03 20 įsakymo Nr. 151 pakeitimo“[736] nustatyta, jog retų ligų ir būklių gydymo bei konsultavimo užsienyje išlaidos kompensuojamos tik sveikatos apsaugos ministro įsakymu sudarytos komisijos sprendimu. Imperatyviai įtvirtinta nuostata, jog ,,išvykusiems konsultuotis

[732] Sveikatos draudimo sistemos plėtojimas. Programos aprašas [interaktyvus]. Valstybinė ligonių kasa prie Sveikatos apsaugos ministerijos. 2007 biudžetiniai metai, p. 12 [žiūrėta 2007-02-16]. <http://www.sam.lt/repository /dokumentai/veikla/ VLK%202007%201%20b%20forma.doc>.

[733] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymas Nr. 478 ,,Dėl pacientų nukreipimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis užsienyje ir išlaidų apmokėjimo tvarkos patvirtinimo”. *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 78-2735.

[734] Pakeitimai: Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministro 2005 m. rugpjūčio 19 d. įsakymas Nr. V-663 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymo Nr. 478 "Dėl pacientų nukreipimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis užsienyje tvarkos patvirtinimo" pakeitimo”. *Valstybės žinios*. 2005, Nr. 104-3857; Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2006 m. sausio 6 d. įsakymas Nr. V-20 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymo Nr. 478 "Dėl pacientų siuntimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis Europos Sąjungos ir kitose šalyse tvarkos aprašo patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2006, Nr. 5-182.

[735] 3.2 ir 3.4 punktai [Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m. rugpjūčio 19 d. įsakymas Nr. V-663 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymo Nr. 478 "Dėl Pacientų nukreipimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis užsienyje tvarkos patvirtinimo" pakeitimo”. *Valstybės žinios*. 2005, Nr. 104-3857.].

[736] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1999 m. sausio 8 d. įsakymas Nr. 11 ,,Dėl SAM 1998 03 20 įsakymo Nr. 151 pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 1999, Nr. 7-159.

(išsitirti) ir/ar gydytis į užsienį pacientams be komisijos sprendimo, konsultavimas (ištyrimas) ir/ar gydymas iš PSDF lėšų nekompensuojamas“[737].

Komisiją, turinčią priimti sprendimą ar leisti pacientui PSDF lėšomis vykti konsultuotis ar gydytis į užsienį sudaro penki nariai (du VLK atstovai ir du SAM atstovai), o jai vadovauja sveikatos apsaugos viceministras. Prašant sunkiai sergantį pacientą siųsti konsultuotis ar gydytis užsienyje Komisijai turi būti pateikti gydytojo konsiliumo pasirašyti išrašai iš paciento ligos istorijos; užpildyta siuntimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis ES ir kitose šalyse forma; užsienio sveikatos priežiūros įstaigos rašto, kuriuo patvirtinama, jog pacientas bus priimtas konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis bei nurodyta konsultacijos (ištyrimo) ir/ar gydymo kaina, kopija; universiteto ar universitetinės sveikatos priežiūros įstaigos lydraštis, patvirtintas įstaigos vadovo parašu (lydraštyje turi būti nurodyta, ar reikalingas pacientą lydintis asmuo) (1.2 punktas)[738]. Įrodinėti (prognozuoti), jog užsienyje galimi taikyti nauji gydymo ir/ar tyrimų metodai duos gerų rezultatų nereikia (1.1 punktas). Dokumentus (išrašus iš ligos istorijos) dėl pacientų konsultavimo (ištyrimo) ir/ar gydymo užsienyje rengia SAM specialistai konsultantai arba universiteto ligoninės klinikos vadovai. Komisijai priėmus sprendimą, apie jį informuojamas pacientas arba jo artimieji, atstovaujantys ligonio interesams, bei VLK (6 ir 7 punktai). Sprendimas galioja vienerius metus (3, 4 punktai)[739].

Kasmet komisijai pateikiama apie septyniasdešimt tokių prašymų. Iš jų atmetama apie dvidešimt, – dėl dokumentų trūkumo, dėl to, jog neišnaudotos visos gydymosi Lietuvoje galimybės, ar gydymo ir/ar tyrimų užsienyje metodika laikoma netradicine ir pan. Deja, kol kas viešai neskelbiami kriterijai, kuriais Komisija vadovaujasi ar turėtų vadovautis priimdama sprendimus, tik deklaruojama, jog jos darbas grindžiamas kolegialiu klausimų svarstymu, teisėtumo ir viešumo principais, taip pat asmenine komisijos narių atsakomybe už priskirtų klausimų sprendimą (I dalies 4 punktas)[740]. Beje, asmeninės Komisijos narių atsakomybės už priimtus sprendimus aspektas nesukonkretintas. Praktikoje Komisijos sprendimai sulaukia kritikos dėl to, jog nėra traktuojami kaip precedentai. Pagal lygiateisiškumo, teisingumo principus turėtų reikšti, kad visi žmonės sergantys ta pačia liga (ir vienoda ligos stadija), kuriems gydyti reikia tų pačių gydymo metodų

[737] 9,11,12,13 punktai [Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymas Nr. 478 „Dėl pacientų nukreipimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis užsienyje ir išlaidų apmokėjimo tvarkos patvirtinimo”. *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 78-2735.].

[738] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2006 m. sausio 6 d. įsakymas Nr. V-20 „Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymo Nr. 478 "Dėl Pacientų siuntimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis Europos Sąjungos ir kitose šalyse tvarkos aprašo patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2006, Nr. 5-182.

[739] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymas Nr. 478 „Dėl pacientų nukreipimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis užsienyje ir išlaidų apmokėjimo tvarkos patvirtinimo”. *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 78-2735.

[740] Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymas Nr. 479 „Dėl komisijos sprendimams dėl pacientų konsultacijų, ištyrimo, gydymo užsienyje priimti nuostatų patvirtinimo“. *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 78-2736.

(neteikiamų Lietuvoje), turėtų turėti teisę į gydymą užsienyje PSDF biudžeto lėšomis, tačiau tokios galimybės nėra užtikrinamos.

2005 metais VLK Sveikatos priežiūros organizavimo skyrius organizavo ir apmokėjo 48 pacientų gydymo užsienyje išlaidas. Ligonių gydymui išleista 2,67 milijonai litų[741]. 2006 metais organizuotos 74 išvykos gydytis į užsienį ir apmokėta sąskaitų už 1,7 milijono litų[742]. 2004–2005 metais komisijos sprendimu Lietuvos gyventojai gydėsi Vokietijoje, Lenkijoje, Estijoje, Latvijoje, Didžiojoje Britanijoje, Čekijoje, Prancūzijoje, Danijoje, Švedijoje, Suomijoje, Belgijoje, Austrijoje, taip pat ir ES nepriklausančiose šalyse – Rusijoje, Šveicarijoje, Izraelyje bei JAV. Jiems buvo diagnozuotas intraokulinis auglys, trachėjos stenozė, nugaros smegenų auglys, ūmi leukemija, pasikartojanti gerklų papilomatozė, mielodisplazinis sindromas ir kitos sunkios ligos. 2004 metais vidutinė už vieno paciento gydymą sumokėta kaina buvo 27 000 litų, brangiausiai kainavo ūmios limfoblastinės limfomos gydymas – 346 000 litų. 2005 metais brangiausiai kainavo po trauminio nugaros smegenų pažeidimo implantuoti specialų diafragmos stimuliatorių pacientui, nebegalėjusiam savarankiškai kvėpuoti – 611 000 litų[743]. 2008-aisiais VLK organizavo 58 pacientų gydymą užsienyje (2007 m. – 105) ir kompensavo jų gydymo ten išlaidas. Ligoniams gydyti išleista 1 840 000 litų (2007 m. – 1,6 mln. Lt.)[744].

Sveikatos apsaugos ministro 2001 metų rugsėjo 6 dienos įsakymo Nr. 479 „Dėl komisijos sprendimams dėl pacientų konsultacijų, ištyrimo, gydymo užsienyje priimti nuostatų patvirtinimo“ 8 punkte nurodyta, jog Komisijos sprendimai gali būti apskundžiami sveikatos apsaugos ministrui per 1 mėnesį nuo jų priėmimo[745]. Tokios apskundimo tvarkos objektyvumu galima suabejoti, turint omenyje, jog net trys Komisijos nariai yra SAM atstovai. Vis dėlto Komisijos neigiamo sprendimo apskundimo atvejų pasitaiko. Tačiau iki 2006 metų birželio mėnesio nebuvo nė vienos bylos dėl atsisakymo suteikti finansavimą vykti gydytis į užsienį. Kai kuriems iš maždaug dvidešimties kasmet atmetamų prašymų pavyksta gauti finansavimą iš antro karto – t. y. po metų, kadangi komisijos sprendimas (tiek teigiamas, tiek neigiamas) galioja vienerius metus. Sergant gyvybei gresiančiomis ligomis tai gana ilgas laikotarpis. Reikia pripažinti, kad ne visi sunkūs ligoniai dėl kurių gydymo buvo priimtas neigiamas sprendimas sulaukia, kol bus galima teikti pakartotiną prašymą.

[741] Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos 2005 metų veiklos ataskaita. VLK, 2006.

[742] Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos 2006 metų veiklos ataskaita. VLK 2007.

[743] KUČINSKAITĖ J. Išskirtinis gydymas – išskirtinėms asmenybėms. *Veidas.* 2006, Nr. 23.

[744] Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos 2008 metų veiklos ataskaita. 2009-02-06. Nr. 8K-3. P. 33 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-05-05] <http://www.vlk.lt/vlk/pag/files/090414_2008VLKveiklos_ataskaita.pdf>.

[745] 8 punktas [Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymo Nr. 479 „Dėl komisijos sprendimams dėl pacientų konsultacijų, ištyrimo, gydymo užsienyje priimti nuostatų patvirtinimo”. *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 78-2736.].

Lietuva ne vienintelė valstybė, kurioje galioja išankstinių leidimų tvarka prieš vykstant gydytis į kitą valstybę narę norint, jog gydymo, tyrimų ar konsultacijų išlaidos būtų kompensuotos. Savo teisės aktuose, siekdamos užtikrinti, jog medicinos ir ligoninių paslaugos išliktų prieinamos visiems šalies gyventojams, liktų aukštos kokybės ir būtų sklandžiai teikiamos, apribojimus yra nustačiusios daugelis valstybių ES narių. Kaip ir Lietuvoje paprastai neišduodami leidimai gydymui užsienyje, jei toks gydymas gali būti suteikiamas paciento gyvenamosios vietos valstybėje. Tačiau reikia turėti omenyje, jog remiantis ES teise bei ETT jurisprudencija, prašymas išduoti leidimą negali būti atmestas ne tik tuomet, jei atitinkamas asmuo negali gauti reikiamo gydymo valstybės narės, kurioje jis gyvena, teritorijoje, bet ir kai reikiamas gydymas negali būti suteiktas paciento gyvenamosios vietos valstybėje per protingą laikotarpį, kuris yra normaliai reikalingas atsižvelgiant į paciento esamą sveikatos būklę ir jo ligos pobūdį. Tai aktualu ne tik asmenims, sergantiems retomis ligomis ar būklėmis (pvz., jei pacientas negali gauti tinkamo gydymo savo gyvenamosios vietos valstybėje dėl nepakankamos medicinos pažangos ar reikiamos medicinos technikos šalyje stygiaus ir pan.), bet ir sergantiesiems tiek retomis, tiek įprastomis ligomis tuomet, kai atsižvelgiant į jų sveikatos būklę reikiamų sveikatos priežiūros paslaugų jie negali gauti per protingą terminą (pvz., dėl susidariusių pacientų eilių, nepakankamų šalies sveikatos priežiūros įstaigų pajėgumų ir pan.) [746]. Vadinasi, asmuo, negalėdamas laiku gauti gydymo savo valstybėje, gali vykti gydytis į bet kurią kitą ES valstybę su sąlyga, kad tokį leidimą jam duoda kompetentinga jo šalies įstaiga, kuri ir kompensuoja išlaidas. Antra, kompetentingai įstaigai nepagrįstai atsisakius išduoti tokį leidimą, asmuo išlaiko teisę pretenduoti į jo patirtų gydymosi kitoje valstybėje išlaidų kompensavimą. Tokia kompensacija turės būti taikoma net ir tada, jei leidimo nedavusioje valstybėje atitinkama sveikatos paslaugos (gydymo) rūšis teikiama nemokamai. Nors šis ETT sprendimas byloje C-372/04 *Y. Watts v Bedford Primary Care Trust and Secretary of State for Health*[747] iš karto sulaukė prieštaringos reakcijos, kai kurioms valstybėms narėms nuogąstaujant, kad tai gali per daug finansiškai apsunkinti jų sveikatos priežiūros sistemas, pacientų teisių požiūriu toks ETT išaiškinimas visiškai atitinka ES bendrosios rinkos dvasią ir suteikia daugiau galimybių asmenims rinktis kokybiškas sveikatos paslaugas.

[746] 22 str. 1 d c punktas ir 22 str. 2 d. [Regulation (EEC) no 1408/71 of the Council of 14 June 1971 on the application of social security schemes to employed persons and their families moving within the community. [1971] OJ L 149.]; Byla C-158/96 *Raymond Kohll v Union des caisses de maladie* [1998] ECR I-1931; Byla C-120/95 *Nicolas Decker v Caisse de maladie des employés privés* [1998] ECR I-1831; Byla C-157-99 *B. S. M. Garaets-Smits v Stichting Ziekenfonds VGZ and H. T. M. Peerbooms v Stichting CZ Groep Zorgverzekeringen* [2001] ECR I-5473; Byla C-368/98 *Abdon Vanbraekel and others v Alliance nationale des mutualités chrétiennes* [2001] ECR I-05363; Byla C-385/99 *V. G. Müller-Faure v Onderlinge Waarborgmaatschappij OZ Zorgverzekeringen UA and E. E. M. va Riet v Onderlinge Waarborgmaatschappij ZAO Zorgverzekeringen* [2003] ECR I-4509; Byla C-372/04 *Y. Watts v Bedford Primary Care Trust and Secretary of State for Health* [2006].

[747] Byla C-372/04 *Y. Watts v Bedford Primary Care Trust and Secretary of State for Health* [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-14]. <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri= CELEX:62004J0372:EN:HTML>.

Vis dėlto praktikoje dažnai kylant ETT sprendimų taikymo problemoms, 2009 metų gegužę siekiant didesnio teisinio aiškumo Europos Parlamente buvo pradėtas svarstyti direktyvos dėl pacientų teisių į sveikatos priežiūros paslaugas kitose valstybėse narėse įgyvendinimo (trumpiau – pacientų mobilumo direktyvos) projektas, kuriam Europos Komisija pritarė 2008 metų liepą[748]. Nors sveikatos apsauga ir privalomasis sveikatos draudimas išlieka nacionaliniu klausimu, norima aiškiai nurodyti sąlygas, kuriomis remiantis pacientas galėtų naudotis gydymu kitoje ES šalyje, ir nustatyti tokio gydymo išlaidų apmokėjimo tvarką.

Turėtų būti patvirtinta, kad kitoje ES šalyje ne ligoninėje norintis gydytis pacientas savo šalyje neturėtų kreiptis dėl išankstinio leidimo gydymo išlaidoms kompensuoti. Tačiau numatoma, kad valstybės galės reikalauti išankstinio leidimo gydymo ligoninėje išlaidoms kompensuoti, jei tam yra svarbios priežastys – pavyzdžiui, galima našta šalies socialinės apsaugos sistemai. Gydymosi užsienyje paslaugos turėtų būti apmokamos pagal tarifą, kuris galioja paciento gyvenamojoje šalyje. Pacientas turėtų pats užsienyje susimokėti už gydymą ir vėliau savo šalyje kreiptis dėl jo išlaidų kompensavimo. Vis dėlto Europos Parlamentas nori šalims suteikti teisę numatyti išankstinio gydymo ligoninėje išlaidų kompensavimo leidimo sistemą. Prašyti tokio leidimo nebūtų privaloma. Jį gavusio paciento gydymą užsienio ligoninėje valstybė tiesiogiai apmokėtų į jos sąskaitą, o pacientas turėtų pats susimokėti tik papildomas išlaidas. Numatoma, kad valstybės privalės kompensuoti tik tokį savo gyventojų gydymą užsienyje, kokį numato jų įstatymai.

Siūloma, kad pastaroji nuostata negaliotų retoms ligoms – t. y., kad retomis ligoms sergančių pacientų gydymas užsienyje būtų kompensuojamas net ir tuo atveju, jei jis nėra dengiamas gyvenamosios vietos šalyje ir, kad retomis ligomis sergantiems pacientams nereikėtų prašyti išankstinio leidimo gydytis užsienyje[749].

3.4. Prieinamumo skatinimas gerinant paciento teisės gauti informaciją įgyvendinimą

Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencijos 10 straipsnio, pavadinto ,,Privatus gyvenimas ir teisė gauti informaciją“ 2 dalyje teigiama, jog ,,kiekvienas turi teisę žinoti, kokia informacija yra surinkta apie jo ar jos sveikatą[750]. Šios konvencijos Aiškinamosios ataskaitos 66 punktas patikslina, jog ,,teisė žinoti“ apima visą informaciją apie paciento sveikatą, ar tai būtų diagnozė, prognozė ar

[748] Europos Parlamento ir Tarybos direktyva dėl pacientų teisių į sveikatos priežiūros paslaugas kitose valstybėse narėse įgyvendinimo. Pasiūlymas. Briuselis, 2008 [žiūrėta 2009-06-18]. <http://ec.europa.eu/health/ph_overview/co_operation/healthcare/docs/COM_lt.pdf>.

[749] Europos Parlamento rezoliucija dėl pacientų mobilumo ir sveikatos priežiūros raidos Europos Sąjungoje. [2006] OJ E 124.

[750] Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios*. 2002, Nr. 97-4258.

bet koks kitas su ja susijęs faktas[751] kaip pavyzdžiui medicininio tyrimo duomenys, siūlomas gydymas bei galimos gydymo/tyrimo alternatyvos, rizika, gydymo eiga ir pan.

Šios paciento teisės įgyvendinimas yra saistomas priešpriešinės gydytojo pareigos: suteikti pacientui teisingą informaciją, gauti jo sutikimą atlikti tyrimą, gydyti bei paisyti paciento valios[752]. Retų ligų atveju gydytojams tinkamai įgyvendinti pareigą informuoti pacientą yra sunkiau, nes retos ligos sudėtingos, dažnai pažeidžiančios įvairius organus bei organizmo sistemas, dėl jų retumo žinių apie kai kurias iš jų gydytojai neturi arba turi labai nedaug. 2004 metais Eurordis atlikti tyrimai parodė jog sergantieji retomis ligomis kartais nesulaukdavo tinkamo gydymo arba buvo gydyta neveiksmingai dėl to, kad liga, kuria jie serga dėl gydytojų žinių trūkumo nebuvo atpažinta labai ilgai: nuo pirmųjų ligos simptomų pasireiškimo praėjus 5–30 metų (Lietuvos Aukščiausiasis Teismas 2002 metais nutartyje yra konstatavęs pirminės sveikatos priežiūros gydytojų aplaidumo faktą dėl kurio 1997 metais gimusiai mergaitei trejus metus nediagnozuotas Vilmso tumoras (nefroblastoma)[753]). To pačio Eurordis tyrimo ataskaitoje konstatuota, jog pacientai, jų artimieji išgyvena nevilties jausmą dėl to, jog gydytojai negali išsamiai atsakyti į klausimus apie diagnozuotos ligos eigą, gydymo alternatyvas, kitose šalyse taikomus gydymo metodus ar vykdomus vieno ar kito retai ligai gydyti skirto vaisto klinikinius tyrimus ir pan.[754].

Europos Komisija atsižvelgdama į tai, jog būtina gerinti retomis ligomis sergančių pacientų teisės gauti informaciją įgyvendinimą bei palengvinti informacijos apie retas ligas prieinamumą sveikatos priežiūros specialistams pastaraisiais metais aktyviai ragina valstybes nares informaciją retų ligų srityje gilinti, analizuoti ir sisteminti bendradarbiaujant tarptautiniu mastu[755]. Akivaizdu, jog tam patraukliausia erdvė – šiuolaikinės elektronikos ir interneto galimybės. Mokslinėms tyrimų grupėms ši erdvė paranki norint bendrai naudotis duomenų bazėmis, rinkti duomenis klinikiniams tyrimams, registruoti klinikiniuose tyrimuose norinčius dalyvauti pacientus ir pateikti informaciją apie retų ligų simptomus specialistams, kad šie pagerintų diagnozavimo ir gydymo kokybę. Ligoniams internetu patogu bendrauti tarpusavyje. Todėl 2006 metų vasario 10 dieną Europos Komisijos patvirtintame 2006 metų darbo plane, skirtame Bendrijos veiksmų visuomenės sveikatos

[751] Explanatory Report to the Convention for the protection of Human Rights and dignity of the human being with regard to the application of biology and medicine: Convention on Human Rights and Biomedicine [žiūrėta 2009-01-20]. <http://conventions.coe.int/treaty/EN/Reports/Html/164.htm>.

[752] KUTKAUSKIENĖ, J., RUDZINSKAS, A. Informuoto paciento sutikimas: pacientui teikiamos informacijos teisinio įvertinimo problemos. *Socialinių mokslų studijos*. 2009, 2(2): 324.

[753] Lietuvos Aukščiausiojo Teismo 2002 m. rugsėjo 30 d. nutartis civilinėje byloje *E. Lukoševičius v. VĮ "Visagino pirminės sveikatos priežiūros centras"* Nr. 3K-3-1108/2002 m. [interaktyvus] [žiūrėta 2007-09-25]. <http://www.lat.lt/3_nutartys/senos/nutartis.aspx?id=9262>.

[754] Daugiau informacijos apie *EurordisCare2* tyrimo rezultatus ir jo metodologiją galima rasti interneto adresu: <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact_Sheet_Eurordiscare2.pdf> [žiūrėta 2008-01-04].

[755] Tarybos 2009 m. birželio 8 d. rekomendacija dėl retųjų ligų srities veiksmų. [2009] OL C 151/02.

srityje programos (2003–2008) įgyvendinimui[756], numatyti tokie prioritetiniai veiksmai kaip: keitimosi informacija gerinimas, pasitelkiant jau veikiančius Europos informacijos apie retas ligas tinklus; geresnio retų ligų klasifikavimo, kodavimo bei apibrėžimo siekimas; strategijų ir mechanizmų, kuriais naudodamiesi retomis ligomis sergantys žmonės arba susiję savanoriai darbuotojai bei specialistai galėtų keistis informacija, kūrimas; svarbių sveikatos rodiklių apibrėžimas ir lyginamųjų epidemiologinių duomenų rinkimas ES lygiu; techninė parama keičiantis geriausia praktika. Valstybės narės raginamos kurti, plėtoti ir remti retaisiais vaistais gydomų ligonių registrus, biologinių mėginių bei biobankų saugyklas, duomenų bazes, kuriose būtų kaupiama informacija apie vienos ar kitos retos ligos gydymo veiksmingumą[757], bendradarbiauti keičiantis informacija apie naujų vaistų terapinę pridėtinę vertę, informacija apie retuosius vaistus (jų veiksmingumą, naudingumą, kainas ir pan.)[758].

Pažymėtina, jog įgyvendinant ankstesnes Bendrijos veiksmų visuomenės sveikatos srityje bei Bendrosios mokslinių tyrimų ir plėtros programas jau veikia *Orphanet* ir *EuOrphan* duomenų bazės, pradėjo veikti Europos populiacijos įgimtų anomalijų registras *Eurocat* (angl. *European Surveillance of Congenital Anomalies*)[759].

Orphanet duomenų bazėje[760] nuo 2000 metų šešiomis kalbomis teikiama sukaupta informacija apie daugiau kaip 5 000 ligų. Šioje duomenų bazėje yra išsami retų ligų enciklopedija, specialisto paslaugų, teikiamų 35 šalyse, katalogas, Europos informacijos centrų katalogas, retųjų vaistų duomenų bazė, kurioje yra informacija apie jų kūrimo etapą ir prieinamumą ES šalyse ir dar daug kitų paslaugų, skirtų konkrečioms suinteresuotų subjektų kategorijoms, įskaitant galimybę atrinkti diagnozę pagal simptomus ir ženklus bei skubiems atvejams skirtų rekomendacijų biblioteką. Šiame kataloge yra informacijos apie specializuotas klinikas, klinikines laboratorijas, atliekamus mokslinius tyrimus, registrus ir pacientų paramos grupes. Informacija nuolat papildoma ir atnaujinama. Su retosiomis ligomis susijusios politinės, mokslinės bei praktinės naujienos

[756] 2006 m. vasario 10 d. Komisijos sprendimas Nr. 2006/89/EB, patvirtinantis 2006 m. darbo planą, skirtą Bendrijos veiksmų visuomenės sveikatos srityje programos (2003–2008 m.) įgyvendinimui, kartu su metine subsidijų darbo programa. [2006] OL L 042 .

[757] Valstybių narių ir Europos Komisijos remtinos sritys yra šios: kokybės standartai, įskaitant strategijos ir priemonių, skirtų periodiškai stebėti duomenų bazių kokybę bei išvalyti duomenų bazes, kūrimą, minimalus epidemiologiniams ir visuomenės sveikatos tikslams būtinų bendrųjų duomenų rinkinys, dėmesys duomenų bazių patrauklumui vartotojams, skaidrumui ir sujungimo galimybėms, intelektinė nuosavybė, ryšys tarp duomenų bazių ir (arba) registrų (genetinis, apibendrintai diagnostinis, klinikinis, stebėsenai skirtas ir t. t.). Būtų svarbu tarptautines (Europos) duomenų bazes sujungti su nacionalinėmis ir (arba) regioninėmis duomenų bazėmis, jei tokios yra. Kad būtų lengviau kurti Europos registrus, kuriuose nurodytos tam tikros visuomenės sveikatai ypač svarbios retos ligos, reikėtų apsvarstyti Administracijų keitimasis duomenimis iniciatyvą. Public consultation. *Rare diseases: Europe's challenges*. European Commission. Health and Consumer protection directorate-general. Directorate C – Public Health and Risk Assessment. 2007, p. 14–15.

[758] 3 str. 2 d. d punktas, priedo 1.5 punktas [2006 m. vasario 10 d. Komisijos sprendimas Nr. 2006/89/EB, patvirtinantis 2006 m. darbo planą, skirtą Bendrijos veiksmų visuomenės sveikatos srityje programos (2003–2008 m.) įgyvendinimui, kartu su metine subsidijų darbo programa. [2006] OJ L 042.].

[759] *European Surveillance of Congenital Anomalies* [žiūrėta 2008-12-16]. <http://www.eurocat.ulster.ac.uk/>.

[760] Prieiga per internetą: <http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>.

pateikiamos *OrphaNews Europe* internetiniame laikraštyje[761]. Lietuva į *Orphanet* veiklą įsitraukė nuo 2004-ųjų.

EuOrphan duomenų bazė[762] pradėta kurti pagal Šeštąją bendrosios mokslinių tyrimų ir plėtros programą (2002–2006). *EuOrphan* tikslas – palengvinti informacijos apie retas ligas ir jų gydymą prieinamumą. Duomenų bazėje vartotojams teikiama informacija apie retų ligų gydymą, pasaulinėje rinkoje esančius retųjų vaistų kategorijai priskirtus vaistinius preparatus, sveikatos priežiūros įstaigų teikiamas paslaugas retomis ligomis sergantiems pacientams. Farmacijos įmonės gali gauti ekspertų konsultacijas dėl klinikinių tyrimų organizavimo ir šiuo metu vykdomų klinikinių tyrimų, retų ligų paplitimo statistikos, vaistų priskyrimo retiesiems, jų registravimo klausimais[763].

Antrasis uždavinys gerinant pacientų teisės gauti informaciją įgyvendinimą, – parama retomis ligomis sergančių pacientų organizacijoms, kurios veikia kaip vadinamojo *pacientų įgalinimo* instrumentas. Pacientų įgalinimas (angl. *empowerment of patients*) – reiškia paties lėtinėmis ligomis sergančio paciento (sveikatos priežiūros paslaugų vartotojo) iniciatyvų dalyvavimą ir savipagalbos strategiją sprendžiant savo sveikatos priežiūros problemas[764]. Įgalinimas susieja individualias paciento jėgas ir veikiančias bei galinčias pasitarnauti pagalbos sistemas, o tai PSO teigimu yra „būtina sveikatos sąlyga“[765]. Pasak pacientų įgalinimo klausimus nagrinėjančių mokslininkų S. Aymé ir kt., pacientų organizacijos valstybių narių ir ES lygmeniu pasiteisina kaip neįkainojami partneriai didinant retų ligų matomumą, gerinant kokybiškos informacijos apie retas ligas ir retuosius vaistus prieinamumą. Įrodyta, jog aktyvi pacientų organizacijų veikla įtakoja dėl jų gerovės priimamus sprendimus, kurie savo ruožtu turi įtakos kiekvieno iš pacientų gyvenimo kokybei[766].

Remiantis statistika, šiuo metu Europoje veikia daugiau kaip 1 700 organizacijų, vienijančių retomis ligomis sergančius pacientus[767]. Gilios tokių organizacijų tradicijos yra Nyderlanduose, Prancūzijoje, Italijoje, Jungtinėje Karalystėje. Rytų Europoje pacientų būrimasis į organizacijas ne toks populiarus. Dauguma iš retomis ligomis sergančių pacientų organizacijų yra visai nedidelės, sukurtos dėl vienos retos ligos ir paprastai vadinamos pacientų grupėmis, draugijomis ar klubais. Dažniausiai tokias pacientų grupes įsteigia labai retomis ligomis sergančius vaikus auginantys tėvai,

[761] Prieiga per internetą: <http://www.orpha.net/actor/cgi-bin/OAhome.php?Ltr=EuropaNews>.

[762] Šią duomenų bazę galima rasti interneto adresu: <www.euorphan.com>.

[763] ŠPOKIENĖ, I., STAKIŠAITIS, D., JUŠKEVIČIUS, J., VALUCKAS, K. V., BAIARDI, P. Access to information supporting availability of medicines for patients suffering from rare diseases looking for possible treatments: the EuOrphan Service. *Medicina*. 2007, 43(6): 441–446.

[764] NEUHAUSER, D. The coming third healthcare revolution:personal empowerment. *Qual Manag Health Care* 2003, 12: 171–184. In AYMÉ, S., KOLE, A., GROFT, S. Empowerment of patients: lessons from the rare disease community. *Lancet.* 2008, 371: 2048.

[765] *Ibid.*

[766] AYMÉ, S., KOLE, A., GROFT, S. Empowerment of patients: lessons from the rare disease community. *Lancet.* 2008, 371: 2048–2051.

[767] Rare diseases: Europe’s challenges. Public consultation. European Commission. Health and Consumer protection directorate-general. Directorate C – Public Health and Risk Assessment. 2007, p. 6.

susidūrę su socialine atskirtimi, informacijos apie vaiko ligą trūkumu ir realios pagalbos stoka. Tokiose organizacijose tvyro ,,šeimos dvasia“: vadovavimas neformalus, visi nariai vieni kitus pažįsta asmeniškai, o parama dažniausiai apsiriboja tarpusavio bendravimu, moraliniu vienas kito palaikymu. Tokios grupės neturi stabilios struktūros, todėl sunku rasti jų kontaktus.

Sergantieji labiau paplitusiomis retomis ligomis (pavyzdžiui: hemofilija, fenilketonurija, cistine fibroze) arba tam tikrai ligų grupei priskiriamomis ligomis (pavyzdžiui raumenų distrofija, medžiagų apykaitos sutrikimais ir pan.) buriasi į didesnes, stabilesnes, turinčias formalią struktūrą organizacijas, kurios bendradarbiauja su įvairiais paramos fondais, farmacijos įmonėmis ir draudimo įstaigomis. Susibūrę į tokias grupes pacientai ir jų artimieji pirmiausia tikisi gauti daugiau informacijos ir praktinių patarimų apie ligą nuo kurios kenčia, jos eigą, tinkamą sveikatos priežiūrą, nori sutikti panašių sveikatos problemų turinčių žmonių. Kadangi net ir kasdienio gyvenimo mažmožiai sergant retomis ligomis gali tapti sunkiai įveikiamomis problemomis (pavyzdžiui gyvenamojo būsto neįgaliam vaikui pritaikymas ar įrengimas, specialaus dietinio maisto ruošimas) tokių organizacijų nariai vieni su kitais dalijasi savo ,,atradimais“, galinčiais palengvinti kasdienybę, o jų tarpusavio bendravimas sušvelnina socialinės atskirties jausmą. Dar vienas tokių organizacijų veiklos aspektas – žinių apie retų ligų simptomus bei rizikos veiksnius visuomenei sklaida ir svarbiausia – viena ar kita reta liga sergančių pacientų interesų atstovavimas valdžios institucijose.

Siekiant geriau įgyvendinti pastarąją misiją bei intensyvinti atitinkamų retų ligų mokslinius tyrimus didesnės pacientų organizacijos neretai jungiasi į nacionalinius retų ligų susivienijimus (asociacijas). Jų pastangomis gydytojams, kitiems sveikatos priežiūros specialistams, mokslininkams, socialiniams darbuotojams, šalies socialinės ir sveikatos politikos formuotojams rengiami seminarai ir konferencijos, leidžiami žurnalai, kuriami interneto tinklapiai, vadovaujama retų ligų tyrimų finansavimo kampanijoms. Šiuo metu tokių susivienijimų daugiau Šiaurės Europos šalyse (kai kurie gyvuoja maždaug pora dešimtmečių). Tuo tarpu Pietų Europoje jų yra tik keletas ir veikia jie vos keletą pastarųjų metų.

Europoje retomis ligomis sergančių pacientų organizacijas bei nacionalinius susivienijimus vienija ir pacientams atstovauja Europos retomis ligomis sergančių pacientų organizacijų aljansas – Eurordis[768]. Jis įsteigtas 1997 metais Prancūzijoje. Jo misija – aktualizuoti retų ligų kaip visuomenės sveikatos problemą; atkreipti visuomenės, nacionalinių ir tarptautinių institucijų dėmesį į retų ligų egzistavimą ir plitimą; skleisti informaciją apie retas ligas pacientams ir gydytojams, pagerinti retomis ligomis sergančiųjų gydymą, priežiūrą ir paramą jiems; skatinti mokslinius ir klinikinius retų ligų tyrimus, jų gydymo būdų ir retųjų vaistų kūrimą; gerinti pacientų socialinę ir

[768] Interneto svetainės adresas: <http://www.eurordis.org/>.

edukacinę gerovę, gyvenimo kokybę[769]. Šiuo metu Eurordis vienija 360 retomis ligomis sergančių pacientų organizacijų – narių iš 36 šalių, iš kurių 30 yra Europos šalys[770], suteikdamas joms tiesioginio dialogo su Europos Komisija, kitais suinteresuotais subjektais galimybę ir taip atstovaudamas jas Europos lygiu įtakojant socialinės politikos ir teisės formavimą šiuo klausimu[771]. Lietuvos pacientų organizacijos kol kas nėra Eurordis narės.

Apskritai, tenka pastebėti, jog Lietuvoje, kaip ir kitose Rytų Europos šalyse, kol kas nėra gilių tradicijų burtis į visuomenines pacientų organizacijas, todėl jos neturi stabilios struktūros, mažai įtakoja juos liečiančių politinių ir teisinių sprendimų priėmimą. Tačiau tendencijos aktyviau atstovauti retomis ligomis sergančių pacientų bendruomenės interesus pastaraisiais metais Lietuvoje vis dėlto pastebimos kiek ryškiau. Aktyviai veikia 2002 metais įsikūrusi Onkohematologinių ligonių draugija „Kraujas“[772], 2009 metų pradžioje įsikūrusi retomis onkologinėmis ligomis sergančiųjų ligonių draugija (ROLLD)[773]. Iš retomis ligomis sergančius pacientus jungiančių grupių taip pat paminėtinos Lietuvos cistinės fibrozės draugija, Lietuvos žmonių, sergančių hemofilija asociacija[774], Lietuvos vaikų, sergančių onkohematologinėmis ligomis, draugija[775], Lietuvos Alzhaimerio ligos asociacija ir kt. Kaip trūkumą galima įvardinti tai, jog SAM iniciatyva pildomoje Lietuvoje veikiančių pacientų organizacijų kontaktų duomenų sistemoje[776] nuorodų galima rasti ne apie visas pacientų grupes ir organizacijas, todėl norintiems įsijungti į jų veiklą pacientams ir jų globėjams kyla sunkumų. Siekiant pagerinti retomis ligomis sergančių pacientų informuotumą reikėtų parengti atskirą retomis ligomis sergančius pacientus vienijančių grupių, draugijų bei organizacijų kontaktų sąrašą.

Dar viena rekomendacija, kuria galėtų pasinaudoti ir Lietuva, gerindama pacientų teisės gauti informaciją įgyvendinimą – retų ligų konsultacinių centrų steigimas. ES retų ligų darbo grupės 2006 metų ataskaitoje „Indėlis į politikos formavimą: dėl Europos bendradarbiavimo sveikatos paslaugų

[769] Interneto svetainės adresas: <http://www.eurordis.org/>.

[770] Lietuvos pacientų organizacijos nėra pripažintos *Eurordis* narės. Lietuvoje veikiančių visuomeninių pacientų organizacijų sąrašą galima rasti interneto adresu: < http://www.sam.lt/lt/main/tarptautinis_bendrad/lietuvos_organizacij/visuomenines_organiz/pacientu_organizacij>.

[771] AYMÉ, S., KOLE, A., GROFT, S. Empowerment of patients: lessons from the rare disease community. *Lancet.* 2008, 371: 2048–2051.

[772] Onkohematologinių ligonių draugijos „Kraujas“ uždaviniai: raginti valstybines organizacijas skirti lėšas pažangiems gydymo metodams; teikti informaciją apie onkohematologines ligas ir jų gydymą internetu, seminaruose, paskaitose ir leidiniuose; teikti psichologinę paramą ligoniams, jų artimiesiems ir medikams; tobulinti Santariškių hematologijos skyriaus darbą, gerinti jo materialinę bazę ir ligonių gydymosi sąlygas; skatinti gydytojus tobulinti savo darbo metodus; įtakoti mokslinių darbų vykdymą Santariškėse; organizuoti ir teikti sergantiems, sirgusiems ir jų artimiesiems socialinę pagalbą; prisidėti populiarinant Valstybinio savanorių kaulų čiulpų donorų registro veiklą; bendradarbiauti su paramą teikiančiomis organizacijomis. Draugijos interneto svetainė: <www.kraujas.lt>.

[773] Draugija oficialiai įkurta 2009 m. sausio 4 d. siekiant skleisti žinią, jog retos onkologinės ligos, kaip ir visos onkologinės ligos, yra ne tik medicininė, bet ir socialinė problema. Veiklos tikslas – tapti paramos organizacija, vienijančia asmenis sergančius retomis onkologinėmis ligomis, ir žmones, suinteresuotus rūpintis šių pacientų interesais ir jų gyvenimo kokybe, teikti kvalifikuotą pagalbą ir patikimą informaciją. ROLLD interneto svetainė: <www.rolld.lt>.

[774] Interneto svetainės adresas: <http://www.hemofilija.lt>.

[775] Interneto svetainės adresas: <http://www.paguoda.org>.

[776] <http://www.sam.lt/go.php/Pacientu_organizacijos>.

ir medicininės priežiūros, susijusios su retomis ligomis, srityje[777] valstybėms narėms rekomenduojama paremti iniciatyvas kurti retų ligų specialistų centrus[778], nes geriausių rezultatų konsultuojant pacientus būtų galima pasiekti būtent centruose, kur sutelktos specialistų komandos. Tai ligoniams atvertų galimybes gauti teisingą informaciją ir tinkamą sveikatos priežiūrą[779]. Lietuvoje reikėtų įsteigti mažiausiai penkis tokius centrus.

3.5. Valstybių ES narių iniciatyvos remiant retųjų vaistų kūrimą, tyrimus ir prieinamumą

141/2000/EB reglamente valstybėms ES narėms keliama sąlyga imtis iniciatyvų remiant ir plėtojant retųjų vaistų mokslinius tyrimus, kūrimą ir prieinamumą. Jos įpareigotos reguliariai pateikti atnaujintą informaciją Europos Komisijai (EK) apie visas įteisintas priemones ir paskatas, kurių buvo imtasi šiuo tikslu[780]. Nors ne visos valstybės ES narės laikosi šio įpareigojimo, 2000–2001 metais ir 2005 metų pabaigoje EK pateikta informacija publikuota aprašuose[781]. Jie, kartu su naujesniais duomenimis, šioje disertacijoje atliekamo tyrimo atveju yra informatyvus šaltinis, siekiant apžvelgti valstybių ES narių teisines iniciatyvas ir kitas pastangas skatinant ir užtikrinant retųjų vaistų prieinamumą.

Visose 27 valstybėse ES narėse su retų ligų sritimi susiję klausimai reglamentuojami skirtingai. Apibendrinus informaciją matyti, jog per penkerius pirmuosius 141/2000/EB reglamento galiojimo metus tik keliose iš valstybių ES narių įvyko esminių pokyčių gerinant retųjų vaistų prieinamumą. Pažangiausios šioje srityje – Italija, Danija, Didžioji Britanija, Švedija ir Ispanija[782]. Tuo tarpu Bulgarijos, Rumunijos, Portugalijos, Liuksemburgo, Slovakijos, Slovėnijos, Čekijos, Airijos, Austrijos, Graikijos, Kipro, Maltos pastangos kol kas vertintinos kaip nepakankamos. Reikia pripažinti, kad retųjų vaistų ekonominio prieinamumo klausimą spręsti ypač sudėtinga

[777] <http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/contribution_policy.pdf>.

[778] Rare diseases: Europe's challenges. Public consultation. European Commission. Health and Consumer protection directorate-general. Directorate C – Public Health and Risk Assessment. 2007, p. 9.

[779] Plačiau apie tai medžiagoje per interneto prieigą: <http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm>.

[780] 10 str. [Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on Orphan Medicinal Products. [2000] OJ L 18.].

[781] Inventory of Community and national incentive measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. 2001 [žiūrėta 2008-02-08]. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory/inventory-en.pdf>; Inventory of Community and member states incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2002 [žiūrėta 2008-02-08]. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/updinventory_0802.pdf >; Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 4 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-03-25]. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory_2006_08.pdf>.

[782] Tokia išvada daroma ne tik remiantis šiame darbo poskyryje analizuotuose aprašuose pateikta informacija, bet ir Eurordis nuomone dokumente Rare diseases: understanding this public health priority. Eurordis, November 2005, p. 14.

„naujosioms“ valstybėms narėms – tarp jų ir Lietuvai, įsiliejusioms į Bendriją nuo 2004 metų ar 2007-aisiais, turint omenyje tai, jog jų sveikatos priežiūrai skirti biudžetai yra dešimt ir daugiau kartų mažesni nei 15 valstybių ES narių „senbuvių“.

Išskiriant pagrindinius retųjų vaistų prieinamumo skatinimo ir užtikrinimo reguliavimo atskirose valstybėse ES narėse bruožus, pastebėtina, jog praktiškai visose valstybėse nuo 2000 metų ar šiek tiek vėliau buvo įteisintos mokesčių lengvatos retųjų vaistų registravimui ir numatytas greitesnis paraiškų peržiūrėjimas nacionalinėse kompetentingose institucijose, įmonėms siekiant įgyti leidimą prekiauti retuoju vaistu. Tačiau primintina, kad šios lengvatos nebeaktualios nuo 2005 metų lapkričio pabaigos, kuomet visiems retiesiems vaistams tapo privaloma centralizuota registravimo procedūra.

Išimtis dėl šalyje neregistruotų vaistų prieinamumo – vadinamųjų vardinių vaistų taip pat yra numačiusios dauguma valstybių. Tuo tarpu teisės nuostatos dėl tiriamųjų vaistų kitais nei klinikiniai tyrimai tikslais pacientams sergantiems retomis gyvybei pavojingomis ligomis ir nesant tinkamo gydymo prieinami ne visur. Apie tokias šalyje galiojančias išimtis EK informavo Danija[783], Italija, Prancūzija, Vokietija[784].

Beje, Vokietija yra vienintelė iš 27 valstybių ES narių, kurioje visi iki 2008 metų kovo registruoti retieji vaistai buvo komercializuoti ir kompensuojami[785]. Italijoje visi pagal centralizuotą procedūrą registruoti retieji vaistai yra kompensuojami tiems pacientams, kurie yra registruoti retų ligų centruose.

Tuo tarpu daugelyje kitų valstybių ES narių retųjų vaistų kompensavimas vyksta pagal sudėtingas išankstines procedūras. Tarkim Belgijoje dėl retųjų vaistų kompensavimo pacientui kiekvienu konkrečiu atveju sprendžia prie nacionalinės ligos draudimo institucijos (pranc. *Institut National d'Assurance maladie Invalidité,* INAMI; angl. *National Institute of Invalidity Insurance*) įsteigtas komitetas, kaskart atliekant konkretaus vaisto kompensavimo įtakos biudžetui tyrimą.

Didžiojoje Britanijoje retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kainodaros ir kompensavimo sistema gana sudėtinga, kintanti. Šiuo metu klausimą dėl retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kompensavimo, atsižvelgiant į gyvenimo kokybės ir kitokius farmakoekonominius rodiklius pavesta svarstyti Nacionalinei patariamajai grupei (angl. *National Specialised Commissioning Advisory Group*)[786]. Iki 2007 metų buvo įsteigti šeši retų ligų centrai, kurių veiklą finansuoja nacionalinis Sveikatos

[783] Plačiau su šia tvarka galima susipažinti per prieigą internete: <http://www.dkma.dk/1024/visUKLSArtikel.asp?artikelID=4619> [žiūrėta 2009-08-27].

[784] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 14.

[785] MACHARTUR, D. *Orphan drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues.* Macarthur West Sussex, UK: Justpharmareports 2008.

[786] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 23.

Departamentas. Svarstomi tik šių centrų gydytojų pateikti prašymai dėl vaistų, įskaitant pakaitinę fermentų terapiją, kuria gydomi paveldimi medžiagų apykaitos sutrikimai, kompensavimo.

Nyderlanduose nuo 2006 metų sausio 1 dienos įdiegta nauja retųjų vaistų kompensavimo sistema universitetinėse ligoninėse. Ligoninėms padengiama 95 procentai išlaidų, skirtų retiesiems vaistams (kompensavimas už paprastus vaistus siejamas su bendru ligoninės biudžetu). Tuo tikslu universitetinėms ligoninėms kasmet skiriama 24 milijonai eurų. Retieji vaistai kompensuojami tik per universitetines ligonines.

Estijoje vaistai retomis ligomis sergantiems pacientams kompensuojami iš bendro Estijos sveikatos draudimo fondo, atsižvelgiant į ligos diagnozę, sunkumą, epidemijos galimybes, skausmo, įtakos gyvenimo kokybei, mirtingumo faktorius bei farmakoekonominius rodiklius[787].

Latvijoje vienas procentas kompensuojamų vaistų biudžeto yra skirtas vaistams retoms ligoms gydyti (nebūtinai tik tiems, kurie yra priskirti retųjų kategorijai)[788].

Lenkijoje svarstomas teisės akto projektas dėl labai brangių vaistų, tarp kurių pakliūtų ir retieji, įtraukimo į valstybinio vaistų kompensavimo sistemą.

Pastebėtina, jog kai kurių valstybių ES narių senbuvių veiksmai yra nukreipti daugiau į mokslinių tyrimų sritį (Vokietija, Nyderlandai, Didžioji Britanija, Ispanija), kitose didesnis dėmesys skiriamas sveikatos priežiūros paslaugų teikimui ir specializuotiems centrams (Skandinavijos šalys, Danija, Italija).

Pavyzdžiui Nyderlanduose nuo 2005 metų finansuojami keturi su genų terapija susiję projektai, kurių biudžetas – 2 milijonai eurų. Ši programa truks iki 2013 metų. Nuo 1998 iki 2007 metų tęsėsi 9 milijonų eurų biudžeto BioPartner FSG/STIGON programa, kurios vienas iš tikslų – paskatinti vaistų retoms ir lėtinėms ligoms gydyti kūrimą. Retuosius vaistus kuriančios įmonės taip pat gali pasinaudoti Nyderlandų Ekonomikos ministerijos koordinuojama subsidijų programa.

Ispanijoje remiami moksliniai ir pramoniniai retų ligų tyrimai, kuriuos atlieka Nacionalinis retų ligų tyrimų institutas (isp. *Instituto de Investigación de enfermedades raras*, IIER), Karlo III sveikatos instituto (isp. *Instituto de Salud Carlos III*) sveikatos tyrimų fondas ir Ispanijos retų ligų federacija (isp. *Federación Española de Enfermedades Raras*, FEDER).

Didžiojoje Britanijoje nuo 2002 metų biudžete numatytos mokesčių lengvatos visoms įmonėms, užsiimančioms vaistų, tarp jų ir retųjų, kūrimu ir moksliniais tyrimais. Ypatingos paskatos pasiūlytos įmonėms, kuriančioms vaistus ir vakcinas tuberkuliozės, maliarijos bei ŽIV/AIDS gydymui[789].

[787] *Ibid.*, p. 11.
[788] *Ibid.*, p. 17.
[789] Inventory of Community and member states incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2002, p. 22–23.

Švedijos medicinos tyrimų taryba taip pat remia retų ligų tyrimus. Pavyzdžiui, Švedijos vėžio bendrija retų formų vėžio klinikiniams tyrimams kasmet skiria maždaug 27 milijonus kronų (apie 3 milijonus eurų)[790].

Italijoje jau daugiau nei dešimtmetį (nuo 1998 metų) veikia Nacionalinis retų ligų centras, kur pacientams, jų šeimos nariams ir sveikatos priežiūros specialistams teikiama informacija apie retas ligas ir retuosius vaistus, organizuojami mokymai, bendradarbiaujama su pacientų organizacijomis. 2000–2006 metais Italijoje įsteigti 228 regioniniai retų ligų paramos centrai. Kasmet 10 procentų lėšų, gaunamų už farmacijos produktų reklamą, yra skiriama retų ligų ir retųjų vaistų tyrimams[791].

Nors iš esmės kiekvienoje valstybėje narėje turėtų būti priimtas nacionalinis ir (arba) regioninis veiksmų dėl retų ligų planas tokiais vadovaujasi tik Prancūzija[792], Bulgarija[793] ir Portugalija[794].

Akivaizdu, jog nei viena valstybė ES narė nėra pajėgi viena savarankiškai kovoti su retomis ligomis, todėl tokias problemas kaip informacijos, diagnozavimo, gydymo prieinamumas, moksliniai tyrimai būtina spręsti pasitelkus nuoseklų, darnų ir visiems suinteresuotiesiems subjektams prieinamą gydymo metodų ir strategijų, kuriomis būtų dalijamasi nacionaliniu ir Europos mastu, tinklą. Toks dalijimasis yra būtinas ir neišvengiamas. Tam reikia panaudoti ir plėtoti bendrus išteklius ir priemones.

Pabaigai reikia pridurti, jog retųjų vaistų prieinamumo problema yra toli gražu ne vienintelė, galinti būti svarstoma ar plačiau tiriama sveikatos teisės kontekste. Problemų, susijusių su retomis ligomis ir jų diagnostika, profilaktika, gydymu, tokių pat aktualių kaip ir vaistų pacientams prieinamumas yra kur kas daugiau. Tai: ilgai trunkantis teisingos ligos diagnozės nustatymas ir gydymo parinkimas; klaidingos retų ligų diagnozės ir žalą sukėlęs gydymas[795]; kasdienei sveikatos

---

[790] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005, p. 20–21.

[791] *Ibid.*, p. 15–16.

[792] French National Plan on Rare Diseases (2005 – 2008). Ensuiring equity in the access to diagnosis, treatment and provision of care. November 20 2004. Šiame plane: užsibrėžta gilinti žinias apie retų ligų paplitimą; pripažintas retų ligų specifiškumas; numatyta informacijos apie retas ligas pacientams, sveikatos priežiūros specialistams ir visai visuomenei plėtra; pripažinta būtinybė organizuoti papildomus mokymus gydytojams, kad retos ligos būtų atpažintos greičiau; įtvirtinta būtinybė gerinti diagnostinių tyrimų prieinamumą pacientams bei kelti sveikatos priežiūros paslaugų retomis ligomis sergantiems pacientams kokybę; numatyta tęsti veiklą, skatinančią retųjų vaistų kūrimą, remti retomis ligomis sergančių pacientų organizacijas, diegti inovacijas retų ligų gydymo srityje, bendradarbiauti ir keistis informacija su kitomis šalimis.

[793] National plan for rare diseases (2009–2013) (genetic, congenital malformations and non-hereditary diseases). [interaktyvus] [žiūrėta 2009-05-13]. <http://www.raredis.org/pub/events/NPRD.pdf>.

[794] Programa Nacional para Doenças Raras 2008-2015 (liet. *Portugalijos nacionalinė retų ligų programa (2008–2015)*) [interaktyvus] [žiūrėta 2009-08-12]. <http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/portugal.pdf >

[795] Eurordis 2004 metais atlikto tyrimo duomenimis, ligoniai neretai nesulaukia tinkamo gydymo dėl to, kad reta liga yra labai ilgai neatpažįstama; genetiniai tyrimai atidėliojami; pradedami gydyti ir kartais metų metus gydomi dažnai pasitaikančių ligų simptomai. Kai kuriais atvejais toks gydymas būna pacientui žalingas. Apklausus aštuoniomis genetinėmis retomis ligomis sergančius pacientus iš 17 šalių, paaiškėjo, jog beveik ketvirtadaliui pacientų teisinga diagnozė buvo nustatyta praėjus 5–30 metų nuo pirmųjų ligos simptomų pasireiškimo. 40 proc. pacientų nustatyta pirminė diagnozė pasirodė esanti klaidinga, tačiau net 1 iš 6 pacientų remiantis ja jau buvo operuoti, 1 iš 10 skirtas psichiatrinis gydymas. Tik apie 50 proc. pacientų buvo laiku nukreipti genetikų konsultacijoms [*Rare diseases:*

priežiūrai reikalingų vaistų, maisto papildų ar higienos priemonių kompensavimo problemos; kompleksinės sveikatos priežiūros paslaugų (psichologo, dietologo, fizioterapeuto, reabilitologo, kitų specialistų) neprieinamumas; specializuotų socialinių paslaugų, kurios galėtų pagerinti sergančiųjų retomis ligomis gyvenimo kokybę (pvz., laikino ligonius slaugančių asmenų pavadavimo paslaugų, terapinės rekreacijos programų vaikams ir jaunimui) trūkumas; stigmatizacija, izoliacija, diskriminacija dėl draudimo (sveikatos, kelionių, nekilnojamojo turto), ribojamos pacientų ir jų šeimos narių profesinės galimybės[796] ir t. t. Šios problemos, turinčios ne tik medicininį, socialinį, psichologinį, ekonominį, bet ir teisinį turinį, retomis ligomis sergančių pacientų bendruomenei yra nepaprastai aktualios. Europos Komisija rengdama ES sveikatos strategiją Baltojoje knygoje „Kartu sveikatos labui. 2008–2013 m. ES strateginis požiūris“[797] retas ligas vėl nurodė prioritetine veiklos sritimi, todėl paminėtos problemos valstybėse narėse, tarp jų ir Lietuvoje, turėtų būti ne tik tiriamos, bet ir atitinkamai sprendžiamos. Tam būtinas kompleksinis požiūris į retų ligų gydymo problemą, tinkamas prioritetų paskirstymas skirstant lėšas sveikatos priežiūrai, vieša diskusija, visuomenės sąmoningumo kėlimas, sprendimus priimančių institucijų, sveikatos priežiūros specialistų ir socialinių tarnybų geranoriškumas, žiniasklaidos dėmesys. Tai, jog progresas šia linkme Europoje vyksta rodo, jog nuo 2005-ųjų metų rengiama vis daugiau konferencijų, nagrinėjančių problemas ir iššūkius su kuriais susiduria retomis ligomis sergančių pacientų bendruomenė, farmacijos pramonė ir ES šalių vyriausybės[798], o nuo 2008 metų kiekvieną vasario 29 dieną nutarta minėti Tarptautinę retų ligų dieną.

---

understanding this public health priority. Eurordis, November 2005 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-27]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>; Survey of the delay in diagnosis for 8 rare diseases in Europe (EurordisCare2) [žiūrėta 2008-02-27]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact_Sheet_Eurordiscare2.pdf>.

[796] Rare diseases: understanding this public health priority. Eurordis, November 2005, p. 3 [žiūrėta 2008-03-01]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>.

[797] Prieiga per internetą: <http://ec.europa.eu/health/ph_overview/strategy/health_strategy_en.htm>.

[798] Nuo 2005 metų kasmet rengiamos tarptautinės retų ligų ir retųjų vaistų konferencijos, kuriose dalyvauja pacientai, medikai, teisininkai, sveikatos politikai, sveikatos ekonomistai, farmacijos ir biotechnologijų pramonės atstovai ir kt. Susitikimai jau vyko Stokholme, Madride, Briuselyje, Vašingtone, Romoje. 2010 kovo mėn. Buenos Airėse (Argentinoje) [ICORD International Conference on Rare Disease and Orphan Drugs <http://www.icord.se/conferences.php.]. Nuo 2005-ųjų kasmet Bulgarijoje vyksta Rytų Europos konferencijos dėl retų ligų ir retųjų vaistų [Eastern European Conferences on Rare Diseases and Orphan Drugs. <http://conf2009.raredis.org/>.] 2010 m. kovo 13-14 dienomis Briuselyje – konferencija „Commercialisation & Market Access Strategies for Orphan & Ultra-Orphan Drugs“, kurioje svarstytos retųjų vaistų prieinamumo pacientams gerinimo problemos ir strategijos.

IŠVADOS

1. Retųjų vaistų prieinamumo klausimas negali būti paliktas laisvosios rinkos savireguliacijai, nes tokių vaistų neprieinamumas (nekūrimas dėl finansinio nesuinteresuotumo, apribotos gydytojų galimybės tokius vaistus skirti, ir (ar) teisinėmis priemonėmis neužtikrintos galimybės pacientams tokių vaistų gauti, naudoti, įpirkti) nėra teisingas retomis ligomis sergančių pacientų kaip lygiateisių sveikatos priežiūros sistemos dalyvių atžvilgiu. 141/2000/EB reglamento priėmimą ir jo turinį įtakojo JAV bei Japonijos pažangi patirtis įteisinant paskatas pramonei investuoti į retųjų vaistų kūrimą ir pardavimą. Tai, jog šis reglamentas buvo priimtas palyginus vėlai, taip pat ir Bendrijos vaidmenį reglamentuojant retųjų vaistų prieinamumą sąlygojo ir tebesąlygoja jos kompetencijos sveikatos priežiūros bei žmogaus teisių srityse ribotumas.

2. Teisinės prielaidos valstybei užtikrinti, o (arba) reta liga sergančiam pacientui tikėtis ar reikalauti, kad būtų užtikrintas teritorinis bei ekonominis egzistuojančių vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumas – paciento teisė į sveikatos priežiūrą, lygiateisiškumo bei solidarumo principai. Lietuvoje kaip socialinėje teisinėje valstybėje šios prielaidos egzistuoja, tačiau jų kaip teisinių argumentų turinį ir svarumą (pvz., argumentuojant valstybės pareigą užtikrinti tokių vaistų prieinamumą ar svarstant reta liga sergančio paciento lūkesčių dėl vaisto prieinamumo teisinį pagrįstumą) įtakoja: a) doktrinoje menkai išplėtota teisės į sveikatos priežiūrą bei jos prieinamumą koncepcija; b) neaiški šios teisės subjektinio ir teisnumo lygmenų skirtis; c) mėginimas eliminuoti teisę į sveikatos priežiūros prieinamumą iš pacientų teisių katalogo; d) „vaistų prieinamumo“ definicijos teisinis neapibrėžtumas; e) PSDF biudžeto apimtis bei ribos; f) konstitucinėje doktrinoje plačiau nereflektuotas solidarumo principo turinys.

3. Retųjų vaistų prieinamumą reglamentuojančios ES teisės nuostatos pagal jų turinį, tikslą bei subjektiškumo požymį skirstytinos į: 1) įteisinančias paskatas ir lengvatas retųjų vaistų kūrimui bei registravimui (subjektas – retųjų vaistų rėmėjai); 2) skirtas palengvinti ir (ar) pagreitinti prieinamumą prie jau egzistuojnčių retųjų vaistų: per galimybę pacientui dalyvauti klinikiniuose tyrimuose; gauti šalyje neregistruotų vaistų; nesant kitų alternatyvų gydytis tiriamaisiais vaistais (subjektas – pacientai). Todėl retųjų vaistų prieinamumą galima nusakyti kaip visumą teisinių ir organizacinių priemonių, skatinančių kurti vaistus retoms ligoms gydyti ir užtikrinančių galimybes esant medicininėms indikacijoms jais gydyti bei gydytis. Neturėdama kompetencijos asmens sveikatos priežiūros srityje Bendrija tik skatina retųjų vaistų prieinamumą. Kiek deramai registruotų ir neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumas užtikrinamas pacientams priklauso nuo kiekvienos iš valstybių ES narių prisiimtų įsipareigojimų šioje srityje apimties.

4. Lietuvoje retoms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumo reguliavimas yra inspiruotas ES teisės. Jos nuostatų įgyvendinimas dėl paskatų retųjų vaistų rėmėjams mūsų šalyje yra mažiau aktualus. Kur kas svarbiau, jog būtų užtikrintas retomis ligomis sergančių pacientų sveikatos priežiūros kokybė. Nors mūsų šalyje imtasi priemonių, jog pacientai, sergantys retomis ligomis, būtų aprūpinti reikiamais vaistais, tačiau atitinkamos nacionalinės nuostatos ir jomis įteisintos procedūros turi trūkumų, o teisės aktų ir normų, reguliuojančių šiuos klausimus visuma yra gana padrika, paini, turi spragų. Todėl Lietuvoje pastangos užtikrinant retomis ligomis sergančių pacientų teises sveikatos priežiūros srityje vertintinos kaip nepakankamos, gali būti traktuojamos kaip ribojančios vaistų prieinamumą bei pacientų teisę į kokybišką sveikatos priežiūrą, jos paslaugų lygiateisiškumą.

4.1. Neįteisintas gyvybei gresiančiomis ligomis sergančių pavienių pacientų ar pacientų grupių, negalinčių dalyvauti klinikiniuose tyrimuose gydymas tiriamaisiais vaistais (vadinamosios labdaringos vaistų programos).

4.2. Kritiškai vertintina individuali vaistų, skirtų labai retoms ligoms ar būklėms gydyti kompensavimo tvarka: a) esama tvarka neefektyvi, jei pacientui vaistų reikia skubiai; b) nenurodyti, todėl neaiškūs Komisijos[799], priimančios sprendimus dėl tokių vaistų kompensavimo, sprendimo priėmimo kriterijai; c) ribojama paties paciento iniciatyva teikti prašymą dėl vaistų prieinamumo; d) nenumatyta Komisijos neigiamo sprendimo dėl vaisto kompensavimo apskundimo tvarka; e) kalbinės struktūros atžvilgiu netobulas sąvokos ,,labai reta liga ar būklė“ apibrėžimas suteikia plačias jo interpretavimo ir subjektyvaus vertinimo galimybes, o tai savo ruožtu suponuoja nepakankamą retomis ligomis sergančių pacientų teisių įgyvendinimo teisinį apibrėžtumą.

4.3. Pacientų siuntimo ir finansavimo gydytis užsienyje tvarka turi trūkumų: a) nenurodyti kriterijai, kuriais remiantis priimami sprendimai dėl konsultavimo (ištyrimo) ir/ar gydymo išlaidų užsienyje kompensavimo; b) metai – per ilgas pakartotinio prašymo svarstymo laikotarpis; c) Komisijos sprendimo apskundimo tvarka sukuria prielaidas šališkumui.

[799] Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisija, sudarytaValstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus įsakymu (toliau išvadose ir pasiūlymuose – Komisija).

PASIŪLYMAI

1. Tobulinti vaistų, skirtų retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo tvarką:

1.1. Patikslinti teisinį sąvokos ,,reta liga ir būklė“ apibrėžimą, nurodant, kad reta laikoma sunki, sekinanti ar gyvybei gresianti liga, kuria serga ne daugiau nei 5 asmenys iš 10 000 gyventojų. ,,Labai retos ligos ar būklės“ epidemiologinis rodiklis turėtų būti nurodytas – mažiau nei 100 atvejų iš 1 000 000.

1.2. Nurodyti visus kriterijus, kuriais remdamasi Komisija priima sprendimus dėl retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kompensavimo. Skaidrumui ir viešumui užtikrinti Komisijos posėdžių protokolai, nurodant atskirų sprendimų motyvus, galėtų būti skelbiami viešai.

1.3. Nustatyti Komisijos priimto sprendimo apskundimo tvarką.

1.4. Siekiant užtikrinti reikalingų brangių vaistų prieinamumą kiekvienam pacientui, kuriam jų reikia kartu minimizuojant ribotų sveikatos priežiūrai skirtų lėšų iššvaistymo galimybę, reglamentuoti rizikos pasidalijimo tarp valstybės (paciento) ir vaisto gamintojo schemų taikymą (pvz., kai vaistai kompensuojami visiems pacientams pilnai ar per pusę su gamintoju pirmus du–tris mėnesius, o dėl tolesnio kompensavimo sprendžiama atsižvelgiant į kiekvieno paciento ligos progresą po atitinkamo laikotarpio atlikus tyrimus. Jei vaisto poveikis pacientui nepakankamas, gamintojas turi sugrąžinti valstybės išleistas lėšas jo gydymui. Jei vaistai veiksmingi, jų poveikis ilgalaikis – valstybė juos įsipareigoja pilnai kompensuoti).

2. Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatyme įteisinti išimtis dėl tiriamųjų vaistų (po II ar III klinikinių tyrimų fazės) naudojimo pavieniams pacientams ir pacientų grupėms, sergantiems lėtinėmis arba labai sunkiomis arba gyvybei gresiančiomis ligomis, kai nėra kitų gydymo alternatyvų ir pacientai neturi galimybės dalyvauti to vaisto klinikiniame tyrime. Priimti atitinkamas poįstatymines nuostatas, numatančias kriterijus, kuriuos turėtų atitikti tiriamasis vaistas ir tikslinės pacientų grupės.

3. Parengti ir priimti išsamią, ilgalaikę paveldimų ir nepaveldimų retų ligų diagnozavimo, profilaktikos ir gydymo strategiją (Nacionalinį retų ligų planą). Jame numatyti konkrečius veiksmus dėl: retų ligų epidemiologinės priežiūros, naujagimių tikrinimo, genetinio konsultavimo, mokslinių retų ligų tyrimų, gydytojų mokymo ir informavimo, visuomenės sąmoningumo kėlimo, pacientų integracijos organizavimo, paramos pacientų organizacijoms, retų ligų kompetencijos centrų kūrimo, bendradarbiavimo su kitomis ES valstybėmis narėmis keičiantis informacija apie retas ligas. Būtina nustatyti aiškius šių veiksmų įgyvendinimo terminus, valdymo struktūras, pakankamą ir aiškiai apibrėžtą finansavimą bei reguliarių ataskaitų grafiką.

SUMMARY

LEGAL REGULATION OF ACCESS TO ORPHAN MEDICINAL PRODUCTS IN HEALTH LAW

The problem under scrutiny and its relevance. The problematic questions related to medicinal products are addressed by biomedical sciences more often than by social sciences, and even more so, by legal scientific works. Therefore, at a first glance the topic of this dissertation may appear rather unusual. Legal analysis and evaluation of problems arising in the sphere of health care, requiring interdisciplinary approach, is not yet popular in Lithuanian legal doctrine. However, taking into consideration today's tendencies: development of biomedical science and the areas of its practical application, such as personal and public health care and pharmacy, and the development of the law itself (e.g.: modern concept of social human rights; strengthening of patients' rights institute), it is obvious that lawyers must actively address and discuss issues emerging from the fusion of these areas, those issues, which are important because of the fact that they relate to protection of persons' rights and interests. One of such questions, recognized as a priority one in European Union and worldwide generally, is the access to medicinal products used for treatment of rare diseases (so-called *orphan medicinal products*).

Despite the progress of the biomedical sciences, biotechnology, and pharmaceutical industry, at the end of 20th century rare diseases were usually treated only symptomatically (i.e., through suppression of pain), since pharmaceutical and biotechnology companies were not interested in development of medicinal products intended for treatment of rare diseases due to the necessity of considerable investments into development of such medicinal products and low demand. Even the active substances already discovered which potentially could improve the health of seriously ill people or even save lives, were not improved and were not put on the market because of lack of financial interest. Therefore, rare diseases, which include genetic (hereditary) diseases, rare cancers, autoimmune diseases, congenital malformations, toxic and infectious (*tropical*) diseases, became known as orphan diseases and the affected patients – as health orphans/orphan patients.

Although in the United States of America the problem of development of medicinal products intended for treatment of rare diseases was tackled by legal means already almost three decades ago (the "Orphan Drug Act"[800] was adopted in 1983), and this example was shortly followed by some other countries, including the EU, which adopted the Regulation (EC) No 141/2000 of the European

[800] Orphan Drug Act of 1983. *Pub. L.* 1983, No. 97-414.

Parliament and of the Council on Orphan Medicinal Products[801], the question of availability of orphan medicinal products poses one of the acutest problems of the health care system because for thousands of rare diseases medical products do not yet exist; and because the already created ones are hardly accessible to the patients due to various reasons.

Presently 27-36 million patients with rare diseases live on the territory of the EU, and about 25 million in the USA. It is estimated that there are approximately 200,000-240,000 such patients in Lithuania. Of these, about 160,000 people are ill with genetic diseases. These patients face difficulties as consumers of health care services and it is confirmed by the ongoing court cases: for example, in the United States – regarding the prohibition of use of new investigational medicinal products in treatment of life-threatening diseases after Phase I of clinical trials[802], in the UK – regarding the refusal to reimburse effective but very expensive medicinal products intended for treatment of breast cancer[803], in Italy – regarding reimbursement of experimental medicinal products intended for treatment of cancer[804]. The petitions[805,806] with tens of thousands of signatures requiring ensuring high quality and non-discriminatory treatment of patients with rare forms of cancer, submitted to the highest authorities of the Republic of Lithuania in 2006 and 2007, as well as the headlines of articles published in Lithuanian dailies and weeklies (for example: "Rare diseases: victims and money"[807], "Rare disease patients – outsiders for life"[808], "Patients in labyrinths of rare diseases"[809], "Rare diseases plague not only the patients"[810], "Rare diseases – a puzzle to doctors in province"[811], "Diagnosed late, treatment is extremely expensive"[812], "Utterly

[801] Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.

[802] *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, no. 445 F.3d 470, D.C. Cir. 2006; *rev'd*, no. 495 F.3d 695, D.C. Cir 2007; *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, no. 495 F.3d 695, 697, D.C. Cir. 2007 (en banc), *cert. denied*, 128 S. Ct. 1069 (2008).

[803] *Ann Marie Rogers v Swindon Primary Care Trust & Secretary of State for Health* [2006] EWCA Civ 392. Judiciary of England and Wales. Court of Appeal (Civil Division) [interactive]. 12 April 2006 [accessed 2008-02-02]. <http://www.judiciary.gov.uk/judgment_guidance/judgments/summaries/annmarie_ rogers.htm>.

[804] ERNST, E., BARNES, J., ABBOT, C. N., ARMSTRONG, N. C., *et. al.* The Di Bella story: emotion as opposed to fact. *Focus Altern Complement Ther*. 1998, 3: 143.

[805] In 2006, the National association of organizations of women with breast diseases, Lithuanian representation of the international coalition against breast cancer "Europa Donna" collected signatures to petition for provision of equal treatment capabilities by modern biological therapy to all women affected by breast cancer. The petition with more than 55 000 signatures was submitted to the President of the Republic of Lithuania, the Prime Minister of the Republic of Lithuania and the Minister of Health of the Republic of Lithuania.

[806] In 2007 S. Narbutas suffering from chronic myeloleukemia submitted the 80,000 signatures petition with for reimbursement of medicinal products to people suffering from chronic myeloleukemia to the Speaker of the Parliament, the Prime Minister and the Minister of Health.

[807] SRĖBALIENĖ, A. Retos ligos: aukos ir pinigai. Ekstra. Vilnius, 2004-12-13, p. 50–52.

[808] BUDVYTIENĖ, G. Sergantieji retomis ligomis – gyvenimo užribyje. *Kauno diena.* Kaunas, 2005-04-06.

[809] TARAŠKEVIČIENĖ, M. Pacientai retų ligų labirintuose. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2008-04-05.

[810] JUŠKEVIČIENĖ, J. Reta liga vargina ne tik ligonį. *Klaipėda.* Klaipėda, 2006-06-08.

[811] KURTKUTĖ, A. Retos ligos – galvosūkis provincijos medikams. 2006-09-08. *News portal alfa.lt.* [interactive] [accessed 2009-03-14]. <http://www.alfa.lt/straipsnis/50582>.

[812] BERNOTAITĖ, J. Diagnozuojamos pavėluotai, gydymas nepaprastai brangus. *Lietuvos medicinos kronika*. 2008-03-05.

alone with a serious illness"[813], "Exclusive treatment – for exceptional personalities"[814], "Medicine against cancer – only to every third"[815], "Doctors' headaches: how not to condemn a patient to death"[816]) eloquently testify about the painful experiences of Lithuanian patients and their relatives faced with a rare disease diagnosis.

The conclusions of the studies performed in EU during recent years[817] also confirm the relevance of the topic. These studies conclude that especially in new EU Member States, including Lithuania, territorial and economic accessibility to medicinal products intended for treatment of rare diseases is ensured insufficiently: e. g. medicinal products cannot be bought in the country, very expensive medicinal products are not reimbursed, patients experience difficulties even upon consent to take part in clinical trials of orphan medicinal products, to go abroad for consultations (diagnostics) and (or) treatment. It is established that in different EU Member States the possibilities of treatment with orphan medicinal products are not equal.

This shows insufficient protection of the rights of patients with rare diseases, as well as the need to improve legal regulation of accessibility of medicinal products intended for treatment of orphan diseases both at EU and national levels. Since as of today the topic of legal regulation of availability of orphan medicinal products was not considered from the legal point of view neither in Lithuania nor abroad – this proves the necessity of scientific research of this problem within the framework of the health law doctrine.

The object of the research: regulation of availability of orphan medicinal products in health law.

The availability of medicinal products as a concept is not established precisely, thus, in most general sense, this concept may be defined as the entirety of conditions that ensure that patients are able to obtain in their home country, on time and without interference safe, innovative, affordable medications. In short – as territorially and economically efficient supply of medications to the population[818,819]. The main concept of this dissertation is the one of *availability of orphan medicinal*

---

[813] ŽIČKUS, E., ALASAUSKYTĖ, G. Vienui vieni su sunkia liga. *Vakaro žinios.* Vilnius, 2007-09-22.

[814] KUČINSKAITĖ, J. Išskirtinis gydymas – išskirtinėms asmenybėms. *Veidas.* Vilnius, 2006, Nr. 23.

[815] JANČORIENĖ, M. Vaistai nuo vėžio – tik kas trečiam. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2009-02-21.

[816] SAUKIENĖ, I. Medikų galvos skausmas: kaip žmogaus nepasmerkti myriop. 2009-07-05. *News portal Delfi.lt* [interactive] [accessed 2009-07-05]. <http://www.delfi.lt/news/daily/Health/article.php?id=22962273>.

[817] BIGNAMI, F. Eurordis survey on orphan drugs availability in Europe. 6th Eurordis Round Table of Companies Workshop. Barcelona 9 July, 2007 [interactive] [accessed 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/2007 ODsurveyeurordis .pdf>; De VARAX, A., LERELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005; Rare diseases: understanding this public health priority. Eurordis, November 2005, p. 7 [interactive] [accessed 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>; TARUSCIO, D., LOIZZO, A., LOIZZO, S., *et al*. Report on mutual availability of medicines for RD in EU countries. 4 April 2007 [interactive] [accessed 2008-10-21]. <http://www.teddyoung.org/download/10_Reportonmutual availability ofmedicinesfor RDinEUcountries.pdf>.

[818] JANKAUSKIENĖ, D., PEČIŪRA, R. *Sveikatos politika ir valdymas*. Vilnius: MRU, 2007, p. 125–130.

[819] The Order of the Minister of Health of the Republic of Lithuania of 10 July 2009 No V-572 "On Improvement of Availability of Medications and Approval of the Plan of Reduction of Prices", establishes the following directions and measures of improving the availability of medicinal products: improvement of the reimbursement

products. Compared to the one provided earlier, in addition to the mentioned aspects it includes the issue of legal regulation of development and putting on the market of orphan medicinal products as an essential precondition of availability of orphan medicinal products as goods (products).

Further specifying the object of the research, it should be noted that the research concentrates on regulation of the availability of orphan medicinal products *in European Union and Lithuanian law*; and that the legal norms governing the availability of orphan medicinal products are attributable to health law.

The purpose of research – to examine the regulation of availability of orphan medicinal products in EU and Lithuanian law, to evaluate the relationship of this regulation with the state obligation to ensure that the patients are supplied with the needed medicinal products; and, having established the regulatory dysfunction in national law – to propose possible solutions.

The objectives of research:

1. To examine the historical and legal characteristics and theoretical aspects of legal regulation of availability of orphan medicinal products in EU law, especially with regard to special features of concepts of "rare diseases" and "orphan medicinal products" established by Regulation 141/2000/EC.
2. To determine the legal basis of the state's obligation to the patients to ensure the availability of orphan medical products; at the same time to evaluate the legal validity of expectations and interests of a patient affected by a rare disease that the existing medicinal products are available.
3. To identify the measures aimed at ensuring availability and promotion of orphan medicinal products under EU law, to examine the peculiarities of such legal framework, to evaluate how these measures are implemented under relevant norms of Lithuanian law, and to formulate proposals of improvement of regulation of availability of orphan medicinal products in Lithuania.

The sources of the research. For the purposes of the research the US, European Union and Lithuanian legal acts were analyzed, as well as the jurisprudence of the Constitutional Court of the Republic of Lithuania and the international scientific literature.

The main sources of deep analysis of the specificities of the EU regulation of the orphan medicinal products are EU Regulations, Directives, the case law of the European Court of Justice; the European Commission's communications, consultations, and guidelines; the Council of the European Communities recommendations and resolutions; explanatory notes, reports and guidelines of other competent EU institutions (European Medicines Agency, Committee for Orphan Medicinal

---

system, improvement of regulation of activities of apothecaries and wholesale pharmaceutical distribution firms, strengthening of control of sales of pharmaceutical to the population, improving the regulation of work of doctors. [*Official Gazette*. 2009, No. 87-3715].

Products) – albeit not legally binding, but critical in interpreting and understanding the content of certain provisions of those EU legal acts, which regulate the matters of accessibility of orphan medicinal products. Other information sources were used too: inventories, containing information on availability of orphan medicinal products in EU Member States[820], the 2007 report of the Heads of Medicines Agencies of EU Member States on problems of availability of medicinal products intended for human consumption in EU[821]; the document approved by the Working Group on Pricing of the Pharmaceutical Forum – "Improving Access to Orphan Medicines for all Affected EU Citizens"[822]. The research is also based on the results of three recent empirical studies: in 2005 and 2007 European Organisation for Rare Diseases (EURORDIS) ordered continuous comparative studies on the availability of orphan medicinal products in European Union[823], European Commission's ordered study by independent experts from France A. De Varax, M. Letellier and G. Börtlein on conditions for marketing of orphan medicinal products in Europe, published in 2006[824], and the report of scientists Taruscio A. Loizzo, S. Loizzo and others on the situation of availability of orphan medicinal products in EU countries, published in 2007[825].

For the purposes of analyzing Lithuanian legal framework on availability of orphan medicinal products the main sources were the official orders of the Minister of Health of the Republic of Lithuania and of the director of the State Patients' Fund at the Ministry of Health.

For the specific questions touched upon in the dissertation, not only the works of health law scientists are of value, but also publications of scientists in the fields of health policy, health economics, medical ethics, public health, medicine and other fields.

The historical aspects of adopting the Orphan Medicinal Products Act in 1983 were examined by P. J. Kenney, J. T. O'Reilly, and D. Brown-Grossman in their articles published in *Food Drug Cosmetic Law Journal*[826]. M. E. Haffner, J. Whitley and others assessed the two decades long

---

[820] Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. 2001; Revision 2002; Revision 2005.

[821] Availability of human medicinal products. Report of Task Force of HMA MG. Adopted by HMA 5th November 2007 [interactive] [accessed 2009-04-28]. <http://www.hma.eu/uploads/media/Availability_ medicines_HMAMG_TF_ Report.pdf > .

[822] Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens. Working Group on Pricing of the Pharmaceutical Forum, 2008 [interactive] [accessed 2009-05-29]. <http://ec.europa.eu/pharmaforum/docs/pricing_ orphans_en.pdf>.

[823] Rare diseases: understanding this public health priority. Eurordis, November 2005, p. 7 [interactive] [accessed 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>; Bignami, F. Eurordis survey on orphan drugs availability in Europe. 6th Eurordis Round Table of Companies Workshop. Barcelona 9 July, 2007 [interactive] [accessed 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/2007 ODsurvey-eurordis.pdf>.

[824] De VARAX A., LERELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005.

[825] TARUSCIO, D., LOIZZO A., LOIZZO, S., *et al*. Report on mutual availability of medicines for RD in EU countries. 4 April 2007 [interactive] [accessed 2008-10-21]. <http://www.teddyoung.org/download/10_Reportonmutual availabilityof medicinesfor RDinEUcountries.pdf>.

[826] KENNEY, P. J. The Orphan Drug Act – is it a barrier to innovation? Does it create unintended windfalls? *Food Drug Cosmetic Law Journal*. 1998, 43: 667–679; O'REILLY, J. T. Orphan Drugs: the strange case of 'baby M.

experience of legal regulation of orphan medicinal products in the United States[827]. Legal aspects of Japanese regulation of orphan medicinal products were addressed by K. Uchida, M. Shiragami and K. Nakai, A. S. Meyers[828]. The Canadian regulation of access to orphan medicinal products has been reviewed by doctoral student in legal sciences N. De Paulsen from the University of Toronto[829].

The historical and legal analysis into the field of the EU legal regulation of orphan medicinal products has been made in the doctoral thesis of M. B.Costille *Les Medicaments Orphelins al'heure de l'Europe: une longue histoire* (which was defended at Claude Bernard University Lyon in France but was not published as a monograph)[830]. Since the thesis was defended in 2000, M.B.Costille was able to examine only the draft Regulation 141/2000/EC, the US and Japanese legal acts that legitimized incentives for development of orphan medicinal products, and French national legal acts regulating certain features of availability of orphan medicinal products. It was not possible to find other theses or extensive studies on similar topics; consequently, the regulatory changes regarding availability of orphan medicinal products that took place in EU law during the last decade have not been addressed.

With the entry into force of Regulation 141/2000/EC the first few insights on gaps in legal regulation of availability of orphan medicinal products were provided in two small articles by A. Rappagliosi. One of them was published in *Journal of Commercial Biotechnology*[831] almost ten years ago. The other one, wholly dedicated to the Regulation 141/2000/EC, was published in the 3rd issue of 2001 of *Pharmaceuticals Policy and Law*[832] which was which came into force a year before. Later this journal also published several articles on topics of legal regulation of the availability of orphan medicinal products[833].

Food Drug Cosmetic Law Journal. 1987, 42: 516–526; BROWN-GROSSMAN, D. The Orphan Drug Act: adoption or foster care? *Food Drug Cosmetic Law Journal.* 1984, 39: 128–151.

[827] HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases. *N Engl J Med.* 2006, 35: 445–447; HAFFNER, M. E., WHITLEY, J., MOSES, M. Two decades of orphan product development. *Nat Rev Drug Discov*. 2002, No. 1.

[828] UCHIDA, K. Orphan drugs in Japan. *Drug Information Journal*. 1996, 30: 171–175; SHIRAGAMI, M., NAKAI, K. Development of orphan drug in Japan: characteristics of orphan drug development in Japan. *Drug Information Journal.* 2000, 34: 839–846; MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal.* 1997, 31: 102.

[829] De PAULSEN, N. Abandonment or Access: Canada's Orphan Drug Policy. Working paper [interactive]. University of Toronto Health Law and Policy Group. 2004 [accessed 2008-10-13]. <http://www.law. utoronto.ca/healthlaw/docs/ student_dePaulson-OrphanDrugs.pdf>.

[830] COSTILLE, M. B. Les Medicaments Orphelins a l'heure de l'Europe: une longue histoire. These pour le diplome d'etat docteur en pharmacie [interactive]. Lyon : Universite Claude Bernard – Lyon I, Faculte de pharmacie, Institut des sciences pharmaceutiques et biologiques, 2000 [accessed 2007-12-30]. <http://ispb.univ-lyon1.fr/theses/these_integ/castilleb/ thesecostille.pdf>.

[831] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to innovation: biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology.* 2001, 7(4): 299–308.

[832] RAPPAGLIOSI, A. Patient access to orphan drugs in the European Union. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 55–61.

[833] WESTERMARK, K. The Regulation of Orphan Medicines in the EU: objectives reached and main challenges when facing the future. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2007, 9(3/4): 327–342; TRAMA, A., PIERANNUNZIO, D.,

So far there is no comprehensive study that would discuss the issue of legal preconditions of availability of orphan medicinal products. Individual authors connect the patients' legal expectations related with these expensive medicinal products to the right to health care, principles of solidarity and health care equality; however, so far these insights were not further developed and founded from the legal standpoint.

So far, the question of EU legal regulation aimed at promotion and ensuring availability of orphan medicinal products has not been studied in more detail elsewhere. However, B. M. Buckley, E. Tambuyzer et al., R. Joppi, et al., M. E. Haffner[834] wrote about the problems and challenges of the clinical trials of the orphan medicinal products. The dilemma of funding of development of costly orphan medicinal products and their reimbursement was discussed by C. A. Gericke et al., C. Møldrup, R. Joppi, et al.[835], professor A. Hollis of University of Calgary (Canada)[836], prominent economist M. F Drummond[837]. A particularly interesting academic discussion on the subject of economic availability of orphan medicinal products took place between the British health economists D. A. Huges[838] et al. and C. McCabe et al., which was published in the journal *QJM: an International Journal of Medicine* in 2005-2006[839]. One of the newest publications, which discusses the issue of availability of expensive new medicines (including orphan medicinal products) intended for treatment of cancer on the market and for the patients, was published in the journal *Annals of Oncology* in 2009[840].

Recently, both in the USA and the EU the topic of benefits and risks associated with legalizing the availability of not authorized orphan medicinal product is being discussed ever so

---

LOIZZO, A., TARUSCIO, D., CECI, A. Availability of medicines for rare diseases in EU countries. *Pharmaceuticals Policy and Law*. 2009, 11(1/2): 101–109.

[834] BUCKLEY, B. M. Cinical trials of orphan medicines. *Lancet.* 2008, 371: 2051–2055; TAMBUYZER, E., MOONEY, P., INCERTI, C. The new EU clinical trials directive and orphan medicinal products: current status and recommendations. *The Quality Assurance Journal.* 2004, 8: 102–109; JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology.* 2006, 61: 355–360; JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Disappointing biotech. *BMJ*. 2005, 331: 895–897; HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases. *N Engl J Med.* 2006, 354(2): 445–447.

[835] GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics.* 2005, 31: 164–168; Møldrup, C. No cure, no pay. *BMJ*. 2005, 330: 1262–1264; JOPPI, R., BERTELE, V., GARRATTINI, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology*. 2006, 61: 355–360.

[836] HOLLIS, A. Drugs for rare diseases: paying for inovation. Calgary, Canada: University of Calgary, November 2005, p. 1–16 [interactive] [accessed 2008-07-01]. <http://www.irpp.org/books/archive/IRPP-JDI/hollis.pdf>.

[837] DRUMMOND, M. F., WILSON D. A., KANAVOS P., *et al.* Assesing the economic challenges posed by orphan drugs. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2007, 23(11): 36–42.

[838] HUGES, D. A., TUNNAGE, B., YEO, St. T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *Q J Med*. 2005, 98: 829–836; HUGES, D. A. Orphan drug revisited: author's respons. *QJM*. 2006, 99(5): 350–351.

[839] McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., *et al.* Orphan drug revisited. *Q J Med.* 2006, 99: 341–345.

[840] McCABE, C., BERGMANN, L., BOSANQUET, N., ELLIS, M., ENZMANN, H., von EULER, M., *et al.* Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology* [interactive]. 2009, 20: 403–412 [accessed 2009-06-14]. <http://annonc.oxfordjournals.org/cgi/reprint/20/3/403>.

actively. The works of US authors show that among EU lawyers the attention to this topic should also increase: A work of Georgetown University (USA) Law Centre scientist J. N. Vale of more than 30 pages in length, discussing features and evolution of US legal regulation of availability of investigational medicinal products, was published in 2008[841]; also, an article by L. V. Romano and P. D. Jacobson "Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine and law", examining and discussing the latest trends in this field, has been published in 2009 in the *Journal of Health & Life Sciences Law*[842].

A publication titled "Orphan Drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues" [843] (published in 2008 in the UK) closely relates to the topic of the dissertation. It structures and compares information on the incentives for orphan medicinal products, as well as financing and reimbursement thereof in Germany, United Kingdom, France, Italy and Spain; the work presents various tables and a lot of other useful statistical information. However, the nature of this publication written by an international pharmaceutical business consultant and independent analyst D. Machartur is not scientific-investigational, but commercial-informative. It is more addressed to the pharmaceutical and biotechnology companies.

Defended theses:

1. Global trends of legal regulation of availability of orphan medicinal products, as well as the EU's attention to the question of treatment of rare diseases (albeit EU's limited competence in the sphere of health care) show that the issue of availability of orphan medicinal products cannot be left to the free market self-regulatory processes. In EU it can be best ensured by interaction of Community legislative initiatives and national measures of the Member States.
2. The availability of medicines is the element of implementation of the right to health care, and the state's role in providing for the health care is inseparable from the principles of equality and solidarity, therefore, theoretically, the expectations of patients affected by rare diseases that the necessary medicinal products are available should be valued as legitimate and justified.
3. Current Lithuanian legal regulation of availability of orphan medicinal products does not ensure that the patients affected by rare diseases have full and equal possibilities to access high quality health care services, therefore this legal framework must be improved.

---

[841] VALE, J. Expanding expanded access: how the Food and Drug Administration can achieve better access to experimental drugs for seriously ill patients. *The Georgetown Law Journal* [interactive]. 2008, 96: 2143–2175 [accessed 2009-02-21]. <http://www.georgetownlawjournal.org/issues/pdf/96-6/Vale.PDF>.

[842] ROMANO, L. V., JACOBSON, P. D. Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine and law. *Journal of Health & Life Sciences Law*. 2009, 2(2): 47–72.

[843] MACHARTUR, D. Orphan Drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues. Macarthur West Sussex, UK: Justpharmareports, 2008 [interactive] [accessed 2009-08-13]. <http://www.researchandmarkets.com/ reports/607381>.

The methodology and structure of the dissertation. The research is based on the following methods: analysis of documentation, logical-analytical, analytical-critical, systematic analysis, comparative, historical-legal, philosophical cognitive, and linguistic. The dissertation is composed of: introduction, three analytical-instructive parts, divided into sections, subsections and divisions, conclusions, and recommendations. At the end of the dissertation the list of references is provided and the annexes are attached.

The first part of the study "*The trends and peculiarities in global and EU regulation of the availability of the orphan medicinal products*" explores the historical and legal aspects, as well as the theoretical characteristics of adoption of Regulation 141/2000/EC. Since the EU legislative initiatives regarding the availability of orphan medicinal products are associated with US and Japanese experience in this field, firstly the study considers the features of the 1983 US "Orphan Drug Act" and the changes in the criteria of prescription of new investigational medicinal products to patients in US law, and provides an overview of the amendments to the Japan Pharmaceutical Affairs Law regarding orphan medicinal products, adopted in 1993. Exploring the issue of preparation and adoption of Regulation 141/2000/EC, the most significant historical and legal facts and events are presented in chronological order; the legal grounds of Community level regulation of availability of orphan medicinal products are established. For the first time in legal science the peculiarities of the concepts of "rare disease/condition" and "orphan medicinal product" as legal categories are examined. The question of EU law regulation of availability of medicinal products intended for treatment of tropical diseases is analyzed at the end of the section.

The second part of the study – "*Legal preconditions of availability of orphan medicinal products*" aims at establishing, firstly, the legal grounds of the state's obligation to ensure patients' access to orphan medicinal products and, secondly, establishing the legal validity of expectations and interests of a patient affected by a rare disease that the existing medicinal products are accessible. Since in the relevant literature the right to health care and its availability is indicated as the key argument for ensuring the availability of orphan medicinal products, firstly, the opportunities and limits of implementation of this right are defined: its status in human rights doctrine, the Community and national law. To that end, the corresponding provisions of international human rights instruments are examined, the Community competence in spheres of human rights and health care is assessed, the jurisprudence of the Constitutional Court of the Republic of Lithuania and constitutional law doctrine are analyzed, the corresponding articles of the Law on the Rights of Patients and Compensation for Damage to their Health of the Republic of Lithuania, which establishes these rights, as well as the proposed amendments of these articles in the draft law that is being currently prepared, are examined. The logical-legal links connecting a patient's right to health care and the concept of availability of medicinal products are highlighted by

elaborating on the content of the concept of availability of medicinal products in the national legal acts regulating the health promotion activities.

Since the second and the third legal presumptions that presuppose state obligation to ensure access to orphan medicinal products derive from the content of principles of equality and solidarity, the essential features of implementation of these principles are established at the end of section. The Council recommendation on a European action in the field of rare diseases, adopted in 2009[844], stipulates that the Member States, on the basis of principles of equality and solidarity adopted across the EU, must take steps to ensure within their territory that patients with rare diseases have access to high-quality care, including diagnostics, treatments, rehabilitation for those living with the disease and, if possible, effective orphan medicinal product. Given the fact the Convention on Human Rights and Biomedicine[845] obliges the States to provide equitable access to health care of appropriate quality within their jurisdictions, and the person's right to have the best possible health care equality regardless of his/her gender, race, ethnicity, nationality, social status and profession is a principle of legal regulation of health promotion activities of many European states, the latter recommendation of the Council means that the state should take all appropriate measures so that the patients with rare diseases receive treatment, which is adequate to the standards of their health needs and scientific progress, and which is inseparable from the orphan medicinal products (if the medicines to treat the disease are already created and their effectiveness is scientifically proven). In this case equality should be interpreted sufficiently broadly: both as absence of discrimination between normal and rare diseases patients (both should receive treatment appropriate to their health needs), and between the patients with rare diseases (e.g., as regards reimbursements of medicines, sending for medical treatment abroad, etc.). Similarly, this concept should include state's orientation towards advanced models of regulating and ensuring the availability of orphan medicinal products to patients employed in other EU Member States. Ensuring equality in health care is primarily attributable to a person's health needs, therefore, the argument of "state's available resources" should not negate the necessity for a state to "take appropriate measures", so that the patients' "needs" would be fulfilled, – the case at hand cannot justify indifference, gaps in regulatory framework in the areas related to high quality of treatment of patients with rare diseases.

The state' role in ensuring health care is inseparable from solidarity being a fundamental value, as represented by the provisions of the Charter of Fundamental Rights of the European Union[846]. In the preamble to the Charter the principle of solidarity is accorded the status of fundamental value, upon which the Union is "founded" and which it seeks to "preserve and

[844] Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases. [2009] OJ C 151/02.

[845] Convention for the protection of human rights and dignity of the human being with regard to the application of biology and medicine: Convention on human rights and biomedicine. Oviedo, 4.4.1997.

[846] Charter of fundamental rights of the European Union. [2000] OJ C 364.

develop". Charter's Chapter IV "Solidarity" among other social rights establishes everyone's "right of access to preventive health care and the right to benefit from medical treatment under the conditions established by national laws and practices". It could be argued that this right implies the person's duty of solidarity.

In the context of health care the principle of solidarity reflects the whole society's responsibility for its members, who in case of illness may incur particularly high expenses for health care services, or even not receive these services at all. Thus, if we keep in mind the question of ensuring economic availability of expensive orphan medicinal products, it logically follows that, since spending on medicines tens of thousands Litas (and more) per month is an unbearable financial burden for seriously ill patients, they have a reason to believe that expensive, but compliant with the standards of scientific progress, effective medicinal products would be fully or at least partially compensated. Clearly, fulfilment of such patients' expectations by undertaking appropriate commitments is a significant challenge for a state because treatment of even one patient ill with very rare disease can cost millions.

In the third part of dissertation – "*European and Lithuanian legal regulation aimed at promotion and ensuring availability of orphan medicinal products*" the conceptual model of European and Lithuanian legal regulation aimed at promotion and ensuring availability of orphan medicinal products is formulated. Examining the provisions of EU law, the measures aimed at promotion of availability of medicinal products intended for treatment of orphan diseases are distinguished according to the subjectivity factor. The first one – the incentives for sponsors of orphan medicinal products. With the adoption of Regulation 141/2000/EC, favourable conditions promoting the development of orphan medicinal products and putting them on the market were created to sponsors of orphan medicinal products, and to the patients – conditions to receive treatment; therefore, the incentives of granting of marketing rights of orphan medicinal products (centralized Community authorization procedure; conditional marketing authorisation; marketing authorization under exceptional circumstances) and ten years of market exclusivity for registered orphan medicinal products are carefully analyzed. Other incentives, such as protocol assistance, financial support for rare diseases and research of medicinal products received less attention, although these incentives are also important to the sponsors.

For the purposes of development and coordination of joint approach of EU Member States to availability of orphan medicinal products, EU law provides exceptions regarding prescription to patients of medicinal products that are not authorised in the country and new investigational medicinal products. Upon introduction of these exceptions into national law, orphan medicinal products can reach patients more quickly and easily, therefore, the exceptions are isolated and examined as means of ensuring patients' access to orphan medicinal products. It is examined which

substantive legal guarantees of availability of not authorised medicinal products are in force in Lithuania.

In this section of the dissertation the question of regulation of economic availability of orphan medicinal products is examined. It is clearly recognized in the relevant literature that compensation of treatment of rare diseases, which requires allocation of huge resources from the health insurance budget and the resulting limitations on possibilities of treatment with these medications, is both an ethical and a legal problem. Ethical aspects are considered using the theories of allocative justice, as well as the insights of modern medical ethics professionals N. Daniels and R. Veatch, C. A. Gericke, A. Hollis, etc., the controversial academic debate over this question of health economists J. McKie et al, D. A. Huge et al, C. McCabe et al. Practical and legal aspects of this problem are illustrated by the legal analysis and evaluation of the order of reimbursement of medicinal products intended for treatment of rare diseases and sending patients abroad for medical treatment procedures, presently effective in Lithuania.

Finally, the promotion of the availability of orphan medicinal products by improving the implementation of the patients' right to access to information is discussed. Article 10 "Private life and right to information" of the Convention on Human Rights and Biomedicine states that "everyone is entitled to know any information collected about his or her health". The Explanatory Report to the Convention[847] explains that a person's "right to know" encompasses all information collected about his or her health, whether it be a diagnosis, prognosis or any other relevant fact", such as the medical investigation data, the proposed treatment and potential treatment/research alternatives, the risks, treatment stages and the like. The implementation of this patient's right is bound by the counter-obligation of the doctor: to provide the patient with correct information. In case of rare diseases, it is more difficult for the doctors to implement their obligation to inform the patient, because the rare diseases are complex and often damage various organs and body systems, because of their rarity the doctors do not have or have very little information on some of these diseases. In order to ensure correct implementation of this patient's right, the most favourable conditions facilitating exchange of knowledge and information must be created for all interested parties (medical doctors, researchers, medicinal products developers and researchers, the patients and their relatives). The best means for that – possibilities provided by modern telecommunications and Internet. Consequently, established networks must be promoted and new ones created, national registries for rare diseases must be set up, etc. Patient organizations at both a member state and the EU level have proved to be invaluable partners in raising the visibility of rare diseases and

[847] Explanatory Report to the Convention for the protection of Human Rights and dignity of the human being with regard to the application of biology and medicine: Convention on Human Rights and Biomedicine [interactive] [accessed 2009-01-20]. <http://conventions.coe.int/treaty/EN/Reports/Html/164.htm>.

improving quality of information about availability of rare diseases and orphan drugs; they likewise influence the decisions regarding patients' welfare, therefore they should also be supported.

The last subsection of the dissertation is devoted to reviewing and summarizing legal and other initiatives of the EU member states aimed at promoting the development, research, and availability of orphan medicinal products.

At the end of the dissertation the conclusions are formulated, the recommendations on improvement of regulation of availability of orphan medicinal products intended for treatment of rare diseases and conditions in Lithuania are proposed. The lists of cited literature and the author's scientific publications are provided. The annexes contain main EU and Lithuanian legal acts regulating access to orphan medicinal products, and a table, which compares legal regulation of orphan medicinal products in different countries and the EU.

Conclusions

1. The question of availability of orphan medicinal products cannot be left to the free market self-regulatory processes, because the unavailability of such medicinal products (lack of production due to lack of financial interest, limited possibilities for doctors to prescribe such medicinal products, and (or) lack of legal measures ensuring patients' possibilities to receive, use, purchase such medicinal products) is not fair from the perspective of the patients affected by rare diseases, who are equal participants of the health care system. The adoption of Regulation 141/2000/EC and its contents were influenced by US and Japan experience in legitimizing the incentives to pharmaceutical and biotechnology industry to invest in the development and marketing of orphan medicinal products. The relatively late adoption of this Regulation, as well as the Community's limited role in regulating the availability of orphan medicinal products was and is caused by the limitations of Community competence in spheres of health care and human rights.

2. The legal preconditions for a state to ensure and (or) for a rare disease patient to expect or to demand that the territorial and economic availability of existing orphan medicinal products is ensured – is a patient's right to health care, principles of equality and solidarity. In Lithuania, which is a social state respecting the rule of law, these preconditions exist, however, their validity and content as legal arguments (e.g. claiming the state's obligation to ensure availability of such medicinal products or discussing the legality and validity of a rare disease patient's expectations and interests in the availability of such medicinal products) are affected by: a) poorly developed doctrine of concept of the right to health care and its accessibility, b) unclear differences of subjective and legal capacity levels of this right, c) attempts to eliminate the right of access to health care from the catalogue of patients' rights d) the volume and limits of Compulsory Health Insurance

Fund budget, e) legal uncertainty of definition of “access to medicinal products”, f) insufficiently clearly established content of the solidarity principle in the constitutional doctrine.

3. The EU legislation regulating the availability of orphan medicinal products could be divided according to its content, purpose and subjectivity into legislation: 1) establishing the incentives and benefits for the development and registration of orphan medicinal products (the subjects – sponsors of orphan medicinal products), 2) aimed at facilitating and (or) speeding up access to already existing orphan medicinal products: via an opportunity for a patient to participate in clinical trials; to receive medicinal products, which are not authorised in the country; in the absence of alternatives – to be treated with investigational medicinal products (the subjects – patients). Therefore, the availability of orphan medicinal products can be defined as the entirety of legal and organizational measures aimed at promoting the development of orphan medicinal products and providing opportunities for use of such medicinal products for treatment on condition of existence of corresponding medical indications. In the absence of competence in the sphere of individual health care, the Community only promotes the availability of orphan medicinal products. Whether properly authorised and/or not authorised orphan medicinal products are available to the patients depends on the scope of each EU Member State’s commitments in this sphere.

4. In Lithuania the regulation of availability of orphan medicinal products is inspired by EU law. The implementation of its provisions on incentives for sponsors of orphan medicinal products in Lithuania is less relevant. It is more important to ensure high quality of health care of patients with rare diseases. Although in our country measures aimed at ensuring that patients with rare diseases are provided with required medicinal products exist, relevant national provisions and procedures based on them have deficiencies, and the legal framework governing these issues is generally rather fragmented, confusing, and incomplete. Therefore, Lithuania's efforts to ensure rare disease patients’ rights in the sphere of health care should be regarded as insufficient, and may be regarded as limiting the availability of medicinal products and the patients’ right to quality health care services, and their equality.

4.1. The treatment with investigational medicinal products of life-threatening diseases of individual patients or groups of patients, who are unable to participate in clinical trials (so-called compassionate use programms), is not regulated.

4.2. The procedures of individual reimbursement of medicinal products intended for treatment of very rare diseases and conditions should be evaluated critically: a) the current procedure is inefficient in cases where the patient requires the medication urgently; b) the decision-making

criteria used by the Commission[848] in order to decide on reimbursement of such medications are not established, thus the procedure is unclear; c) a patient's possibility to submit a request regarding the availability of medicinal products on his/her own initiative is limited; d) the appeal procedure against negative decisions of the Commission regarding reimbursement of medicinal products is not established; e) the definition of the concept of a "very rare disease or condition" is not perfect from the perspective of linguistic structure and thus provides wide possibilities of interpretation and subjective evaluation, which in turn presupposes insufficient legal certainty regarding the implementation of the rights of patients affected by rare diseases.

4.3. The procedures for sending patients abroad for treatment and corresponding funding procedures have deficiencies: a) the criteria for decisions on reimbursement of medical expenses incurred due to consultations (testing) abroad are not established; b) one year – is a too long term of consideration of repeat application; c) the procedures of appeal of the decisions of the Commission are open to partiality.

Recommendations

1. To improve secondary legislation that establishes the procedures of reimbursement of medicinal products intended for treatment of rare diseases and conditions:

1.1. To clarify the legal definition of "rare disease and condition" concept, establishing that a rare disease is a severe, debilitating or life-threatening disease, which affects no more than 5 persons per 10,000 residents. The epidemiological indicator of a "very rare disease or condition" should be set at less than 100 cases per million residents.

1.2. To specify the criteria under which the Commission decides on reimbursement of medicinal products intended for treatment of rare diseases. With a view of ensuring transparency and publicity the minutes of Commission's meetings can be made public specifying the reasons for individual decisions.

1.3. To establish the appeals procedure against the Commission's decisions.

1.4. With a view of ensuring adequate access to expensive medicinal products for each patient to whom they should be administered, along with minimizing the opportunity of wasting limited health care resources to regulate the application of the schemes of risk sharing between the state (patient) and the manufacturer of the medicinal product (e.g. when the medicinal products are reimbursed for all patients in full or together with the manufacturer for the first two or three months, and the possibility of further reimbursement is determined according to each patient's progress, having conducted corresponding tests after a reasonable period of time. In case the effect of the

[848] The decisions regarding reimbursement of medicinal products and medical aid intended for treatment of very rare diseases and conditions, as well as regarding unforeseen cases, are adopted by the commission established by the order of the director of the State Patient under the Ministry of Health.

administered medicinal product is not sufficient, the manufacturer must compensate the state the sums spent to the patient's treatment. If the medicinal product is effective and the effect is long-lasting, the state undertakes to fully reimburse the costs of treatment).

2. The Law on Pharmacy of the Republic of Lithuania must be supplemented with exceptions regarding the use of new investigational medicinal products (after Phase II/III clinical trial) by individual patients and groups of patients with a chronically or seriously debilitating disease or whose disease is considered to be life-threatening, and who can not be treated satisfactorily by an authorised medicinal product and have no possibility to participate in clinical trial of the medicinal product in question. To adopt appropriate secondary legal acts providing criteria that should be satisfied by the medicinal product under investigation and the target patients groups.

3. To develop and adopt a comprehensive and lasting strategy for diagnosis, prevention and treatment of hereditary and non-hereditary rare diseases (National Plan for Rare Diseases). To include in the Plan specific actions on: epidemiological surveillance of rare diseases, neonatal testing, genetic counselling, scientific research of rare diseases, provision of training and information to doctors, rising of public awareness, organization of patients integration, organization of patient support, creation of competence centres for rare diseases, cooperation with other EU Member States in exchanging information on rare diseases. It is necessary to establish a clear timetable for implementing of these actions, management structures, adequate and well-defined funding and regular reporting schedule.

Practical significance of the dissertation. The study conducted in the dissertation as well as the provided conclusions and proposals are important for legislative development and improvement of national legislation regulating the availability of the medicinal products intended for diagnosis, treatment and prevention of rare diseases. The results of the study can be used in forming of the national strategy of improvement of accessibility of orphan medicinal products. The dissertation is also useful for patients, individuals or organizations representing patients, because it provides systematic information on legal regulation of availability of orphan medicinal products in EU and Lithuania and evaluation of this legal framework. The legal preconditions of availability of orphan medicinal products established in the dissertation, as well as their analysis may be used as legal arguments calling for the increase of funding for reimbursement of orphan medicinal products in the budget of Compulsory Health Insurance Fund, or seeking to protect patients' rights by claiming violations of patient's rights to health care, as regards the unavailability of orphan medicinal products.

The dissertation is also important as the contribution of Lithuanian legal science to the recommendation of the Commission of the European Communities (hereinafter – European Commission) and the Council of Ministers to the social scientists to pay more attention to different

issues related to treatment of rare diseases[849]. The results of the study regarding the regulation of availability of orphan medicinal products regulation in Lithuania may be used in Lithuanian 2010 report to the European Commission on initiatives in support of the development, research, and availability to patients of orphan medicinal products.

The study conducted in the dissertation can be of interest to Lithuanian biotechnological or biopharmaceutical scientific and business enterprises, which are potentially capable of developing or co-developing orphan medicinal products, especially in the context of anticipated Santara valley development programme[850].

This dissertation is also socially significant, since it facilitates the debate on the topic of importance of ensuring the availability of treatment of rare diseases to the patients, which so far enjoyed little attention in Lithuania, and the need for better regulation in this area.

[849] Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases. [2009] OL C 151/02.

[850] Health care, medical, educational, academic institutions and businesses located on the territory of Santariskes - Visoriai are united into Vilnius Medical and Pharmaceutical Valley. The goal of development of the Valley – tying health care, education, training and innovative business forces to promote health care development in Lithuania. The establishment of the Valley will allow more effective use of the best Lithuanian medical educational, scientific, practical and pharmaceutical biotechnological entities located in this area, to develop new medicinal products and treatment methods through closer cooperation. [More: Resolution of the Government of the Republic of Lithuania of 24 November 2008 No 1263 "On approval of the development programme of the integrated science, study and business centre (valley) "Santara"". *Official Gazette*. 2008, No.140-5561.].

NAUDOTOS LITERATŪROS SĄRAŠAS

Europos Sąjungos teisės aktai

1. Treaty establishing the European Economic Community, 25 March, 1957.

2. Consolidated Version of the Treaty Establishing the European Community. [2002] OJ C 325.

3. Treaty on the European Union (Maastricht Treaty). [1992] OJ C 191.

4. Treaty of Amsterdam amending the treaty on European Union, the treaties establishing the European Communities and certain related acts. [1997] OJ C 340.

5. Konsoliduota Europos Bendrijos Steigimo Sutartis. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 2-2.

6. Konsoliduota Europos Sąjungos Sutartis. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 2-2.

7. Charter of fundamental rights of the European Union. [2000] OJ C 364.

8. Regulation (EEC) No 1408/71 of the Council of 14 June 1971 on the application of social security schemes to employed persons and their families moving within the community. [1971] OJ L 149.

9. Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. [1993] OJ L 214.

10. Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.

11. Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. [2004] OJ L 136.

12. Europos Parlamento ir Tarybos 2006 m. gruodžio 12 d. reglamentas (EB) Nr. 1901/2006 dėl pediatrijoje vartojamų vaistinių preparatų, iš dalies keičiantis Reglamentą (EEB) Nr. 1768/92, Direktyvą 2001/20/EB, Direktyvą 2001/83/EB ir Reglamentą (EB) Nr. 726/2004. [2006] OL L 378.

13. Commission Regulation (EC) No 847/2000 of 27 April 2000 laying down the provisions for implementation of the criteria for designation of a medicinal product as an orphan medicinal product and definitions of the concepts ,,similar medicinal product“ and ,,clinical superiority“. [2000] OJ L 103.

14. Commission regulation (EC) No 507/2006 of 29 March 2006 on the conditional marketing authorisation for medicinal products for human use falling within the scope of Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council. [2006] OJ L 192.

15. Council Directive of 26 January 1965 on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products (65/65/EEC). [1965] OJ L 22.

16. Council Directive 75/318/EEC of 20 May 1975 on the approximation of the laws of member states relating to analytical, pharmaco-toxicological and clinical standarts and protocols in respect of the testing of proprietary medicinal products. [1975] OJ L 147.

17. Council Directive 87/22/EEC of 22 December 1986 on the approximation of national measures relating to the placing on the market of high-technology medicinal products, particulary those derived from biotechnology. [1987] OJ L 105.

18. Council Directive 89/105/EEC of 21 December 1988 relating to the transparency of measures regulating the pricing of medicinal products for human use and their inclusion in the scope of national health insurance systems. [1989] OJ L 40.

19. Council Directive 89/341/EEC of 3 May 1989 amending Directives 65/65/EEC, 75/318/EEC and 75/319/EEC on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products. [1989] OJ L 142.

20. Commission Directive 91/356/EEC of 13 June 1991 laying down the principles and guidelines of good manufacturing practice for medicinal products for human use. [1991] OJ L 193.

21. Commission Directive 91/507/EEC of 19 July 1991 modifying the Annex to Council Directive 75/318/EEC on the approximation of the laws of Member States relating to analytical, pharmacotoxicological and clinical standards and protocols in respect of the testing of medicinal products. [1991] OJ L 270.

22. Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. [2001] OJ L 121.

23. Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. [2001] OJ L 311.

24. Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. [2004] OJ L 136.

25. Council Decision 94/913/EC of 15 December 1994 adopting a specific programme of research and technological development, including demonstration, in the field of biomedicine and health (1994 to 1998). [1994] OJ L 361.

26. Decision No 2119/98/EC of the European Parliament and of the Council of 24 September 1998 setting up a network for the epidemiological surveillance and control of communicable diseases in the Community. [1998] OJ L 268.

27. Decision No 1295/1999/EC of the European Parliament and of the Council of 29 April 1999 adopting a programme of Community action on rare diseases within the framework for action in the field of public health (1999 to 2003). [1999] OJ L 155.

28. 2006 m. vasario 10 d. Komisijos sprendimas Nr. 2006/89/EB, patvirtinantis 2006 m. darbo planą, skirtą Bendrijos veiksmų visuomenės sveikatos srityje programos (2003–2008 m.) įgyvendinimui, kartu su metine subsidijų darbo programa. [2006] OJ L 042.

29. Commission Communication on the Framework for Action in the Field of Public Health. COM (93) 559 final, 24 November 1993.

30. Communication from the Commission on Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council on orphan medicinal products. [2003] OJ C 178.

31. Tarybos 2009 m. birželio 8 d. rekomendacija dėl retųjų ligų srities veiksmų. [2009] OL C 151/02.

32. Council recommendation on a European action in the field of rare diseases. Commission of the European Communities. Brussels, 11.11.2008. [2008] COM 726.

33. Rare diseases: Europe's challenges. European Commission. Public consultation. Health and Consumer protection directorate-general. Directorate C – Public Health and Risk Assessment. 2007.

34. Council Resolution of 20 December 1995 on orphan drugs. [1995] OJ C 350.

35. Europos Parlamento rezoliucija dėl pacientų mobilumo ir sveikatos priežiūros raidos Europos Sąjungoje. [2006] OJ E 124.

36. Reglamento (EB) Nr. 141/2000 8 straipsnio 1 ir 3 dalių taikymo gairės. Vaistų ir rinkodaros pažymėjimus turinčių retųjų vaistų, kuriems suteikta teisė į rinkos išimtinumą, panašumo vertinimas ir su rinkos išimtinumu susijusių nukrypti leidžiančių nuostatų taikymas. [2008] OL C 242/12.

37. European Commission guideline on aspects of the application of Article 8 of Regulation (EC) No. 141/2000: assessment of similarity and/or clinical superiority of orphan medicinal products when assessing marketing authorizations and variations. December 2004.

38. Europos Parlamento ir Tarybos reglamento (EB) Nr. 141/2000 8 straipsnio 2 dalies taikymo aspektų gairės. Retųjų vaistų rinkos išimtinumo laikotarpio persvarstymas. [2008] OJ C 242/8.

39. Guideline on the format and content of applications for designation as orphan medicinal products and on the transfer of designations from one sponsor to another. Brussels, European Commission Enterpraise directorate – general, 22 July 2004.

40. Opinion of the Economic and Social Committee on the ,,Proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products“. [1999] OJ C 101.

41. Proposal for a European Parliament and Council Regulation on orphan medicinal products. OJ [1998] C 276.

42. Amended proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. [2000] OJ C 177 E/1 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-12]. <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri= OJ:C: 2000: 177E:0001:0010:EN:PDF >.

43. The Fourth Framework Programme of the European Community for research, technological development and demonstration activities (1994–1998). [1994] OJ L 126.

44. Fifth framework programme of the European Community for research, technological development and demonstration activities (1998–2002). [1999] OJ L 26.

45. The Sixth Framework Programme of the European Community for research, technological development (2002–2006). [2002] OJ L 232.

46.The Seventh Framework Programme for research and technological development (2007–2013). [2006] OJ L 54.

47. Commission staff working document on the experience acquired as a result of the application of Regulation (EC) no 141/2000 on orphan medicinal products and account of the public health benefits obtained. Document on the basis of Article 10 of Regulation (EC) no 141/2000. Brussels, Commission of the European communities, 2006 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-14]. <http://ec.europa.eu/enterprise/ pharmaceuticals/orphanmp/doc/orphan_en_06-2006.pdf>.

Norminiai Lietuvos Respublikos teisės aktai

48. Lietuvos Respublikos Konstitucija. *Valstybės žinios.* 1992, Nr. 33-1014.

49. Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 97- 4258.

50. Europos socialinė chartija (pataisyta). *Valstybės žinios.* 2001, Nr. 49-1704.

51. Tarptautinis ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių paktas. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 77-3290.

52. Lietuvos Respublikos Sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 63-1231; 1998, Nr. 112-3099; 2000, Nr. 92-2876; 2004, Nr. 68-2367, 2372; Nr. 171-6309; 2007, Nr. 64-2456; 2008, Nr. 50-1850.

53. Lietuvos Respublikos Sveikatos draudimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 1996, Nr. 55-1287; 2002, Nr. 123-5512; 2005, Nr. 67-2402.

54. Lietuvos Respublikos Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 1996, Nr. 102-2317.

55. Lietuvos Respublikos Biomedicininių tyrimų etikos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2000, Nr. 44-1247.

56. Lietuvos Respublikos Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo pakeitimo įstatymas. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 115-4284

57. Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 78-3056.

58. Lietuvos Respblikos Seimo 2003 m. birželio 5 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos nacionalinės vaistų politikos nuostatų patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2003, Nr. 56-2488.

59. Lietuvos Respublikos Vyriausybės 1998 metų liepos 24 dienos nutarimo Nr. 926 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos nuostatų patvirtinimo. *Valstybės žinios.* 1998, Nr. 67-1961.

60. Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2007 m. rugpjūčio 8 d. Nr. 805 ,,Dėl Vaistinių pasiūlymų tiekti vaistinius preparatus gyventojams per kaimo pirminės sveikatos priežiūros įstaigas vertinimo, pavedimo sutarčių sudarymo ir vaistinių preparatų vežimo tvarkos aprašo patvirtinimo. *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 121-4985.

61. Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2007 m. gruodžio 19 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 1999 m. vasario 13 d. nutarimo Nr. 159 "Dėl Europos Sąjungos teisės aktų ir kitų teisės aktų bei jų projektų vertimo" pakeitimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 136-5524.

62. Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2008 m. balandžio 9 d. nutarimas Nr. 378 Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 1998 m. liepos 24 d. nutarimo Nr. 926 "Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos nuostatų patvirtinimo" pakeitimo. *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 49-1830.

63. Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2008 m. gegužės 28 d. nutarimas Nr. 531 ,,Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2005 m. rugsėjo 13 d. nutarimo Nr. 994 "Dėl ambulatoriniam gydymui skirtų vaistų ir medicinos pagalbos priemonių, kurių įsigijimo išlaidos kompensuojamos iš privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto lėšų, bazinių kainų apskaičiavimo tvarkos aprašo patvirtinimo" pakeitimo". *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 66-2510.

64. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1994 m. gegužės 18 d. įsakymas Nr. 204 Dėl būtinojo asortimento vaistų sąrašo. *Valstybės žinios.* 1994, Nr. 45-845.

65. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1997 m. rugpjūčio 19 d. įsakymas Nr. 444 ,,Dėl vaistų, neįrašytų į Lietuvos Respublikos valstybinį vaistų ir vaistinių medžiagų registrą, pardavimo". *Valstybės žinios.* 1997, Nr. 79-2020.

66. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1998 m. birželio 12 d. įsakymas Nr. 320 „Dėl geros klinikinės praktikos taisyklių". *Valstybės žinios.* 1998, Nr. 57-1608.

67. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1998 m. lapkričio 10 d. įsaymas Nr. 648 ,,Dėl Labdaros būdu į Lietuvos Respubliką įvežamų vaistų, medicinos pagalbos priemonių, asmens higienos priemonių, medicininės paskirties baldų ir maisto produktų nekenksmingumo ir kokybės reikalavimų bei kontrolės tvarkos patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 1998, Nr. 99-2755.

68. Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministro 1999 m. sausio 8 d. įsakymas Nr. 11 ,,Dėl SAM 1998 03 20 įsakymo Nr. 151 pakeitimo". *Valstybės žinios*. 1999, Nr. 7-159.

69. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2000 m. sausio 28 d. įsakymas Nr. 49 ,,Dėl kompensuojamųjų vaistų sąrašų patvirtinimo". *Valstybės žinios*. 2000, Nr. 10-253.

70. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2000 m. liepos 26 d. įsakymas Nr. 428 ,,Dėl centralizuotai perkamų vaistų kompensavimo tvarkos". *Valstybės žinios.* 2000, Nr. 65-1974; 2001, Nr. 22-745.

71. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymas Nr. 478 ,,Dėl pacientų nukreipimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis užsienyje ir išlaidų apmokėjimo tvarkos patvirtinimo". *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 78-2735; 2006, Nr. 5-182.

72. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymas Nr. 479 ,,Dėl komisijos sprendimams dėl pacientų konsultacijų, ištyrimo, gydymo užsienyje priimti nuostatų patvirtinimo". *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 78-2736.

73. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 27 d. įsakymas Nr. 508 ,,Dėl vaistų pakuotės ženklinimo išimčių taikymo ir tvirtinimo tvarkos patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2001, Nr. 85-2995.

74. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. gruodžio 22 d. įsakymas Nr. 669 ,,Dėl Bendrųjų vaistinių preparatų registravimo taisyklių patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 8-297.

75. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. vasario 14 d. įsakymas Nr. 85 ,,Dėl sutarčių dėl lėšų kompensuojamiesiems vaistams apimčių, nustatomų asmens sveikatos priežiūros įstaigoms, sudarymo ir vykdymo tvarkos" . *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 18-740.

76. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. kovo 21 d. įsakymas Nr. 143 ,, Dėl mokesčio dydžio nustatymo už valstybinėje vaistų kontrolės tarnyboje prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos atliekamą vaistų ekspertizę ir registraciją". *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 31-1184.

77. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. spalio 22 d. įsakymas Nr. 521 ,,Dėl mokesčio dydžio nustatymo už Valstybinėje vaistų kontrolės tarnyboje prie Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministerijos atliekamą vaistų ekspertizę ir registraciją“. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 104-4676.

78. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2002 m. gruodžio 24 d. įsakymas Nr. 684 „Dėl mokesčio dydžio nustatymo už Valstybinėje vaistų kontrolės tarnyboje prie Lietuvos Respublikos Sveikatos apsaugos ministerijos atliekamą labai retoms ligoms gydyti vartojamų (našlaitėlinių) vaistų ir retai vartojamų vaistų ekspertizę ir registraciją. *Valstybės žinios.* 2000, Nr. 4-132.

79. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2003 m. sausio 20 d. įsakymas Nr. V-26 ,,Dėl vaistų farmakoekonominės analizės rekomendacijų patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2003, Nr. 13-532.

80. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2003 m. liepos 23 d. įsakymas ,,Dėl riboto poreikio vaistų“. *Valstybės žinios.* 2003, Nr. 78-3578.

81. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2004 m. kovo 10 d. įsakymas Nr. V-118 ,,Dėl Papildomų dokumentų importuojant paramai skirtus vaistus ir medicinos gaminius išdavimo tvarkos patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 41-1359.

82. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2004 m. rugsėjo 14 d. įsakymas Nr. V-642 ,,Dėl sveikatos priežiūros kokybės užtikrinimo 2005–2010 m. programos patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 144-5268.

83. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m. rugpjūčio 19 d. įsakymas Nr. V-663 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymo Nr. 478 "Dėl pacientų nukreipimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis užsienyje tvarkos patvirtinimo" pakeitimo”. *Valstybės žinios*. 2005, Nr. 104-3857.

84. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2006 m. sausio 6 d. įsakymas Nr. V-20 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2001 m. rugsėjo 6 d. įsakymo Nr. 478 "Dėl Pacientų siuntimo konsultuotis (išsitirti) ir/ar gydytis Europos Sąjungos ir kitose šalyse tvarkos aprašo patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2006, Nr. 5-182.

85. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2006 m. gegužės 31 d. įsakymas Nr. V-435 „Dėl Leidimų atlikti klinikinius vaistinių preparatų tyrimus išdavimo, tyrimų atlikimo ir kontrolės tvarkos aprašo patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2006. Nr. 62-2292.

86. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2006 m. lapkričio 23 d. įsakymas Nr. V-975 ,,Dėl Vaistinių preparatų įvežimo į Lietuvos Respubliką ir išvežimo iš jos, gavimo ar siuntimo paštu fizinio asmens individualioms reikmėms taisyklių patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 131-4969.

87. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. kovo 2 d. įsakymas Nr. V-136 ,,Dėl Centralizuotai perkamų vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių sąrašo sudarymo tvarkos aprašo ir Centralizuotai perkamų

vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių sąrašo sudarymo komisijos darbo reglamento tvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 30-1107.

88. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. balandžio 5 d. įsakymas Nr. V-233 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m. gegužės 9 d. įsakymo Nr. V-374 "Dėl Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklių patvirtinimo" pakeitimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 42-1598.

89. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. liepos 10 d. įsakymas Nr. V-596 ,,Dėl Vaistinių preparatų rinkodaros teisės suteikimo taisyklių, Supaprastintos homeopatinių vaistinių preparatų registravimo procedūros aprašo, Supaprastintos tradicinių augalinių vaistinių preparatų registravimo procedūros aprašo, Vaistinių preparatų rinkodaros teisės suteikimo taikant savitarpio pripažinimo ir decentralizuotą procedūras aprašo, Vaistinių preparatų analitinių, farmakotoksikologinių ir klinikinių tyrimų standartų ir protokolų, Vaistinių preparatų pakuotės ženklinimo ir pakuotės lapelio reikalavimų aprašo, Pagalbinių medžiagų, kurios turi būti nurodomos ant vaistinio preparato pakuotės ir pakuotės lapelyje, sąrašo, Vaistinio preparato rinkodaros teisės perleidimo kitam asmeniui tvarkos aprašo patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 78-3176.

90. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. rugpjūčio 31 d. įsakymas Nr. V-711 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2004 m. rugsėjo 14 d. įsakymo Nr. V-642 "Dėl Sveikatos priežiūros kokybės užtikrinimo 2005–2010 m. programos patvirtinimo" pakeitimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 108-4429.

91. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. spalio 23 d. įsakymu Nr. V-864 ,,Dėl piliečių ir kitų asmenų prašymų ir skundų nagrinėjimo bei piliečių ir kitų asmenų priėmimo Sveikatos apsaugos ministerijoje tvarkos nuostatų patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 112-4579.

92. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. gruodžio 29 d. įsakymas Nr. V-1080 ,,Dėl Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų tiekimo rinkai taisyklių patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 4-140.

93. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2008 m. balandžio 30 d. įsakymas Nr. V-401 ,,Dėl Derybų dėl vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių, esančių kompensuojamųjų vaistinių preparatų arba medicinos pagalbos priemonių kainynuose arba siūlomų į juos įrašyti, kainų nustatymo tvarkos aprašo patvirtinimo". *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 54-2009.

94. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2008 m. gegužės 20 d. įsakymas Nr. V-477 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2004 m. kovo 10 d. įsakymo Nr. V-118 "Dėl Papildomų dokumentų importuojant paramai skirtus vaistus ir medicinos gaminius išdavimo tvarkos patvirtinimo" pakeitimo". *Valstybės žinios.* 2008, Nr. 59-2267.

95. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2009 m. vasario 2 d. įsakymas Nr. V-52 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2000 m. sausio 28 d. įsakymo Nr. 49 "Dėl kompensuojamųjų vaistų sąrašų patvirtinimo" pakeitimo". *Valstybės žinios*. 2009, Nr. 17-675.

96. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2009 m. kovo 20 d. įsakymas Nr. V-198 ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. kovo 2 d. įsakymo Nr. V-154 "Dėl Centralizuotai perkamų vaistinių preparatų ir medicinos pagalbos priemonių sąrašo sudarymo komisijos sudarymo" pakeitimo“. *Valstybės žinios.* 2009, Nr. 36-1409.

97. Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2009 m. liepos 10 d. įsakymas Nr. V-572 ,,Dėl Vaistų prieinamumo gerinimo ir jų kainų mažinimo priemonių plano patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2009, Nr. 87-3715.

98. Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2003 metų kovo 18 dienos Sveikatos priežiūros įstaigų restruktūrizavimo strategija. *Valstybės žinios.* 2003, Nr. 28-1147.

99. Valstybinės ligonių kasos prie SAM direktoriaus 2003 m. gegužės 22 d.įsakymas Nr. 1K-47 ,,Dėl piliečių ir kitų asmenų prašymų ir skundų nagrinėjimo ir piliečių bei kitų asmenų priėmimo Valstybinėje ligonių kasoje tvarkos nuostatų patvirtinimo” [interaktyvus] [2009-07-15]. <http://www.vlk.lt/vlk/orto/files/VLKisakymas_1K-47(2003).pdf>.

100. Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymas Nr. 1K-149 ,,Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“. *Valstybės žinios.* 2005, Nr. 139-5037.

101. Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2008 m. birželio 11 d. įsakymas Nr. 1K-93 ,,Dėl Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymo Nr. 1K-149 "Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo" pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2008, Nr. 68-2612.

102. Privalomojo sveikatos draudimo tarybos 2001 m. spalio 24 d. nutarimas Nr. 5/5 ,,Dėl medikamentų įtraukimo į kompensuojamųjų vaistų sąrašus reikalavimų“. *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 94-3333.

Lietuvos Respublikos teisės aktų projektai

103. Lietuvos Respublikos Farmacijos įstatymo 8 straipsnio papildymo įstatymo projekto aiškinamasis raštas. Pateikė: Seimo narys A.Sadeckas. 2007-07-24 XP-2430.

104. Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo pakeitimo įstatymo projektas Nr. XP-2817.

Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo nutarimai

105. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 1997 m. kovo 12 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos valstybinio socialinio draudimo įstatymo 5 straipsnio, Lietuvos Respublikos valstybinių socialinio draudimo pensijų įstatymo 8 straipsnio antrosios dalies 1 punkto ir Lietuvos Respublikos Vyriausybės 1996 m. sausio 26 d. nutarimo Nr.

142 "Dėl Lietuvos Respublikos 1995 m. vasario 20 d. nutarimo Nr. 266 "Dėl Lietuvos Respublikos valstybinio socialinio draudimo fondo biudžeto sudarymo ir vykdymo taisyklių patvirtinimo" dalinio pakeitimo" 1 punkto atitikimo Lietuvos Respublikos Konstitucijai". *Valstybės žinios.* 1997, Nr. 23-546.

106. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2002 m. kovo 14 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos farmacinės veiklos įstatymo 11 straipsnio 2 dalies atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 28-1003.

107. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2002 m. sausio 14 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos 2001 metų valstybės biudžeto ir savivaldybių biudžetų finansinių rodiklių patvirtinimo įstatymo (2000 m. gruodžio 19 d. redakcija), Lietuvos Respublikos savivaldybių biudžetų pajamų dydį ir išlyginimą lemiančių rodiklių tvirtinimo 2001, 2002 ir 2003 metams įstatymo ir Lietuvos Respublikos žemės ūkio ekonominių santykių valstybinio reguliavimo įstatymo 16 straipsnio atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 5-186.

108. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2002 m. liepos 11 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymo 39 straipsnio, Lietuvos Respublikos mokslo ir švietimo ilgalaikio finansavimo įstatymo 1, 2 ir 3 straipsnių, Lietuvos Respublikos biudžeto sandaros įstatymo 18 straipsnio 2 dalies ir Lietuvos Respublikos Seimo statuto 172 straipsnio 1 dalies atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai". *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 72-3080.

109. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2004 m. sausio 26 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos alkoholio kontrolės įstatymo 1 straipsnio 4 dalies (1997 m. liepos 2 d. redakcija), 2 straipsnio 1 dalies (1995 m. balandžio 18 d. redakcija), 3 straipsnio 1 dalies 2 punkto (1995 m. balandžio 18 d. redakcija), 4 straipsnio 2 dalies (1998 m. gruodžio 10 d. redakcija), 13 straipsnio (2000 m. liepos 18 d. redakcija), 30 straipsnio 1 dalies (1997 m. liepos 2 d. redakcija) bei 44 straipsnio 4 dalies (2002 m. birželio 20 d. redakcija) ir Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2001 m. sausio 22 d. nutarimu Nr. 67 "Dėl alkoholio produktų gamybos licencijavimo taisyklių patvirtinimo" patvirtintų alkoholio produktų gamybos licencijavimo taisyklių 7 bei 9 punktų (2001 m. sausio 22 d. redakcija) atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai. *Valstybės žinios.* 2004, Nr. 15-465.

110. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2005 m. vasario 7 d. nutarimas ,,Dėl Lietuvos Respublikos Vyriausybės 2000 m. gegužės 8 d. nutarimu Nr. 506 "Dėl Nelaimingų atsitikimų darbe ir profesinių ligų socialinio draudimo išmokų nuostatų patvirtinimo" patvirtintų nelaimingų atsitikimų darbe ir profesinių ligų socialinio draudimo išmokų nuostatų 37 punkto (2000 m. gegužės 8 d. redakcija) atitikties Lietuvos Respublikos nelaimingų atsitikimų darbe ir profesinių ligų socialinio draudimo įstatymo 29 straipsnio 1 daliai (1999 m. gruodžio 23 d., 2001 m. liepos 5 d. redakcijos). *Valstybės žinios.* 2005, Nr. 19-623.

111. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2006 m. kovo 28 d. nutarimas ,, Dėl Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo įstatymo 62 straipsnio 1 dalies 2 punkto, 69 straipsnio 4 dalies (1996 m. liepos 11 d. redakcija), Lietuvos Respublikos teismų įstatymo 11 straipsnio 3 dalies (2002 m. sausio 24 d. redakcija), 96 straipsnio 2 dalies (2002 m. sausio 24 d. redakcija) atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai. *Valstybės žinios.* 2006, Nr. 36-1292.

112. Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo 2007 m. birželio 7 d. nutarmas ,,Dėl Lietuvos Respublikos civilinio kodekso 3.194 straipsnio 3 dalies (2004 m. lapkričio 11 d. redakcija) atitikties Lietuvos Respublikos Konstitucijai“. *Valstybės žinios.* 2007, Nr. 65-2529.

Europos Teisingumo Teismo sprendimai

113. Byla Case C-227/82, *Van Bennekom. E.C.R.* 1983, p. 3883.

114. Judgement of the Court of 21 March 1991. Criminal proceedings Jean-Marie Delattre. Reference for preliminary ruling. Tribunal de grande instance de Nice-France. Interpretation of Articles 30 and 36 the EEC Treaty – Concepts of ,,disease“ or ,,illness“ and ,,medicinal product“ – Pharmacists‘ monopoly of the right to sell certain products. Case C-369/88 of 21 March 1991. *European Court Reports.* 1991, p. I-01487.

115. Byla C-158/96 *Raymond Kohll v Union des caisses de maladie.* [1998] ECR I-1931.

116. Byla C-120/95 *Nicolas Decker v Caisse de maladie des employés privés.* [1998] ECR I-1831.

117. Byla C-157-99 *B. S. M. Garaets-Smits v Stichting Ziekenfonds VGZ and H. T. M. Peerbooms v Stichting CZ Groep Zorgverzekeringen.* [2001] ECR I-5473.

118. Byla C-368/98 *Abdon Vanbraekel and others v Alliance nationale des mutualités chrétiennes*. [2001] ECR I-05363.

119. Byla C-385/99 *V. G. Müller-Faure v Onderlinge Waarborgmaatschappij OZ Zorgverzekeringen UA and E. E. M. va Riet v Onderlinge Waarborgmaatschappij ZAO Zorgverzekeringen.* [2003] ECR I-4509.

120. Byla C-372/04 *Y. Watts v Bedford Primary Care Trust and Secretary of State for Health* [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-14]. <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=CELEX:62004J0372: EN:HTML>.

Nacionalinių teismų praktika

121. Lietuvos Aukščiausiojo Teismo 2002 m. rugsėjo 30 d. nutartis civilinėje byloje *E. Lukoševičius v. VĮ "Visagino pirminės sveikatos priežiūros centras"* Nr. 3K-3-1108/2002 m. [interaktyvus] [žiūrėta 2007-09-25]. <http://www.lat.lt/3_nutartys/senos/nutartis.aspx?id=9262>.

122. Lietuvos Aukščiausiojo Teismo 2004 m. sausio 13 d. nutartis „Dėl valstybės laiduotos nemokamos sveikatos priežiūros paslaugų teikimo sistemoje tarp paciento ir sveikatos priežiūros įstaigos susiklostančių teisinių santykių pobūdžio ir galimumo nutraukti tokių paslaugų teikimą“. *Teismų praktika.* 2004, Nr. 21.

123. Lietuvos Vyriausiojo administracinio teismo 2002 m.spalio 15 d. sprendimas administracinėje byloje I(11)-18/2002. *Valstybės žinios.* 2002, Nr. 101-4517.

124. *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, no. 445 F.3d 470, D.C. Cir. 2006; *rev'd*, no. 495 F.3d 695, D.C. Cir 2007.

125. *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, no. 495 F.3d 695, 697, D.C. Cir. 2007 (en banc), *cert. denied*, 128 S. Ct. 1069 (2008).

126. *Ann Marie Rogers v Swindon Primary Care Trust & Secretary of State for Health* [2006] EWCA Civ 392. Judiciary of England and Wales. Court of Appeal (Civil Division). 12 April 2006 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-02]. <http://www.judiciary.gov.uk/judgment_guidance/ judgments/summaries/ annmarie_ rogers.htm>.

JAV teisės aktai, jų projektai

127. Orphan Drug Act of 1983. *Pub. L.* 1983, No. 97-414.

128. Health Promotion and Disease Prevention Amendments of 1984. *Pub. L.* 1984, No. 98-551.

129. Orphan Drug Amendments of 1985. *Pub. L.* 1985, No. 99-91.

130. Orphan Drug Amendments of 1988. *Pub. L.* 1988, No. 100-290.

131. Food and Drug Administration Modernization Act of 1997. *Pub. L.* 1997, No. 105-115.

132. Rare Disease Orphan Product Development Act of 2002. *Pub. L.* 2002, No. 107-281.

133. Rare Diseases Act of 2002. *Pub. L.* 2002, No.107-280.

134. Expanded access investigational drugs for treatment use. Final Rules. *Federal Register* [interaktyvus]. 2009, 74(155) [žiūrėta 2009-08-14]. <http://edocket.access.gpo.gov/ 2009/pdf/E9-19005.pdf>.

135. Charging for investigational drugs under and investigational new drug application; Final Rules. *Federal Register* [interaktyvus]. 2009, 74(155) [žiūrėta 2009-08-14]. <http://edocket.access.gpo. gov/2009/pdf/E9-19004.pdf>.

136. Holtzman bill. [1980] H.R. 7089.

137. Waxman Bill. [1981] HR 5238.

Specialioji literatūra (lietuvių kalba)

138. ANDRULIENĖ, A., BALTUTYTĖ, E., BIRMONTIENĖ, T., *ir kt. Žmogaus teisės. Diskriminacijos draudimas Lietuvos ir tarptautinėje teisėje.* Vilnius: Lietuvos žmogaus teisių centras, 2004.

139. ARLAUSKAS, S. *Turiningieji teisės pagrindai. Pagrindinių subjektinių teisių teorijos metmenys*. Vilnius: Mykolo Romerio universitetas, 2004.

140. BIELIAUSKAITĖ, J. Solidarumo vaidmuo socialinėje teisinėje valstybėje. *Socialinių mokslų studijos*. 2009, 1(1): 79–94.
141. BIELIAUSKAITĖ, J. Socialinio teisingumo principų sistema šiuolaikinėje Vakarų teisės tradicijoje. *Socialinių mokslų studijos*. 2009, 2(2): 119-135.

142. BIRMONTIENĖ, T. The influence of the rulings of the Constitutional Court on the development of health law in Lithuania. *European Journal of Health Law*. 2007, 14: 321–333.

143. BIRMONTIENĖ, T. Šiuolaikinės žmogaus teisių konstitucinės doktrinos tendencijos. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2007, 1(5): 202–220.

144. BIRMONTIENĖ, T. Žmogaus teisių ir konstitucinių teisių santykis. In *Žmogaus teisių konstitucinė samprata. In Lietuvos konstitucinė teisė: raida, institucijos, teisių apsauga, savivalda.* Autorių kolektyvas. Vilnius: Mykolo Romerio universiteto Leidybos centras, 2007.

145. BIRMONTIENĖ, T. Social rights in the jurisprudence of the Constitutional Court of Lithuania. *Jurisprudencija*. 2008, 9(111): 7–19.

146. *Europos Sąjungos teisė.* Seminarai. Vilnius: Teisinės informacijos centras, 2006.

147. GRABAUSKAS,V. *Lietuvos sveikatos politika XXI amžiuje.* III nacionalinė sveikatos politikos konferencija. Vilnius, 2000.

148. FURMONAVIČIUS, T. Gyvenimo kokybės tyrimai medicinoje. *Biomedicina*. 2001, 1(2): 128–132.

149. JAKUTYTĖ, S. Resursų skirstymas [interaktyvus] [žiūrėta 2008-08-19]. <http://bioetika.sam.lt/ index.php?-1414754954>.

150. JAKUTYTĖ, S. Teisingumo teorijos taikymas sveikatos priežiūroje: galimybės ir ribos. *Filosofija, sociologija.* 2001, 2: 3–10.

151. JAKUŠOVAITĖ, I. Etinės ir teisinės vertybės medicinoje globalizacijos kontekste. In *Globalizacijja: taikos kultūra, žinių visuomenė, tolerancija.* Monografija (sud. dr. J. Morkūnienė). Vilnius: Lietuvos Teisės Universitetas, 2003.

152. JAKUŠOVAITĖ, I., DARULIS, Ž. Medicinos ir sveikatos priežiūros tikslai ir vertybės. *Medicina*. 2004, 40(9): 825–832.

153. JANKAUSKIENĖ, D., PEČIŪRA, R. *Sveikatos politika ir valdymas*. Vilnius: MRU, 2007.

154. JUNEVIČIUS, A., SCHÄFER, H. M. *Europos Bendrijos bendrosios rinkos teisė*. Kaunas: Aušra, 2005.

155. JURGELEVIČIUS, V., KUČINSKAS, V., BENIUŠIENĖ E. Prenatalinė molekulinė genetinė paveldimų ligų diagnostika: rezultatai ir perspektyvos. *Laboratorinė medicina*. 2001, 3(11): 35–41.

156. JUŠKEVIČIUS, J. Teisės principų taikymas norminant sveikatos priežiūros sritį. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 7–17.

157. KUTKAUSKIENĖ, J. Paciento teisių ir pareigų teisinio reglamentavimo Lietuvoje problematika ir raidos tendencijos. *Jurisprudencija.* 2008, 12(114): 82–91.

158. KUTKAUSKIENĖ, J., RUDZINSKAS, A. Informuoto paciento sutikimas: pacientui teikiamos informacijos teisinio įvertinimo problemos. *Socialinių mokslų studijos*. 2009, 2(2): 321–338.

159. KŪRIS, E. Konstitucija, konstitucinė doktrina ir Konstitucinio Teismo diskrecija. Baltijos ir Skandinavijos šalių konferencija "Konstitucijos aiškinimas ir tiesioginis taikymas", Vilnius, 2002 m. kovo 15–16 d. [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-23]. <http://www.lrkt.lt/PKonferencijose/12.pdf >.

160. LAPINSKAS K. Asmens socialinių teisių apsaugos klausimai Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo jurisprudencijoje. *Konstitucinė jurisprudencija*. 2006, 4: 355–370.

161. PATAPAS, A. Moralės objektyvumo problema G. Moore‘o, J. Mackie ir J. Rawlso filosofijoje. Daktaro disertacija. Vilnius, 2001.

162. PRANEVIČIENĖ, B. Teisėtų lūkesčių principo samprata ir teisėtų lūkesčių apsaugos modeliai Europos Sąjungos administracinėje erdvėje. *Jurisprudencija*. 2007, 6(96): 43–48.

163. RAWLS, J. *Politinis liberalizmas.* Vilnius: Eugrimas, 2002.

164. STAKIŠAITIS, D., DANILA, E., RAMANAUSKAS, J., *ir kt. Gera klinikinė praktika*. Metodinės rekomendacijos tyrėjui. Vilnius: 2005.

165. STAKIŠAITIS, D. Vaikų gydymo vaistais teisinio reglamentavimo aspektai. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 36–43.

166. ŠPOKIENĖ, I., STAKIŠAITIS, D., JUŠKEVIČIUS, J., VALUCKAS, K. V., BAIARDI, P. Access to information supporting availability of medicines for patients suffering from rare diseases looking for possible treatments: the EuOrphan Service. *Medicina.* 2007, 43(6): 441–446.

167. ŠPOKIENĖ, I. Retųjų vaistų prieinamumo problema įgyvendinant teisę į sveikatos priežiūrą. *Jurisprudencija*. 2008,12(114): 64–72.

168. ŠPOKIENĖ, I. Legal assessment of current situation on orphan patients in Lithuania. *Medicina.* 2008, 44(8): 571–576.

169. TUMIENĖ, B., KUČINSKAS, V. Retosios ligos Lietuvoje ir Europoje. *Gydymo menas.* 2008, 11/12: 25–27.

170. VAIŠVILA, A. *Teisės teorija*. Vilnius: Justitia, 2005.

171. WULFF, H. R., PEDERSON, S. A., ROSENBERG, R. *Medicinos filosofija*. Vilnius: Charibdė, 2002.

172. ZAMARYTĖ, K. Civilinės atsakomybės už klinikinių vaistinių preparatų tyrimų metu tiriamajam asmeniui padarytą žalą probleminiai aspektai. *Jurisprudencija.* 2008, 12(114): 52–63.

173. ŽILYS, J. Konstitucijos socialinės prasmės. *Konstitucinė jurisprudencija.* 2006, 4: 310–324.

174. ŽILYS, J. Socialinė valstybė konstitucinėje teisėje. *Jurisprudencija.* 2006, 12(90): 15–23.

Specialioji literatūra (anglų kalba)

175. AYLWARD, B., KANE, M., BASTON, A., SCOTT, R. A framework for the evaluation of vaccines for use in expanded programme on imunization. *Vaccine.* 1994, 12: 1155–1159.

176. AYMÉ, S., KOLE, A., GROFT, S. Empowerment of patients: lessons from the rare disease community. *Lancet.* 2008, 371: 2048–2051.

177. ARONSON, J. Rare diseases and orphan drugs. *Br J Clin Pharmacol* [interaktyvus]. 2006, 61(3): 243–245 [žiūrėta 2007-03-01]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/ articlerender.fcgi?artid =1885017>.

178. ATAVILLA, A. Clinical research with children: the European legal framework and its implementation in French and Italian law. *European Journal of Health Law*. 2008,15: 109–125.

179. BENDER, S., FLICKER, L., RHODES, R. Access for the terminally ill to experimental medical innovations: a three-pronged threat. *The American Journal of Bioethics.* 2007, 7: 3–6.

180. BOURG, E., de CRÉMIERS, F. Compassionate use and early access to the market in the USA and EU. *The Regulatory Affairs Journal*. 2000, 11(9): 640–645.

181. BROWN-GROSSMAN, D. The Orphan Drug Act: adoption or foster care? *Food Drug Cosmetic Law Journal.* 1984, 39: 128–151.

182. BUCKLEY, B. M. Cinical trials of orphan medicines. *Lancet.* 2008, 371: 2051–2055.

183. BURLS, A., AUSTIN, D., MOORE, D. Commissioning for rare diseases: view from the frontline. *BMJ.* 2005, 331: 1019–1021.

184. CAMPOS-CASTELLO, J. Orphan drugs and orphan diseases. *Rev Neurol.* 2001, 33(3): 216–220.

185. CAPLAN, A. Is it sound public policy to let the terminally ill access experimental medical innovations? *The American Journal of Bioethics.* 2007, 7: 1–3.

186. CASKEY, T. C. The drug development crisis: efficiency and safety. *The Annual Review of Medicine.* February 2007, 58: 1–16.

187. CHEUNG, R. Y., COHEN, J. C., ILINGWORTH, P. Orphan Drug Policies: Implications for United States, Canada and Developing Countries. *Health Law Journal.* 2004, 12: 183–200.

188. CHIN, B. R. One last chance: *Abigail Alliance v. von Eschenbach* and the right to access experimental drugs. Note. University of California, Davis [interaktyvus]. 2008, 41: 1969–2000 [žiūrėta 2009-05-23]. <http://lawreview.law.ucdavis.edu/issues/ 41-5_Chin.pdf>.

189. COSTILLE, M.B. Les Medicaments Orphelins a l'heure de l'Europe: une longue histoire. These pour le diplome d'etat docteur en pharmacie [interaktyvus]. Lyon : Universite Claude Bernard – Lyon I, Faculte de pharmacie, Institut des sciences pharmaceutiques et biologiques, 2000 [žiūrėta 2007-12-30]. <http://ispb.univ-lyon1.fr/theses/these_integ/castilleb/thesecostille.pdf>.

190. DEAR, J. W., LILITKARNTAKUL, P., WEBB, D. J. Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. *British Journal of Clinical Pharmacology* [interaktyvus]. 2006, 62(3): 264–271 [žiūrėta 20008-07-10]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/articlerender.fcgi?artid= 1885144>.

191. De BARROS, C. M. T., PAPOILA, A. L. Therapeutic profile of orphan medicines. *Pharmacoepidemiol Drug Saf.* 2007, 16(4): 435-440.

192. De LUCA, G. Orphan drugs and patents: an attempt to clarify the relationship existing between two systems. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 63–68.

193. De PAULSEN, N. Abandonment or Access: Canada's Orphan Drug Policy. Working paper. [interaktyvus]. University of Toronto Health Law and Policy Group. 2004 [žiūrėta 2008-10-13]. <http://www.law.utoronto.ca/healthlaw/docs/ student_dePaulson-OrphanDrugs.pdf>.

194. DELKESKAMP-HAYES, C. *Implementing health care rights versus imposing health care cultures.* (ed. Engerhardt H.T.). Global Bioethics: The Collapse of Consensus.

195. DEPOORTEE, E., TEGROS, D., TOREREELE, E. *Building a conceptual framework to identify and characterize neglected diseases.* DND Working Group Expert Paper. Geneva, 2001.

196. DiMASI, J., CAGLARCAN, E., WOOD-ARMANY, M. Emerging role of pharmacoeconomics in the research and development decision-making process. *Pharmacoeconomics.* 2001, 19(7): 753–766.

197. Di MASI, J., HANSEN, R. W., GRABOWSKI, H. G. The price of innovation: new estimates of drug development costs. *Journal of Health Economics.* 2003, 22: 151–185.

198. DOLAN, P., SHAW, R., TSUCHIYA, A., WILLIAMS, A. QALY maximisation and people‘s preferences: a methodological review of the literature. *Health Econ.* 2005, 14: 197–198.

199. DRUMMOND, M. F., WILSON, D. A., KANAVOS, P., *et al.* Assesing the economic challenges posed by orphan drugs. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*. 2007, 23(11): 36–42.

200. DRUMMOND, M. F., OBRIEN, B., STODDART, G., TORRANCE, G. W. *Methods for the economic evaluation of health care programmes*. 3rd ed. Oxford: Oxford University Press. 2005.

201. DURKHEIM, E. *O razdielieniji obščiestviennogo truda*. Metod sociologii. Moskva: Nauka, 1991.

202. *Economic, social and cultural rights* (ed. A. Eide, C. Krause, A. Rosas). Dordrecht/Boston/London: Martinus Nijhoff Publishers, 2001.

203. ERNST, E., BARNES, J., ABBOT, C. N., ARMSTRONG, N. C., *et. al.* The Di Bella story: emotion as oposed to fact. *Focus Altern Complement Ther.* 1998, 3: 143.

204. FEHR, A., THURMANN, P., RAZUM, O. Drug development for neglected diseases: a public health challenge. *Tropical Medicine and International Health.* 2006, 11(9): 1335–1338.

205. FERNANDEZ, C. V. Our moral obligations in caring for patients with orphan cancers. *CMAJ.* 2007, 176(3).

206. GERICKE, C. A., RIESBERG, A., BUSSE, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics.* 2005, 31: 164–168.

207. GEVERS, J. K. M. Medical research involving children. *European Journal of Health Law*. 2008, 15(2): 103–108.

208. GIESEN, D. A Rigt to healtcare? A comparative perspective. In *Justice and healthcare: a comparative perspectives* (ed. A.Grubb, M Mehlman). Chichester: Wiley and Sons, 1996.

209. GROSS, A. Orphan drugs in Asia. *Pacific Bridge Medical* [interaktyvus]. 2006 September/October [žiūrėta 2008-01-15]. <http://www.pacificbridgemedical.com/publications/html/AsiaOrphan DrugsSept 2006.htm>.

210. HANSEN, B. Perspective from the European Commision. *Pharmaceuticals Policy and Law*. 2001, 3: 43–45.

211. HARTMAN, H., HARTMAN-VAREILLES, F. Recent developments in European pharmaceutical law 2004: a legal point of view. *Drug Information Journal.* 2005, 39(2): 193–207.

212. HAFFNER, M. E. Rare diseases and orphan drugs – the US experience. *Pharmaceuticals Policy and Law*. 2001, 3: 37–40.

213. HAFFNER, M. E. Adopting orphan drugs: two dozen years of treating rare diseases [interaktyvus]. *N Engl J Med.* 2006, 35: 445–447 [žiūrėta 2007-07-15]. <http://content.nejm.org/ cgi/content/full/354/5/445>

214. HAFFNER, M. E., WHITLEY, J., MOSES, M. Two decades of orphan product development. *Nat Rev Drug Discov*. 2002, No. 1.

215. HENKEL, J. How TV launched the Orphan Drug Law. *FDA Consumer* [interaktyvus]. 1999, 33(3): 34 [žiūrėta 2008-01-15 d.]. <http://www.fda.gov/fdac/features/1999/399_orph.html#tv>.

216. HERVEY, T. K., McHALE, J. V. *Health Law and the European Union*. Cambridge: Cambridge university press, 2004.

217. HOLLIS, A. Drugs for rare diseases: paying for inovation. Calgary, Canada: University of Calgary, November 2005, p. 1–16 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-07-01]. <http://www.irpp.org/books/archive/IRPP-JDI/hollis.pdf>.

218. HOLZMAN, N. A. Rare diseases, common problems: recognition and management. *Paediatrics.* 1978, 62(6): 1056–1060.

219. HUGES, D. A. Orphan drug revisited: author‘s respons. *QJM*. 2006, 99(5): 350–351.

220. HUGES, D. A., TUNNAGE, B., YEO, St. T. Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding? *Q J Med*. 2005, 98: 829–836.

221. HUNT, P. Neglected diseases, social justice and human rigts: some preliminary observations. Health and Human Rights working paper series. 2003.

222. HUNT, P. Neglected diseases – a human rights perspective. Intensified control of neglected diseases. Report of an international workshop [interaktyvus]. Berlin, 10–12 December 2003. [žiūrėta 2008-09-12]. <http://whqlibdoc.who.int/hq/2004/WHO_CDS_CPE_CEE_2004.45.pdf>.

223. HUTTON, J., McGRATH, C., FRYBOURG, J. M. Framework for describing and classifying decision-making systems using technology assessment to determine the reimbursement of health technologies. *International Journal of Technology Assessment in Health Care.* 2006, 22: 10–18.

224. IRIBARNE, A. Orphan diseases and adoptive initiatives. *JAMA*. 2003, 290(1): 116.

225. JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Disappointing biotech. *BMJ*. 2005, 331: 895–897.

226. JOPPI, R., BERTELE, V, GARRATTINI, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology*. 2006, 61: 355–360.

227. KENNEY, P. J. The Orphan Drug Act – is it a barrier to innovation? Does it create unintended windfalls? *Food Drug Cosmetic Law Journal*. 1998, 43: 667–679.

228. KNIGHT, A. W., SENIOR, T. P. The common problem of rare disease in general practice. *Med J Aust.* 2006, 185(2): 82–83.

229. LAGAKOS, W. S. Clinical trials and rare diseases. *N Engl J Med.* 2003, 348(24): 2455–2456.

230. LAVANDEIRA, A. Orphan drugs: legal asprects, current situation. *Haemophilia.* 2002, 8: 194–198.

231. LEWIS, S. EU policy on orphan drugs.*The Lancet*. 1995, 345.

232. LOUGHNOT, D. Potential interactions of the Orphan Drug Act and pharmacogenomics: a flood of orphan drugs and abuses? *American Journal of Law and Medicine*. 2005, 31(2/3): 371–377.

233. MACHARTUR, D. Orphan Drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues. Macarthur West Sussex, UK: Justpharmareports, 2008 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-08-13]. <http://www.researchandmarkets.com /reports/607381>.

234. McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., RAFTERY, J. Orphan drug revisited. *Q J Med.* 2006, 99: 341–345.

235. McCABE, C., CLAXTON, K., TSUCHIYA, A. Orphan drugs and the NHS: should we value rarity? *BMJ*. 2005, 331: 1016–1019.

236. McCABE, C., BERGMANN, L., BOSANQUET, N., ELLIS, M., ENZMANN, H., von EULER, M., *et al.* Market and patient access to new oncology products in Europe: a current, multidisciplinary perspective. *Annals of Oncology* [interaktyvus]. 2009, 20(3): 403 – 412 [žiūrėta 2009-06-14]. <http://annonc.oxfordjournals.org/cgi/reprint/20/3/403>.

237. McCABE, C., TSUCHIYA, A., CLAXTON, K., RAFTERY, J. Drugs for exceptionally rare diseases: a commentary on Hughes *et al*. *Health economics and decision science.* Discussion paper series [interaktyvus]. February 2006 [žiūrėta 2009-01-15]. <http://www.shef.ac.uk/content/1/c6/01/ 87/47/0602FT.pdf>.

238. McKIE, J., RICHARDSON, J. The rule of rescue. *Soc Sci Med.* 2003, 56: 2407–2419.

239. MAEDER, T. The Orphan Drug Backlash. *Scientific American.* 2003, 288(5): 81.

240. MAHER, P. D., HAFFNER, M. Orphan drug designation and pharmacogenomics. *Biodrugs.* 2006, 20(2): 71–79.

241. MAXWELL, J., MEHLMAN, J. D. Off-label prescribing [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-15]. <http://www.thedoctorwill seeyounow.com/articles/ bioethics/ offlabel_11/>.

242. MEYERS, A. S. Orphan drugs: the current situation in the United States, Europe and Asia. *Drug Information Journal.* 1997, 31.

243. MELNICK, J. L. Application of tissue culture methods to epidemiological studies of poliomelitis. *Am J Public Health.* 1954, 44(5): 571–580.

244. MINGHETTI, P. A. Proposal to improve the supply of orphan drugs. *Pharmacological Research.* 2000, 42(1): 33–37.

245. MOBERLY, T. Rationing and access to orphan drugs. *The Pharmaceutical Journal*. 2005, 275: 569–570.

246. MØLDRUP, C. No cure, no pay. *BMJ.* 2005, 330: 1262–1264.

247. MOREHEAD, J. Single-patient access to investigational drugs: friend or foe? *Biotechnology Law Report.* 2002, 21(3): 231–248.

248. NARUKAWA, M. Japanese approach to orphan products. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 41–42.

249. NOZICK, J. *Anarchy, State and Utopia*. New York: Basic, 1974.

250. OLLIARIO, P. Will the fight against tropical diseases benefit from orphan drug status? *Tropical Medicine and International Health.* 1997, 2: 113–115.

251. OPREA, L., BRAUNACK-MAYER, A, GERICKE, C. A. Ethical issues in funding research and development of drugs for neglected tropical diseases. *Journal of Medical Ethics.* 2009, 35: 310–314.

252. O'REILLY, J. T. Orphan Drugs: the strange case of 'baby M. *Food Drug Cosmetic Law Journal.* 1987, 42: 516–526.

253. PERRONE, F. Risk-sharing for new expensive anti-cancer drugs: the Italian strategy. *Lancet Oncol.* 2007, 8.

254. RANDHAWA, G. K. Orphan diseases and drugs. *Indian Journal of Pharmacology*. 2006, 38(3): 172.

255. RAPPAGLIOSI, A. Patient access to orphan drugs in the European Union. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 55–61.

256. RAPPAGLIOSI, A. Patient access to innovation: biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology*. 2001, 7(4): 299–308.

257. RAWLS, J. *A Theory of Justice*. Cambridge: Harvard Uiversity Press, 1971.

258. RAWLINS, M. *Managing rare diseases.* London: Royal College of Physicians, 2004.

259. RICHARDSON, D. M. The orphan drug tax credit: an inadequate response to an ill-defined problem. *The American Journal of Tax Policy.* 1987, 6: 135–210.

260. RIN-LAURES, L., JANOVSKY, D. Recent developments concerning the Orphan Drug Act. *Harvard Journal of Law and Technology* [interaktyvus]. 1991, 4: 274–275 [žiūrėta 2007-05-21]. <http://jolt.law.harvard.edu/articles/pdf/ v04/04 HarvJLTech269.pdf>.

261. ROBERTS, J. Wholesale trade in named-patient medicines in the EU: "Specials" and exempt imports. *Pharmaceuticals Policy and Law*. 2005, 8: 51–68.

262. ROMANO, L. V., JACOBSON, P. D. Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine and law. *Journal of Health & Life Sciences Law* [interaktvus]. 2009, 2(2): 47–72 [žiūrėta 2009-08-13]. <http://www.hallrender.com/ library/articles/497/1226_001a.pdf.>.

263. SANSOM, L. Evaluation and subsidy of orphan drugs in Australia. *Ital J Public Health.* 2005, 2: 87.

264. SCHEINDLIN, S. Rare diseases, orphan drugs and orphaned patients. *Molecular Interventions* [interaktyvus]. 2006, 6: 186–191 [žiūrėta 2008-07-07]. <http://molinterv. aspetjournals.org/ cgi/content/full/6/4/186>.

265. SCHIEPPATI, A., REMUZZI, G., GARATTINI, S. Modulating the profit motive to meet needs of the less-developed world. *The Lancet.* 2001, 358: 1638–1641.

266. SEGET, S. Orphan drugs to 2008. Understanding regulation and opportunity in Europe. London: Urch Publishing Ltd., 2008 [žiūrėta 2008-02-13]. <http://www.urchpublishing.com/publications/Exec_ summary_orphan_ drug_ 2008.pdf>.

267. SEOANE-VAZQUEZ, E., RODRIGUEZ-MONGUIO, R., SZEINBACH, S. L. Incentives for orphan drug research and development in the United States. *Orphanet J Rare Dis* [interaktyvus]. 2008, 3: 33 [žiūrėta 2008-12-20]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/articlerender.fcgi?artid=2631478>.

268. SHEPARD, D. S., WALSH, J. A., KLEINAU, E., STANSFIELD, S. Initiative: a cost-effectiveness approach. *Vaccine*. 1995, 13: 707–714.

269. SHIRAGAMI, M., NAKAI, K. Development of orphan drug in Japan: characteristics of orphan drug development in Japan. *Drug Information Journal* [interaktyvus]. 2000, 34: 839–846 [žiūrėta 2008-02-12]. <http://www.diahome.org/ content/Abstract/2000/dij1549.pdf>.

270. STEFANINI, A. Ethics in health care priority-setting: a north-south double standard? *Tropical Medicine and International Health.* 1999, 4(11): 709–712.

271. STIRNER, B. Stimulating research and development of pharmaceutical products for neglected diseases. *European Journal of Health Law.* 2008, 4(15): 391–409.

272. TAMBUYZER, E. The European orphan medicinal products regulation and the biotechnology-based industry in Europe. *Journal of Commercial Biotechnology*. 2000, 6: 340–344.

273. TAMBUYZER, E., MOONEY, P., INCERTI, C. The new EU clinical trials directive and orphan medicinal products: current status and recommendations. *The Quality Assurance Journal*. 2004, 8: 102–109.

274. TELLEKSON, D. K., RICHARDSON, E. A., LEE, S. S. Strategies for attacking and defending pharmaceutical patents: a modern take on „The art of war". *Intelectuall property and technology law journal.* 2005, 17(12).

275. The right to health: from rhetoric to reality. *The Lancet.* 2008, 372: 2001.

276. TORRENT-FARNELL, J., MARROS, R. The EU challenges on the designation of orphan medicinal products. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2001, 3: 19–30.

277. TRAMA, A., PIERANNUNZIO, D., LOIZZO, A., TARUSCIO, D., CECI, A. Availability of medicines for rare diseases in EU countries. *Pharmaceuticals Policy and Law.* 2009, 11(1/2): 101–109.

278. TROETEL, W. Orphan drugs in the USA and Japan. *Regulatory Affairs Journal.* September 1999: 723–730.

279. TROUILER, P., BATTISTELLA, C., PINEL, J., PÉCOUL, B. Is orphan drug status beneficial to tropical disease control? Comparison of the American and future European orphan drugs acts. *Tropical Medicine and International Health.* 1999, 4: 412–420.

280. UCHIDA, K. Orphan drugs in Japan. *Drug Information Journal*. 1996, 30: 171–175.

281. VALE, J. Expanding expanded access: how the Food and Drug Administration can achieve better access to experimental drugs for seriously ill patients. *The Georgetown Law Journal* [interaktyvus]. 2008, 96: 2143–2175 [žiūrėta 2009-02-21]. <http://www.georgetownlawjournal.org/issues/pdf/96-6/Vale.PDF>.

282. VERMEER, D. Introducing orphan medicinal products in The Netherlands: how to shorten the process? Master thesis. [interaktyvus] The Netherlands, School of Management & Governance, University of Twente, 2008 [žiūrėta 2009-03-23]. <http://essay.utwente.nl/58110/1/scriptie_Vermeer.pdf>.

283. VILLA, S., COMPAGNI, A., REICH, M. R. Orphan drug legislation: lessons for neglected tropical diseases. *Int J Health Plann Mgmt* . [interaktyvus]. 2009, 24(1): 27–42 [žiūrėta 2009-07-25]. <http://www.wcfia.harvard.edu/sites /default/files/ Reich_Orphan.pdf>.].

284. WAGSTAFF, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/ December, 2007 [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.cancerworld.org/CancerWorld/getStaticModFile.aspx?id= 1955>.

285. WASTFELT, M., FADEEL, B., HENTER, J. I. A journey of hope: lessons learned from studies on rare diseases and orphan drugs. *Journal of Internal Medicine.* 2006, 260: 1–10.

286. WATSON, R. Health ministers to help orphan drugs. *British Medical Journal.* 1995, 310: 1557–1578.

287. WOLF, A. *Les orphelins de la Santé*. Rapport INSERM. Paris, 1994.

288. WOOD-DAUPHINEE, S. Assessing quality of life in clinical research: from where we have come and where we are going? *J Clin Epidemiol*. 1999, 52(4): 355–363.

289. ZITTER, M. Managing drugs for rare genetic diseases: trends and insights. *Managed care.* February 2005: 52–67.

Kiti šaltiniai

290. Action brought on 18 July 2007 — CSL Behring v Commission and EMEA (Case T-264/07). [2007] OJ C 235 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-09-09]. <http://eur-lex.europa.euLexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2007:235:0012 :0013:EN:PDF> (angl.); <http://eurlex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2007:235:0012:0013:LT:PDF> (liet.).

291. Additional Protocol to the Convention on Human Rights and Biomedicine, concerning Biomedical Research. Strasbourg, 2005 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-04]. <http://conventions.coe.int/ Treaty/en/Treaties/Html/195.htm>.

292. ALWAN, A., MODELL, B. *Community control of genetic and congenital disorders.* World Health Organization: EMRO Technical Publications Series 24, 1997.

293. Authorisation for Use (ATU). Afssaps, November 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-12]. <http://afssaps.sante.fr/ ang/pdf/atu1_en.pdf>.

294. Availability of human medicinal products. Report of Task Force of HMA MG. Adopted by HMA 5th November 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-04-28]. <http://www.hma.eu/uploads/media/Availability_ medicines_ HMAMG_TF_ Report.pdf > .

295. BIGNAMI, F. Eurordis survey on orphan drugs availability in Europe. 6 th Eurordis Round Table of Companies Workshop. Barcelona 9 July, 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-21]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/2007 ODsurvey-eurordis.pdf>;

296. BÜHRLEN, B., BLIND, K., MENRAD, K. *New products and services. Analysis of regulations shaping new markets*. Third interim report. Part B. The impact of regulation on the development of new products in the pharmaceutical sector [interaktyvus]. Karlsruhe: Fraunhofer institute systems and inovvation research, 2003. [žiūrėta 2008-09-12]. <http://www.isi.fhg.de/publ/downloads/ isi03b70/case-study-pharma.pdf>.

297. CANNING, D. Neglected diseases – the health economics perspective. Intensified control of neglected diseases. Report of an international workshop [interaktyvus]. Berlin, 10-12 December 2003 [žiūrėta 2008-07-15]. <http://whqlibdoc.who.int/hq/2004/WHO_CDS_CPE_CEE_2004.45.pdf>.

298. Committee on Economic, Social and Cultural Rights (CESCR), General Comment No. 14 on Article 12 of the International Convenant on Economics, Social and Cultural Rights of 16 December 1966. „The Right to the highest attainable standard of health". 2000 (UN Doc. E/C.12/2004).

299. COMP report to the Commision in relation to article 10 of Regulation 141/2000 on orphan medicinal products. London: European Medicines Agency, 25 July 2005.

300. Common EMEA/FDA application form for orphan medicinal products designation [interaktyvus] [žiūrėta 2009-06-14]. <http://www.emea.europa.eu/htms/human/orphans/guidance.htm>.

301. Compassionate use permit for experimental treatment with medicinal products [interaktyvus] [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.dkma.dk/1024/visUKLSArtikel.asp?artikelID=4619>.

302. Convention for the protection of Human Rights and dignity of the human being with regard to the application of biology and medicine: Convention on Human Rights and Biomedicine. Explanatory Report [interaktyvus] [žiūrėta 2008-06-02]. <http://conventions.coe.int/treaty/EN/Reports/ Html/164.htm>.

303. De VARAX, A., LERELLIER, M., BÖRTLEIN, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005.

304. Drug Development Futures. Orphan drug development: a global perspective. Executive Briefing Note.

305. European Surveillance of Congenital Anomalies [žiūrėta 2008-12-16]. <http://www.eurocat.ulster.ac. uk/>.

306. European Platform for Patients' Organisations, Science & Industry (EPPOSI). Sixth Workshop on Partnering for Rare Disease Therapy Development. London, 25–27 October 2005.

307. Eurordis Position Paper on the WHO Report on Priority Medicines for Europe and the World, 2004. [interaktyvus] [žiūrėta 2009- 02-15]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/eurordis_position_WHO __priority _medicines_dec04.pdf>.

308. Evidence of harm from off label or unlicensed medicines in children. London: EMEA, 26 October 2004, EMEA/11207/04.

309. Fatal imbalance. The crisis in research and development for drugs for neglected diseases [interaktyvus]. Geneva: Médecins Sans Frontières. Access to Essential Medicines Campaign and the Drugs for Neglected Diseases Working Group, 2001 [žiūrėta 2008-01-25]. <http://www.doctorswithoutborders.org/publications/reports/2001/fatal_imbalance _short.pdf>.

310. FDA expands access to investigational drugs. *FDA Consumer Health Information* [interaktyvus]. Agust 2009 [žiūrėta 2009-08-13]. <http://www.fda.gov/downloads/ForConsumers/ConsumerUpdates/UCM177001.pdf>.

311. French National Plan on Rare Diseases (2005 – 2008). Ensuiring equity in the access to diagnosis, treatment and provision of care. November 20 2004.

312. Global Strategy for Health for All by the Year 2000 (adopted in WHO resoliution WHA.34.36). 1981.

313. Guideline on procedures for the granting of a marketing authorisation under exceptional circumstances, pursuant to article 14 (8) of Regulation (EC) No 726/2004. Committee for Medicinal Products for Human Use. London, 15 December 2005. Prieiga per internetą: <http://www.emea.europa.eu/pdfs/ human/euleg/35798105en.pdf>.

314. Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/2004. EMEA: London, 19 July 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-12]. <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/euleg/ 2717006enfin.pdf>.

315. Guidance for companies requesting scientific advice and protocol assistance. EMEA: London, 22 January 2009 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-25]. <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/sciadvice/426001 en.pdf>.

316. Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens. Working Group on Pricing of the Pharmaceutical Forum, 2008 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-05-29]. <http://ec.europa.eu/pharmaforum/ docs/pricing_ orphans_en.pdf>.

317. Inventory of Community and national incentive measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. 2001 [žiūrėta 2008-02-08]. <http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/ orphanmp/doc/inventory/inventory-en.pdf>.

318. Inventory of Community and member states incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2002 [žiūrėta 2008-02-08]. <http://ec.europa.eu/enterprise/ pharmaceuticals/orphanmp/doc/updinventory_0802.pdf >.

319. Inventory of Community and Member States incentives measures to aid the research, marketing, development and availability of orphan medicinal products. Revision 2005 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-03-25]. <http://ec.europa.eu/ enterprise/ pharmaceuticals/orphanmp/doc/inventory_2006_08.pdf>.

320. Lietuvos Respublikos 2008 metų Privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto vykdymo metinės apyskaitos aiškinamasis raštas [interaktyvus] [žiūrėta 2009-09-09]. <http://www.emedicina.lt/site/files/teises_ aktai/2009/geguze/ Gydytojui/XIP_624_aiskrastas.doc>.

321. MADDEN, B. Didesnis pasirinkimas – geresnė sveikata. Laisvi rinktis eksperimentinius vaistus. Lietuvos laisvosios rinkos institutas, 2008 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-05-27]. <http://www.learningwhatworks.com/papers/dtrack_ lithuania.pdf>.

322. National plan for rare diseases (2009–2013) (genetic, congenital malformations and non-hereditary diseases). [interaktyvus] [žiūrėta 2009-05-13]. <http://www.raredis.org/pub/events/NPRD.pdf>.

323. NAJERA, J. A., HEMPEL, J. The burden of maliaria. Geneva,WHO, 1996.

324. Orphan drugs and rare diseases at a glance [interaktyvus]. London: European Medicines Agency, 3 July 2007 [žiūrėta 2008-12-12]. <http://www.emea.europa.eu/htms/human/orphans/guidance.htm>.

325. PARISSE-BRASSENS, J. Improving patient access to orphan drugs. Eurordis, April 2006 [interaktyvus] [žiūrėta 2009-01-05]. <http://www.eurordis.org/ article.php3?id_article=1013>.

326. Pasiūlymas dėl Europos Parlamento ir Tarybos direktyvos dėl pacientų teisių į sveikatos priežiūros paslaugas kitose valstybėse narėse įgyvendinimo [interaktyvus]. Briuselis, 2008 [žiūrėta 2009-06-18]. <http://ec.europa.eu/health/ph_ overview/co_ operation/healthcare/docs/COM_lt.pdf>.

327. PHILIPON, P. The orphans of the health care system [interaktyvus]. In *Economic aspects of biotechnologies related to human health*. Paris: Organisation for Economic Co-operation and Development, November 1998. [žiūrėta 2007-12-30]. <http://www.oecd.org/dataoecd/40/25/ 2351234.pdf>.

328. Policies on Pricing and Reimbursement of Medicines in Europe: Networking for Information Excange among Policy-makers. Copenhagen, WHO,1999.

329. Points to consider on the calculation and reporting of the prevalence of a condition for orphan designation. EMEA: 26 March 2002 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-19]. <http://www.emea.eu.int/pdfs/human/comp/043601.pdf>.

330. Proposal for a Regulation of the European Parliament (and the Council) laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human use (2001/0253/COD) and amending Directive 2001/82/EC on the Community code relating to veterinary medicinal products (2001/0254/COD). European Union Commision, November 26, 2001.

331. Proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. COM (1998) 450, 1998/0240/COD [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-12]. <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri =CELEX: 51998PC0450:EN:NOT>.

332. Prevalence of rare diseases: bibliographic data. Orphanet Report Series. August 2008 [interaktyvus] [2009-03-02]. <http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence_of_rare_diseases.pdf>.

333. Programa Nacional para Doenças Raras 2008-2015 (liet. *Portugalijos nacionalinė retų ligų programa (2008–2015)*) [interaktyvus] [žiūrėta 2009-08-12]. <http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_ com/docs/portugal.pdf >.

334. Rare diseases: understanding this public health priority. Eurordis, November 2005, p. 7 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-02-11]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf>.

335. Rare diseases in numbers: preliminary report from an on going bibliographic study initiated be Eurordis in partnership with Orphanet [interaktyvus] [žiūrėta 2007-02-26]. <http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rd numbers.pdf>.

336. Rare diseases in Sweden [interaktyvus] [žiūrėta 2008-07-10]. <http://www.socialstyrelsen.se/ en/rarediseases/>.

337. SEOANE-VAZQUEZ, E., RODRIGUEZ-MONGUIO, R., SZEINBACH, S. L. Incentives for orphan drug research and development in the United States. *Orphanet J Rare Dis* [interaktyvus]. 2008, 3: 33 [žiūrėta 2008-12-20]. <http://www.pubmedcentral.nih.gov/articlerender.fcgi?artid=2631478>.

338. STOLK, P., WILLEMEN, M., LEUFKENS, H. G. *Drugs for rare diseases on the Essential Medicines List.* A discussion paper prepared for the WHO expert committee on the Selection and Use of Essential Medicines. The Netherlands, Ultrecht: Institute for Pharmaceutical Sciences (UIPS), March 1 2005.

339. Survey: 4th Eurordis Survey on Orphan Drugs Availability in Europe (2007) [interaktyvus] [žiūrėta 2008-11-12]. <http://www.eurordis.org/article.php3?id_article=1644>.

340. Survey of the delay in diagnosis for 8 rare diseases in Europe (EurordisCare2) [žiūrėta 2008-02-27]. <http://www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact_Sheet_Eurordiscare2.pdf>.

341. Sveikatos draudimo sistemos plėtojimas. Programos aprašas [interaktyvus]. Valstybinė ligonių kasa prie Sveikatos apsaugos ministerijos. 2007 biudžetiniai metai [žiūrėta 2007-02-16]. <http://www.sam.lt/repository/dokumentai/veikla/ VLK%202007%201%20b%20forma.doc>.

342. TARUSCIO, D., LOIZZO, A., LOIZZO, S., *et al*. Report on mutual availability of medicines for RD in EU countries. 4 April 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-21]. <http://www.teddyoung.org/download/10_ ReportonmutualavailabilityofmedicinesforRDinEUcountries.pdf>.

343. Text of the explanations relating to the complete text of the Charter as setout in CHARTE 4487/00CONVENT 50 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-12-13]. <http://www.europarl.europa.eu/ charter/pdf/04473_en.pdf>.

344. *The Orphan drug program and improving community acess to efective drugs for rare diseases*. Canberra: Australian Government Publishing service, December 2001.

345. The Orphan Drug Act. Implementation and impact. San Francisco: Office of Inspector General. May 2001 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-05-21]. <http://oig.hhs.gov/oei/reports/oei-09-00-00380.pdf >.

346. The right to health. World Health Organization. Office of the United Nations High Commisioner for Human Rights. Fact Sheet No. 31 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-01-12]. <http://www.ohchr.org/Documents/Publications/ Factsheet31.pdf>.

347. WHA Resoliution 56.27, Intelectual property rights, innovation and public health. March 2003 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-09-12]. <http://www.who.int/intellectualproperty/documents/thereport/ENPublicHealthReport.pdf>.

348. WHO Model Lists of Essential Medicines [interaktyvus] [žiūrėta 2008-11-07]. <http://www.who.int/medicine/ publications/essentialmedicines/en/>.

349. World Medical Association Declaration of Helsinki. Ethical Principles for Medical Research Involving Human Subjects. Version 2004 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-10-14]. <http://www.wma.net/e/policy/pdf/17c.pdf>.

350. Workshop on "Rare diseases and orphan drugs – European perspective". Brussels, 5 May 1998 [interaktyvus] [žiūrėta 2007-04-23]. <http://ec.europa.eu/enterprise/ pharmaceuticals/orphanmp/doc/proc5598.pdf>.

351. Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos 2005 metų veiklos ataskaita. VLK, 2006.

352. Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos 2006 metų veiklos ataskaita. VLK 2007.

353. Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos 2008 metų veiklos ataskaita. VLK 2009, Nr. 8K-3. [interaktyvus] [žiūrėta 2009-05-05]. <http://www.vlk.lt/vlk/pag/files/090414_2008VLKveiklos_ataskaita.pdf>.

354. General information for sponsors of orphan medicinal products. London: EMEA, 23 June 2008 [interaktyvus] [žiūrėta 2008-07-06]. <http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/comp/479500en.pdf>.

Žodynai, enciklopedijos

355. *Collins English Dictionary.* Millenium edition. 4th ed. Glasgow: Harper Colllins Publisher, 1998.

356. DIRCKX, J. H. *Stedman's concise medical dictionary for the health professions and nursing: concise medical dictionary*. 3rd edition, 1997.

357. HAEDER, A. *Filosofijos žodynas.* Vilnius: Alma litera, 2002.

358. KUZAVINIS, K. *Lotynų-lietuvių kalbų žodynas.* Vilnius: Mokslo ir enciklopedijų leidykla, 1996.

359. LYBERIS, A. *Sinonimų žodynas.* Vilnius: Lietuvių kalbos instituto leidykla, 2002.

360. *Medicinos enciklopedija*. Vilnius: Valstybinė enciklopedijų leidykla, 1991.

361. MELNIKIENĖ, D. *Didysis lietuvių-prancūzų kalbų žodynas.* Vilnius: In Re, 2006.

362. *Prancūzų-lietuvių kalbų žodynas* (sud. A. Juškienė, M. Katilienė, K. Kaziūnienė). Vilnius: Valstybinės leidybos centras, 1992.

363. *Oxford English Reference Dictionary* (ed. J. Pearsall and B. Trumble). 2nd ed. Oxford University Press, 2003.

364. *Oxford Hachette french dictionary*. French-English. (ed. by M. H. Corréard). 3rd ed. Oxford University Press, 2001.

365. PIESARSKAS, B. *Didysis anglų-lietuvių kalbų žodynas*. Vilnius: Alma littera, 1998.

366. PIESARSKAS, B. *Dvitomis anglų-lietuvių kalbų žodynas.* I tomas. Vilnius: Alma litera, 2004.

367. Philosophy of law: an encyclopedia (ed. C. Berry Gray). New York and London: Garland Publishing, Inc, 1999.

368. *Socialinės apsaugos terminų žodynas.* Vilnius: Sveikatos Ekonomikos Centras, 1999.

369. *Tarptautinių žodžių žodynas.* Vilnius: Alma littera, 2003.

Straipsniai populiariojoje spaudoje

370. BERNOTAITĖ, J. Diagnozuojamos pavėluotai, gydymas nepaprastai brangus. *Lietuvos medicinos kronika*. 2008-03-05.

371. BUDVYTIENĖ, G. Sergantieji retomis ligomis – gyvenimo užribyje. *Kauno diena.* Kaunas, 2005-04-06.

372. CHUING, Ch. New hope for rare disorders suffers. *Taiwan panorama* [interaktyvus]. 2000, 3: 118 [žiūrėta 2008-01-15]. <http://www.sinorama.com.tw/en/index.php>.

373. JANČORIENĖ, M. Vaistai nuo vėžio – tik kas trečiam. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2009-02-21.

374. JUŠKEVIČIENĖ, J. Reta liga vargina ne tik ligonį. *Klaipėda.* Klaipėda, 2006-06-08.

375. KUČINSKAITĖ, J. Išskirtinis gydymas – išskirtinėms asmenybėms. *Veidas.* Vilnius, 2006, Nr. 23.

376. KURTKUTĖ, A. Retos ligos – galvosūkis provincijos medikams. 2006-09-08. Naujienų portalas *Alfa.lt.* [interaktyvus] [žiūrėta 2009-03-14]. <http://www.alfa.lt/straipsnis/50582>.

377. MEYERS, A. Pain versus Promises. *VHL Family Forum* [interaktyvus]. 2003, 11(3): 6 [žiūrėta 2008-02-02]. <http://www.vhl.org/newspdf/vhln0309.pdf>.

378. SAUKIENĖ, I. Medikų galvos skausmas: kaip žmogaus nepasmerkti myriop. 2009-07-05. Naujienų portalas *Delfi.lt* [interaktyvus] [žiūrėta 2009-07-05]. <http://www.delfi.lt/news/daily/Health/article. php?id=22962273>.

379. SRĖBALIENĖ, A. Retos ligos: aukos ir pinigai. *Ekstra*. Vilnius, 2004-12-13.

380. TARAŠKEVIČIENĖ, M. Pacientai retų ligų labirintuose. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2008-04-05.

381. TUMIENĖ, B., KUČINSKAS, V. Retosios ligos Lietuvoje ir Europoje. *Gydymo menas.* 2008, 11/12: 25–27.

382. VALINSKIENĖ, A. Gyvybės kaina – 120 000 litų per metus [interaktyvus]. *Respublika.* Vilnius, 2009-02-26 [žiūrėta 2009-09-06]. <http://www.kraujas.lt/files/public/Balsas_20090226.pdf>.

383. ŽIČKUS, E., ALASAUSKYTĖ, G. Vienui vieni su sunkia liga. *Vakaro žinios.* Vilnius, 2007-09-22.

PRIEDAI

Priedas Nr. 1. Retųjų vaistų reglamentavimo ypatumai skirtingose pasaulio šalyse ir ES

		JAV	Japonija	Kanada	Australija	ES
1.	**Teisinis reguliavimas**	Retųjų vaistų aktas (1983)	Farmacinės veiklos įstatymo pataisos (1993)	Išskirtinės sąlygos užtikrinant vaistų prieinamumą (1996)	Retųjų vaistų programa (1999)	Reglamentas (EB) Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“ (1999)
2.	**Tikslinė produktų grupė**	Vaistai ir biologiniai preparatai (taip pat ir vakcinos bei *in vivo* diagnostika)	Vaistai, biologiniai preparatai ir medicinos įranga	Vaistai	Vaistai, vakcinos ir *in vivo* diagnostika	Vaistai ir biologiniai preparatai (taip pat ir vakcinos bei *in vivo* diagnostika)
3.	**Priskyrimo retiesiems kriterijai:** ligos paplitimas	Mažiau nei 200 000 pacientų JAV (<7,5:10 000)	Mažiau nei 50 000 pacientų Japonijoje (<4,1:10 000)	Nėra „retumo“ teisinės definicijos	Mažiau nei 2000 pacientų Australijoje (<1,1:10 000)	Mažiau nei 5 iš 10 000 gyventojų ES
	ligos pobūdis	Tik reta liga	Reta ir sunki liga; nėra kitokio tinkamo gydymo	Reta liga	Reta liga	Gyvybei pavojinga ar sekinanti lėtinė liga; nėra alternatyvaus gydymo
	finansinių investicijų grąža	Vaistų kūrimo ir tyrimų kaštai neatsiperka	Neatsiperka	Netaikoma	Reto vaisto kūrimas komerciškai neapsimoka	Normaliomis sąlygomis farmacijos įmonės nesuinteresuotos kurti tokių vaistų
4.	**Paskatos:** protokolinė pagalba	Teikiama	Pateikus prašymą	Nėra duomenų	Pateikus prašymą	Teikiama
	greitesnis paraiškų peržiūrėjimas	Taip	Teikiamas prioritetas	Svarbių naujų preparatų paraiškų prioritetinė peržiūra	Prioritetinė paraiškų peržiūra	Taip
	kreditai ir dotacijos	Padengiama 50 proc. klinikinių tyrimų kaštų; dotacijos atliekant klinikinius tyrimus; dotacijos atliekant mokslinius medicininės įrangos ir maisto papildų tyrimus	Iki 3 metų gali būti padengiama iki 50 proc. klinikinių ir neklinikinių tyrimų kaštų; 6 proc. mokestinė nuolaidos ikiklinikiniams ir klinikiniams tyrimams	dotacijų programos	Dotacijų ir mokestinių nuolaidų nėra	Valstybių ES narių reguliavimo specifika
	vaisto registravimo mokesčių nuolaidos	Nereikia mokėti mokesčių reguliuojančiai institucijai	Sumažintas paraiškos mokestis	Mokesčių reguliuojančiajai institucijai sumažinimas	Nereikia mokėti mokesčių reguliuojančiai institucijai	Centralizuota vaistų registravimo procedūra (nuo 2005 m. lapkričio 20 d.). Sumažinti mokesčiai.
	rinkos išimtinumas	7 metai; netvirtinamas kitas preparatas tai pačiai terapinei indikacijai	Persvarstomas rinkos išimtinumo periodas nuo 4 iki 10 metų	Standartinė patentinė apsauga	5 rinkos išimtinumo metai; kitas preparatas tai pačiai terapinei indikacijai nėra registruojamas, kol neįrodomas jo klinikinis pranašumas	10 rinkos išimtinumo metų; rinkos išitinumo laikas gali būti sutrumpintas iki 6 metų išnykus vaistų priskyrimo retųjų kategorijai kriterijams
5.	**Sergančiųjų retomis ligomis skaičius**	20 milijonų	9 milijonai	3 milijonai	1,2 milijono	27-36 milijonai

Autentiškas vertimas
Europos komitetas prie LR Vyriausybės
Vertimo, dokumentacijos ir informacijos centras

EUROPOS PARLAMENTO IR TARYBOS REGLAMENTAS (EB) Nr. 141/2000
1999 m. gruodžio 16 d.

dėl retųjų vaistų

EUROPOS PARLAMENTAS IR EUROPOS SĄJUNGOS TARYBA,

atsižvelgdami į Europos bendrijos steigimo sutartį, ypač į jos 95 straipsnį,
atsižvelgdami į Komisijos pasiūlymą([1]),
atsižvelgdami į Ekonomikos ir socialinių reikalų komiteto nuomonę([2]),
laikydamiesi Sutarties 251 straipsnyje nustatytos tvarkos([3]),
kadangi:
(1) kai kurios ligos pasitaiko taip retai, kad jų diagnozavimui, profilaktikai ar gydymui skirto vaisto kūrimo ir atidavimo į rinką sąnaudų nepadengtų numatomas to vaisto pardavimas; normaliomis rinkos sąlygomis farmacijos pramonė nebūtų linkusi to vaisto kurti; šie vaistai yra vadinami retaisiais.
(2) Retomis ligomis sergantys ligoniai turėtų turėti teisę gauti tokios pat kokybės gydymą kaip ir kiti ligoniai; dėl to būtina skatinti, kad farmacijos pramonė atitinkamus vaistus moksliškai tirtų, kurtų ir atiduotų į rinką; paskatų kurti retuosius vaistus Jungtinėse Amerikos Valstijose esama nuo 1983 m., Japonijoje – nuo 1993 metų.
(3) Europos Sąjungoje ir nacionaliniu, ir Bendrijos lygiu kol kas yra imtasi tik ribotų veiksmų, kuriais skatinama kurti retuosius vaistus; tokių veiksmų geriausia imtis Bendrijos lygiu, kad būtų galima pasinaudoti kuo plačiausia rinka ir išvengti ribotų išteklių išsklaidymo; veiksmai Bendrijos lygiu yra tinkamesni už nesuderintas valstybių narių priemones, kurios gali iškraipyti konkurenciją ir tapti Bendrijos vidaus prekybos kliūtimis.
(4) Paskatinimo verti retieji vaistai turėtų būti lengvai ir neabejotinai identifikuojami; atrodo, kad tinkamiausia būtų šitai padaryti nustatant atvirą ir skaidrią Bendrijos procedūrą potencialiems vaistams priskirti retųjų vaistų kategorijai.
(5) Turėtų būti nustatyti objektyvūs priskyrimo kriterijai; tie kriterijai turėtų būti grindžiami ligos, kurios diagnozavimo, profilaktikos ar gydymo siekiama, paplitimu; ne daugiau kaip penkių ja sergančių asmenų dešimčiai tūkstančių gyventojų rodiklis apskritai yra laikomas tinkama riba; vaistai, skirti gyvybei pavojingai, sekinančiai ar sunkiai ir chroniškai ligai gydyti, turėtų būti priskiriami retųjų vaistų kategorijai net tada, kai tos ligos paplitimas didesnis negu penki ligoniai dešimčiai tūkstančių gyventojų.
(6) Paraiškoms dėl priskyrimo svarstyti turėtų būti įsteigtas iš valstybių narių paskirtų ekspertų sudarytas komitetas; į šį komitetą taip pat turėtų būti įtraukti Komisijos paskirti trys ligonių asociacijų atstovai ir trys kiti asmenys, taip pat Komisijos paskirti Europos vaistų įvertinimo agentūros (toliau – „agentūra“) rekomendacija; agentūra turėtų būti atsakinga už deramą Retųjų vaistų komiteto ir Patentuotų vaistų komiteto koordinavimą.
(7) Tokiomis ligomis sergantys ligoniai yra verti tokių pat kokybiškų, saugių ir veiksmingų vaistų kaip ir kiti ligoniai; dėl to retiesiems vaistams turėtų būti taikomas normalus vertinimo procesas; retųjų vaistų rėmėjai turėtų turėti galimybę gauti Bendrijos leidimą; kad būtų galima lengviau suteikti Bendrijos leidimą arba jį išlaikyti, bent iš dalies turėtų būti nereikalaujama agentūrai mokėtinų mokesčių; Bendrijos biudžetas turėtų agentūrai kompensuoti dėl to atsirandantį įplaukų nuostolį.
(8) Jungtinių Amerikos Valstijų ir Japonijos patirtis rodo, kad didžiausia paskata pramonei investuoti į retųjų vaistų kūrimą ir pardavimą yra perspektyva per kelerius metus, per kuriuos dalis investicijų galėtų būti susigrąžinta, turėti išimtinę rinką; duomenų apsauga pagal 1965 m. sausio 26 d. Tarybos direktyvos 65/65/EEB dėl įstatymų ir kitų teisės aktų, susijusių su patentuotais vaistais, suderinimo([851]) 4 straipsnio 8

[1] OL C 276, 1998 9 4, p. 7.
[2] OL C 101, 1999 4 12, p. 37.
[3] 1999 m. kovo 9 d. Europos Parlamento nuomonė (OL C 175, 1999 6 21, p. 61), 1999 m. rugsėjo 27 d. Tarybos bendroji pozicija (OL C 317, 1999 11 4, p. 34) ir 1999 m. gruodžio 15 d. Europos Parlamento sprendimas (dar nepaskelbtas *Oficialiajame leidinyje*).
([851]) OL 1965 2 9, p. 369. Direktyva su paskutiniais pakeitimais, padarytais Direktyva 93/39/EEB (OL L 214, 1993 8 24, p. 22).

dalies a punkto iii papunktį nėra tam tikslui pakankama paskata; atskirai veikdamos valstybės narės negali imtis tokios priemonės Bendrijos mastu, nes tokia priemonė prieštarautų Direktyvai 65/65/EEB; jei tokių priemonių būtų imtasi tarp valstybių narių nesuderintu būdu, tai kliudytų Bendrijos vidaus prekybai, dėl to atsirastų konkurencijos iškraipymų ir prieštaravimų vienai bendrai rinkai; tačiau rinkos išimtinumas, nepažeidžiant esamų intelektinės nuosavybės teisių, turėtų apsiriboti terapine indikacija, dėl kurios vaistas buvo priskirtas retiesiems vaistams; ligonių labui retajam vaistui suteiktas rinkos išimtinumas neturėtų trukdyti prekiauti panašiu vaistu, kuris ta liga sergantiems asmenims galėtų būti akivaizdžiai naudingas.
(9) Pagal šį reglamentą retųjų vaistų kategorijai priskirtų vaistų rėmėjai turėtų turėti teisę visiškai naudotis visomis Bendrijos ar valstybių narių teikiamomis paskatomis remti tokių ligų, įskaitant retas ligas, diagnozei, profilaktikai ar gydymui skirtų vaistų tyrimą ir kūrimą.
(10) Konkreti programa Biomed 2, parengta pagal ketvirtąją pamatinę mokslinių tyrimų ir taikomosios veiklos programą (1994–1998), parėmė mokslinius retų ligų gydymo tyrimus, įskaitant greitųjų schemų retiesiems vaistams kurti metodologijas ir Europoje esamų retųjų vaistų inventorizavimą; tos dotacijos buvo skirtos tarptautinio masto bendradarbiavimui siekiant taikyti bazinius ir klinikinius retų ligų tyrimus skatinti; moksliniai retų ligų tyrimai tebėra Bendrijos prioritetas, nes jis buvo įtrauktas į penktąją pamatinę mokslinių tyrimų ir taikomosios veiklos programą (1998–2002); šis reglamentas nustato teisinį pagrindą, kuris leis greitai ir veiksmingai įdiegti šių mokslinių tyrimų rezultatus.
(11) Retos ligos pagal veiksmų visuomenės sveikatos srityje apmatus buvo priskirtos Bendrijos veiksmų prioritetinei sričiai; Komisija savo informaciniame pranešime apie Bendrijos veiksmų dėl retų ligų programą pagal veiksmų visuomenės sveikatos srityje apmatus nusprendė visuomenės sveikatos srityje retoms ligoms suteikti prioritetą; 1999 m. balandžio 29 d. Europos Parlamentas ir Taryba priėmė Sprendimą 1295/1999/EB, patvirtinantį Bendrijos veiksmų dėl retų ligų programą pagal veiksmų visuomenės sveikatos srityje apmatus (1999–2003)([4]), įskaitant veiksmus teikiant informaciją, kovojant su retomis ligomis tam tikrose gyventojų grupėse ir remiant atitinkamų ligonių organizacijas; šis reglamentas įgyvendina vieną iš šioje veiksmų programoje nustatytų prioritetų,
PRIĖMĖ ŠĮ REGLAMENTĄ:

1 straipsnis

Tikslas

Šio reglamento tikslas – nustatyti vaistų priskyrimo retųjų vaistų kategorijai Bendrijoje tvarką ir įteisinti nurodytų retųjų vaistų mokslinio tyrimo, kūrimo ir atidavimo į rinką paskatas.

2 straipsnis

Sąvokos

Šiame reglamente:

a) „vaistas“ – žmonėms skirtas vaistas, kaip apibrėžta Direktyvos 65/65/EEB 2 straipsnyje;

b) „retasis vaistas“ – pagal šiame reglamente išdėstytus reikalavimus šiai kategorijai priskirtas vaistas;

c) „rėmėjas“ – kiekvienas Bendrijoje įsisteigęs fizinis ar juridinis asmuo, siekiantis arba pasiekęs, kad vaistas būtų priskirtas retųjų vaistų kategorijai;

d) „agentūra“ – Europos vaistų įvertinimo agentūra.

3 straipsnis

Priskyrimo kriterijai

1. Vaistas priskiriamas retųjų vaistų kategorijai, jei jo rėmėjas gali įrodyti:
a) kad jis yra skirtas gyvybei pavojų keliančios arba chroniškai sekinančios ligos, kuria paraiškos padavimo metu Bendrijoje serga ne daugiau kaip penki iš 10 tūkstančių asmenų, diagnozei, profilaktikai arba gydymui, arba

[4] OL L 155, 1999 6 22. p. 1.

kad jis yra skirtas gyvybei pavojų keliančios, labai sekinančios ar sunkios ir chroniškos ligos Bendrijoje diagnozavimui, profilaktikai arba gydymui ir kad be paskatų neįtikėtina, jog pardavus šį vaistą Bendrijoje būtų gauta pakankamai įplaukų, kad būtų susigrąžintos investicijos;
ir
b) kad Bendrijoje nėra įteisinto gero tos ligos diagnozavimo, profilaktikos arba gydymo būdo arba, jei toks būdas yra, tas vaistas bus akivaizdžiai naudingas ja sergantiems asmenims.
2. Komisija Tarybos reglamento (EEB) Nr. 2309/93([5]) 72 straipsnyje nustatyta tvarka įgyvendinimo reglamento forma priima šiam straipsniui įgyvendinti būtinas nuostatas.

4 straipsnis

Retųjų vaistų komitetas

1. Šiuo reglamentu agentūroje įsteigiamas Retųjų vaistų komitetas (toliau – „Komitetas“).
2. Komiteto užduotis:

a) nagrinėti kiekvieną pagal šį reglamentą pateiktą paraišką dėl vaisto priskyrimo retųjų vaistų kategorijai;

b) patarti Komisijai retųjų vaistų politikos Europos Sąjungoje nustatymo ir plėtojimo klausimais;

c) padėti Komisijai retųjų vaistų reikalais palaikyti ryšius tarptautiniu mastu ir su ligonių rėmimo grupėmis;

d) padėti Komisijai rengti išsamias gaires.

3. Komitetą sudaro kiekvienos valstybės narės po vieną paskirtą narį, trys ligonių organizacijoms atstovauti Komisijos paskirti nariai ir trys agentūros rekomendavimu Komisijos paskirti nariai. Komiteto nariai skiriami trejų metų kadencijai, kuri yra atnaujinama. Jiems gali padėti ekspertai.
4. Komitetas trejų metų kadencijai, kuri gali būti vieną kartą atnaujinama, išsirenka pirmininką.
5. Komisijos atstovai ir agentūros vykdomasis direktorius arba jo atstovas gali dalyvauti visuose Komiteto posėdžiuose.
6. Agentūra teikia Komitetui sekretoriato paslaugas.
7. Iš Komiteto narių reikalaujama, kad net ir nustoję eiti savo pareigas jie neatskleistų jokios informacijos, kuriai taikomas profesinio slaptumo įsipareigojimas.

5 straipsnis

Priskyrimo tvarka ir išbraukimas iš registro

1. Kad vaistas būtų priskirtas retųjų vaistų kategorijai, rėmėjas bet kuriame to vaisto kūrimo etape prieš paduodamas paraišką dėl leidimo prekiauti pateikia agentūrai paraišką.
2. Prie paraiškos pridedami šie duomenys ir dokumentai:

a) rėmėjo pavardė arba pavadinimas ir nuolatinis adresas;

b) vaisto veikliosios sudedamosios medžiagos;

c) siūloma terapinė indikacija;

d) pagrindimas, kad laikomasi 3 straipsnio 1 dalyje nustatytų kriterijų, ir kūrimo etapo aprašymas, įskaitant numatomas indikacijas.

3. Komisija, pasikonsultavusi su valstybėmis narėmis, agentūra ir suinteresuotomis šalimis, parengia išsamias gaires dėl reikalaujamo paraiškų dėl priskyrimo formato ir turinio.
4. Agentūra patikrina paraiškos pagrįstumą ir parengia Komitetui glaustą pranešimą. Prireikus ji gali prašyti rėmėjo papildyti prie paraiškos pridedamus duomenis ir dokumentus.
5. Agentūra užtikrina, kad Komitetas pateiktų nuomonę per 90 dienų nuo reikalavimus atitinkančio paraiškos gavimo dienos.
6. Rengdamas nuomonę, Komitetas stengiasi siekti bendro sutarimo. Jei tokio sutarimo negalima pasiekti, nuomonė priimama dviejų trečdalių Komiteto narių balsų dauguma. Nuomonė gali būti pateikiama raštu.

[5] OL L 214, 1993 8 24, p. 1. Reglamentas su pakeitimais, padarytais Komisijos reglamentu (EB) Nr. 649/98 (OL L 88, 1998 3 24, p. 7).

7. Tais atvejais, kai Komiteto nuomonė yra tokia, kad paraiška neatitinka 3 straipsnio 1 dalyje nustatytų kriterijų, agentūra nedelsdama informuoja rėmėją. Per 90 dienų nuo nuomonės gavimo dienos rėmėjas gali pateikti išsamų apeliacijos pagrindimą, kurį agentūra perduoda Komitetui. Komitetas kitame posėdyje apsvarsto, ar jo nuomonė turėtų būti pakeista.
8. Agentūra nedelsdama siunčia galutinę Komiteto nuomonę Komisijai, kuri per 30 dienų nuo nuomonės gavimo dienos priima sprendimą. Jei išskirtinėmis aplinkybėmis sprendimo projektas nesutampa su Komiteto nuomone, sprendimas priimamas Reglamento (EEB) Nr. 2309/93 73 straipsnyje nustatyta tvarka. Apie sprendimą pranešus rėmėjui, jis siunčiamas agentūrai ir valstybių narių kompetentingoms institucijoms.
9. Priskirtasis vaistas įrašomas į Bendrijos retųjų vaistų registrą.
10. Rėmėjas agentūrai kasmet pateikia priskirtojo vaisto kūrimo padėties ataskaitą.
11. Kad priskyrimas retiesiems vaistams būtų perduotas kitam rėmėjui, pavadinimo turėtojas paduoda agentūrai paraišką. Pasikonsultavusi su valstybėmis narėmis, agentūra ir suinteresuotomis šalimis, Komisija parengia išsamias gaires dėl perdavimo paraiškų formos ir tokių paraiškų turinio bei visų duomenų apie naująjį rėmėją.
12. Priskirtasis retasis vaistas iš Bendrijos retųjų vaistų registro išbraukiamas:

a) rėmėjo prašymu;

b) jeigu prieš gaunant leidimą prekiauti nustatoma, kad nebesilaikoma 3 straipsnyje atitinkamam vaistui nustatytų kriterijų;

c) pasibaigus 8 straipsnyje nustatyto rinkos išimtinumo laikotarpiui.

6 straipsnis

Protokolinė pagalba

1. Retojo vaisto rėmėjas, prieš pateikdamas paraišką dėl leidimo prekiauti, gali prašyti agentūros patarimo, kaip atlikti įvairias ekspertizes ir bandymus siekiant pagal Reglamento (EEB) Nr. 2309/93 51 straipsnio j punktą įrodyti tą vaistą esant kokybišką, saugų ir veiksmingą.
2. Agentūra parengia retųjų vaistų kūrimo tvarką, apimančią reguliavimo pagalbą apibrėžiant paraiškos dėl leidimo, kaip apibrėžta Reglamento (EEB) Nr. 2309/93 6 straipsnyje, turinį.

7 straipsnis

Bendrijos leidimas prekiauti

1. Asmuo, atsakingas už retojo vaisto pateikimo į rinką, gali prašyti, kad leidimą prekiauti tuo vaistu Bendrija išduotų pagal Reglamento (EEB) Nr. 2309/93 nuostatas, nereikalaudama įrodyti, kad tas vaistas atitinka to reglamento priedo B dalies reikalavimus.
2. Bendrija agentūrai kasmet skiria specialų įnašą atskirai nuo tos, kuri nustatyta Reglamento (EEB) Nr. 2309/93 57 straipsnyje. Šį įnašą agentūra naudoja tik tam, kad iš dalies arba visai atsisakytų visų mokesčių, mokamų pagal Bendrijos taisykles, priimtas pagal Reglamentą (EEB) Nr. 2309/93. Kiekvienų metų pabaigoje agentūros vykdomasis direktorius pateikia išsamią specialaus įnašo naudojimo ataskaitą. Kiekvienas kurių nors metų perviršis perkeliamas į kitus metus ir išskaičiuojamas iš kitų metų specialaus įnašo.
3. Išduodamas leidimas prekiauti retuoju vaistu apima tik tas terapines indikacijas, kurios atitinka 3 straipsnyje nustatytus kriterijus. Dėl to nėra atmetama galimybė prašyti atskiro leidimo prekiauti dėl kitų indikacijų, nepriklausančių šio reglamento taikymo sričiai.

8 straipsnis

Rinkos išimtinumas

1. Tais atvejais, kai leidimas prekiauti retuoju vaistu yra išduotas pagal Reglamentą (EEB) Nr. 2309/93 arba kai visos valstybės narės yra išdavusios leidimus prekiauti Direktyvos 65/65/EEB 7 ir 7a straipsniuose arba 1975 m. gegužės 20 d. Tarybos direktyvos 75/319/EEB dėl įstatymų ir kitų teisės aktų, susijusių su patentuotais vaistais, suderinimo([6]) 9 straipsnio 4 dalyje nustatyta abipusio pripažinimo tvarka, ir

[6] OL L 147, 1975 6 9, p. 13. Direktyva su paskutiniais pakeitimais, padarytais Tarybos direktyva 93/39/EEB (OL L 214, 1993 8 24, p. 22).

nepažeisdamos intelektinės nuosavybės teisės ar kurių nors kitų Bendrijos teisės nuostatų, Bendrija ir valstybės narės 10 metų nepriima kitos paraiškos išduoti leidimą prekiauti, neišduoda leidimo prekiauti ir nepriima paraiškos pratęsti turimą leidimą prekiauti panašiu vaistu dėl tų pačių terapinių indikacijų.
2. Tačiau šis laikotarpis gali būti sumažintas iki šešerių metų, jei penktųjų metų pabaigoje nustatoma, kad tas vaistas nebeatitinka 3 straipsnyje nustatytų kriterijų *inter alia* tais atvejais, kai turimi įrodymai rodo, kad tas vaistas yra pakankamai pelningas ir kad tolesnis rinkos išimtinumas yra nepateisinamas. Tuo tikslu valstybė narė agentūrą informuoja, kad kriterijaus, pagal kurį buvo suteiktas rinkos išimtinumas, gali būti nesilaikoma ir agentūra pradeda 5 straipsnyje nustatytą procedūrą. Rėmėjas pateikia agentūrai tuo tikslu reikalingą informaciją.
3. Nukrypstant nuo 1 dalies ir nepažeidžiant intelektinės nuosavybės teisės ar kurios nors kitos Bendrijos teisės nuostatos, leidimas prekiauti panašiu vaistu dėl tų pačių terapinių indikacijų gali būti išduotas, jei:

a) leidimo prekiauti pirmuoju retuoju vaistu turėtojas yra davęs sutikimą antrajam pareiškėjui arba

b) leidimo prekiauti pirmuoju retuoju vaistu turėtojas negali tiekti pakankamo to vaisto kiekio, arba

c) antrasis pareiškėjas gali paraiškoje įrodyti, kad antrasis vaistas, nors ir panašus į jau turintį leidimą retąjį vaistą, yra saugesnis, veiksmingesnis arba kitaip kliniškai pranašesnis.

4. Komisija įgyvendinimo reglamento forma Reglamento (EEB) Nr. 2309/93 72 straipsnyje nustatyta tvarka patvirtina sąvokų „panašus vaistas“ ir „klinikinis pranašumas“ apibrėžimus.
5. Komisija, pasikonsultavusi su valstybėmis narėmis, agentūra ir suinteresuotomis šalimis, parengia išsamias šio straipsnio taikymo gaires.

9 straipsnis

Kitos paskatos

1. Pagal šio reglamento nuostatas retųjų vaistų kategorijai priskirtiems vaistams gali būti taikomos Bendrijos ir valstybių narių teikiamos paskatos, skirtos remti retųjų vaistų mokslinius tyrimus, kūrimą ir prieinamumą, ypač mažosioms ir vidutinėms įmonėms teikiama mokslinių tyrimų parama, numatyta pamatinėse mokslinių tyrimų ir taikomosios veiklos programose.
2. Iki 2000 m. liepos 22 d. valstybės narės nusiunčia Komisijai išsamią informaciją apie visas įteisintas priemones retųjų vaistų arba vaistų, kurie gali būti jiems priskirti, moksliniams tyrimams, kūrimui ir prieinamumui remti. Ta informacija reguliariai atnaujinama.
3. Iki 2001 m. sausio 22 d. Komisija paskelbia išsamų visų Bendrijos ir valstybių narių teikiamų paskatų, skirtų retųjų vaistų moksliniams tyrimams, kūrimui ir prieinamumui remti, inventorių. Tas inventorius reguliariai atnaujinamas.

10 straipsnis

Bendrasis pranešimas

Iki 2006 m. sausio 22 d. Komisija paskelbia bendrąjį pranešimą apie patirtį, įgytą taikant šį reglamentą, kartu nurodydama joje visuomenės sveikatai gautą naudą.

11 straipsnis

Įsigaliojimas

Šis reglamentas įsigalioja jo paskelbimo *Europos Bendrijų oficialiajame leidinyje* dieną.
Jis taikomas nuo 3 straipsnio 2 dalyje ir 8 straipsnio 4 dalyje minimų įgyvendinimo reglamentų priėmimo dienos.

Šis reglamentas yra privalomas visas ir tiesiogiai taikomas visose valstybėse narėse.
Priimta Briuselyje, 1999 m. gruodžio 16 d.

Europos Parlamento vardu
Pirmininkė
N. FONTAINE

Tarybos vardu
Pirmininkas
K. HEMILÄ

Autentiškas vertimas
Europos komitetas prie LR Vyriausybės
Vertimo, dokumentacijos ir informacijos centras

KOMISIJOS REGLAMENTAS (EB) Nr. 847/2000

2000 m. balandžio 27 d.
nustatantis vaisto priskyrimo retųjų vaistų kategorijai kriterijų taikymo nuostatas ir sąvokų „panašus vaistas“ bei „klinikinis pranašumas“ apibrėžimus

EUROPOS BENDRIJŲ KOMISIJA,
atsižvelgdama į Europos bendrijos steigimo sutartį,
atsižvelgdama į 1999 m. gruodžio 16 d. Europos Parlamento ir Tarybos reglamentą (EB) Nr. 141/2000 dėl retųjų vaistų([1]), ypač į jo 3 ir 8 straipsnius,
kadangi:
(1) Reglamentu (EB) Nr. 141/2000 Komisijai pavesta priimti 3 straipsniui įgyvendinti reikalingas nuostatas ir sąvokų „panašus vaistas“ bei „klinikinis pranašumas“ apibrėžimus.
(2) Siekiant įgyvendinti Reglamento (EB) Nr. 141/2000 3 straipsnį, rėmėjams ir Retųjų vaistų komitetui gali būti naudinga papildoma informacija apie veiksnius, į kuriuos reikėtų atsižvelgti nustatant paplitimą, galimą investicijų grąžą ir atitinkamą alternatyvių diagnozavimo, profilaktikos ir gydymo būdų pobūdį.
(3) Ši informacija turėtų būti pateikta laikantis Komisijos pagal Reglamento (EB) Nr. 141/2000 5 straipsnio 3 dalį parengtų gairių.
(4) Atsižvelgiant į tokių vaistų pobūdį ir tikimybę, kad ligos, kurios turi būti gydomos, yra retos, kriterijų atitikties nustatymui nereikėtų kelti per daug griežtų reikalavimų.
(5) 3 straipsnyje nurodytų kriterijų vertinimas turėtų būti grindžiamas kuo objektyvesne informacija.
(6) Turėtų būti atsižvelgta į kitas Bendrijos priemones, taikomas retų ligų srityje.
(7) Siekiant užtikrinti tinkamą Reglamento (EB) Nr. 141/2000 8 straipsnyje išdėstytų nuostatų dėl rinkos išimtinumo laikymąsi, būtina nustatyti sąvokų „panašus vaistas“ ir „klinikinis pranašumas“ apibrėžimus; nustatant šiuos apibrėžimus turėtų būti atsižvelgta į Patentuotų vaistų komiteto darbą bei patirtį, įgytą vertinant esamus vaistus ir į atitinkamas Vaistų ir medicinos prietaisų mokslinio komiteto nuomones.
(8) Tie apibrėžimai turėtų būti dar paremti Reglamento (EB) Nr. 141/2000 8 straipsnio 5 dalyje numatytomis gairėmis.
(9) Šios nuostatos turėtų būti reguliariai atnaujinamos atsižvelgiant į mokslo ir technikos duomenis bei patirtį, įgytą priskiriant retiesiems vaistams ir juos reglamentuojant.
(10) Šiame reglamente numatytos priemonės atitinka Žmonėms vartoti skirtų vaistų nuolatinio komiteto nuomonę,
PRIĖMĖ ŠĮ REGLAMENTĄ:

1 straipsnis

Tikslas

Šis reglamentas nustato veiksnius, į kuriuos turi būti atsižvelgta taikant Reglamento (EB) Nr. 141/2000 dėl retųjų vaistų 3 straipsnį, ir įteisina sąvokų „panašus vaistas“ ir „klinikinis pranašumas“ apibrėžimus taikant minėto reglamento 8 straipsnį. Jis yra skirtas padėti potencialiems rėmėjams, Retųjų vaistų komitetui ir kompetentingoms institucijoms aiškinti Reglamentą (EB) NR. 141/2000.

2 straipsnis

Priskyrimo kriterijai

1. Ligos paplitimas Bendrijoje
Siekiant pagal Reglamento (EB) Nr. 141/2000 3 straipsnio 1 dalies a punktą nustatyti, ar vaistas yra skirtas gyvybei pavojų keliančios arba chroniškai sekinančios ligos, kuria Bendrijoje serga ne daugiau kaip penki iš 10 000 asmenų, diagnozavimui, profilaktikai arba gydymui, taikomos šios konkrečios taisyklės ir pagal gaires, parengtas vadovaujantis Reglamento (EB) Nr. 141/2000 5 straipsnio 3 dalimi, pateikiami šie dokumentai:

[1] OL L 18, 2000 1 22, p. 1.

a) dokumentams priklauso pridedamos nuorodos į patikimus šaltinius, kurie rodo, kad ta liga, kuriai gydyti tas vaistas būtų skirtas, paraiškos dėl priskyrimo padavimo metu Bendrijoje serga ne daugiau kaip penki iš 10 000 asmenų, jei tokie šaltiniai egzistuoja;

b) duomenys apima atitinkamas ketinamos gydyti ligos detales ir tos ligos gyvybei pavojų keliančio ar chroniškai sekinančio pobūdžio pagrindimą, paremtą mokslinėmis ar medicininėmis nuorodomis;

c) rėmėjo pateikiami dokumentai apima arba pateikia nuorodą į atitinkamos mokslinės literatūros apžvalgą ir pateikia informaciją iš atitinkamų duomenų bazių Bendrijoje, jei jos egzistuoja. Jei Bendrijoje nėra duomenų bazių, gali būti daroma nuoroda į trečiosiose šalyse esamas duomenų bazes, jeigu daromos atitinkamos ekstrapoliacijos;

d) tais atvejais, kai liga buvo aptariama pagal Bendrijos kitų veiklos rūšių retų ligų srityje apmatus, apie tai pateikiama informacija. Jei ligos yra įtrauktos į Bendrijos finansiškai remiamus projektus siekiant pagerinti informavimą apie retas ligas, pateikiama atitinkama ištrauka iš šio informacijos šaltinio, įskaitant visų pirma duomenis apie ligos paplitimą.

2. Investicijų grąžos galimybė

Siekiant pagal Reglamento (EB) Nr. 141/2000 3 straipsnio 1 dalies a punkto antrąją pastraipą nustatyti, ar vaistas yra skirtas gyvybei pavojų keliančios, labai sekinančios ar sunkios ir chroniškos ligos Bendrijoje diagnozavimui, profilaktikai arba gydymui ir ar be paskatų neįtikėtina, jog pardavus šį vaistą Bendrijoje būtų gauta pakankamai įplaukų, kad būtų susigrąžintos investicijos, taikomos šios konkrečios taisyklės ir pagal gaires, parengtas vadovaujantis Reglamento (EB) Nr. 141/2000 5 straipsnio 3 dalimi, pateikiami šie dokumentai:

a) duomenys apima atitinkamas ketinamos gydyti ligos detales ir tos ligos gyvybei pavojų keliančio arba labai sekinančio ar sunkaus ir chroniško pobūdžio pagrindimą, paremtą mokslinėmis ar medicininėmis nuorodomis;

b) rėmėjo pateikiamuose dokumentuose yra duomenų apie rėmėjo turėtas vaisto kūrimo išlaidas;

c) pateikiamuose dokumentuose yra duomenų apie subsidijas, mokesčių lengvatas ar kitas išlaidų susigrąžinimo priemones, gautas Bendrijoje ar trečiosiose šalyse;

d) tais atvejais, kai dėl kokios nors indikacijos jau yra išduotas leidimas prekiauti vaistu arba kai tas vaistas yra tiriamas dėl vienos ar daugiau kitų indikacijų, pateikiamas suprantamas kūrimo išlaidų paskirstymo pagal įvairias indikacijas paaiškinimas ir pagrindimas;

e) pateikiama visų kūrimo išlaidų, kurių rėmėjas tikisi turėsiąs po paraiškos dėl priskyrimo padavimo, pažyma ir pagrindimas;

f) pateikiama visų gamybos ir pardavimo rinkoje išlaidų, kurias rėmėjas yra turėjęs praeityje ir tikisi turėsiąs per pirmuosius 10 metų nuo leidimo prekiauti gavimo, pažyma ir pagrindimas;

g) iš vaisto pardavimų Bendrijoje per pirmuosius 10 metų nuo leidimo prekiauti gavimo laukiamų įplaukų apskaičiavimas ir pagrindimas;

h) visos išlaidos ir įplaukos nustatomos laikantis visuotinai pripažintos apskaitos praktikos ir patvirtinamos Bendrijoje registruoto apskaitininko;

i) pateikiamuose dokumentuose informacija apie ligos, kuriai gydyti būtų skirtas vaistas, paplitimą ir dažnumą Bendrijoje paraiškos dėl priskyrimo padavimo metu.

3. Kiti diagnozės, profilaktikos arba gydymo būdai

Paraiška dėl vaisto priskyrimo retiesiems vaistams gali būti pateikiama pagal šio straipsnio 1 dalį arba 2 dalį. Neatsižvelgiant į tai, ar paraiška dėl priskyrimo paduodama pagal 1 dalį ar 2 dalį, rėmėjas gali papildomai nustatyti, kad nėra tinkamo tos ligos diagnozavimo, profilaktikos arba gydymo būdo arba, jei toks būdas yra, kad ja sergantiems asmenims tas vaistas bus akivaizdžiai naudingas.

Siekiant pagal Reglamento (EB) Nr. 141/2000 3 straipsnio 1 dalies b punktą nustatyti, ar nėra tinkamo tos ligos diagnozės, profilaktikos arba gydymo būdo arba, jei toks būdas yra, ar ja sergantiems asmenims tas vaistas bus akivaizdžiai naudingas, taikomos šios taisyklės:

a) pateikiami duomenys apie visus Bendrijoje leistus tos ligos diagnozavimo, profilaktikos arba gydymo būdus darant nuorodas į mokslinę ir medicininę literatūrą ar kitą atitinkamą informaciją. Tai

gali būti duomenys apie vaistus, kuriais leista prekiauti, medicinos prietaisus ar kitus Bendrijoje taikomus diagnozavimo, profilaktikos arba gydymo būdus;

b) arba pagrindimas, kodėl a punkte nurodyti būdai yra laikomi netinkamais;

arba

c) pagrindimas prielaidos, kad vaistas, kurį siekiama priskirti retųjų vaistų kategorijai, ta liga sergantiems asmenims bus akivaizdžiai naudingas.

4. Bendrosios nuostatos

a) Rėmėjas, paduodantis paraišką dėl vaisto priskyrimo retiesiems vaistams, to prašo bet kuriame vaisto kūrimo iki prašymo leisti prekiauti pateikimo etape. Tačiau paraiška dėl priskyrimo prašymas gali būti pateikiamas dėl naujos jau leisto vaisto terapinės indikacijos. Šiuo atveju leidimo prekiauti rinkoje turėtojas prašo atskiro leidimo prekiauti rinkoje, kuris taikomas tik retajai indikacijai ar retosioms indikacijoms.

b) Priskyrimą prie retųjų vaistų tam pačiam vaistui, skirtam tos pačios ligos profilaktikai, gydymui ar diagnozavimui, gali gauti daugiau kaip vienas rėmėjas, jeigu kiekvienu atveju kaip nustatyta 5 straipsnio 3 dalyje išdėstytuose nurodymuose, pateikiamas išsamus priskyrimo prašymas.

c) Tais atvejais, kai vaistą prie retųjų vaistų priskiria Retųjų vaistų komitetas, daroma nuoroda dėl priskyrimo kriterijų į šio reglamento 2 straipsnio 1 dalį, arba į 2 straipsnio 2 dalį.

3 straipsnis

Apibrėžimų sąvokos

1. Reglamento (EB) Nr. 141/2000 2 straipsnio apibrėžimų sąvokos taikomos terminams, vartojamiems šiame reglamente:

- „medžiaga“ – žmogui skirto vaisto, apibrėžto Direktyvos 65/65/EEB 1 straipsnyje, gamybai naudojama medžiaga.

2. Įgyvendinant Reglamento (EB) Nr. 141/2000 dėl retųjų vaistų 3 straipsnį, taikoma ši sąvoka:

- „akivaizdi nauda“ – klinikiniu atžvilgiu svarbus pranašumas ar didelis įnašas į ligonių priežiūrą.

3. Įgyvendinant Reglamento (EB) Nr. 141/2000 dėl retųjų vaistų 8 straipsnį, taikomos šios sąvokos:

a) „veiklioji medžiaga“ – fiziologiškai arba farmakologiškai aktyvi medžiaga;

b) „panašus vaistas“ – vaistas, kurio sudėtyje yra panašios veikliosios medžiagos kaip ir retajame vaiste, kuriuo prekiauti šiuo metu yra leista ir kuris yra skirtas tai pačiai terapinei indikacijai;

c) „panaši veiklioji medžiaga“ – identiška ir tuo pačiu mechanizmu veikianti veiklioji medžiaga arba veiklioji medžiaga, pasižyminti tais pačiais pagrindiniais molekulinės struktūros požymiais (bet nebūtinai pasižyminti visais tais pačiais molekulinės struktūros požymiais).

Ją sudaro:

1) pradinės veikliosios medžiagos izomerai, izomerų mišiniai, kompleksai, druskos ir nekovalentinės jungtys arba veiklioji medžiaga, kuri nuo pradinės veikliosios medžiagos skiriasi tik nedideliais molekulinės struktūros pokyčiais, pvz., struktūrinis analogas;

arba

2) ta pati makromolekulė arba makromolekulė, kuri nuo pradinės makromolekulės skiriasi tik molekulinės struktūros pokyčiais, tokiais kaip:

2.1) baltymingos medžiagos, jeigu:

- skirtumas egzistuoja dėl neprecizi̇škos transkripcijos ar transliteracijos,
- jos struktūriškai skiriasi dėl procesų, vykstančių po transliacijos (pavyzdžiui, dėl skirtingo glikozilinimo laipsnio), arba dėl skirtingų tretinių struktūrų;

- amino rūgščių sekos skirtumas nėra esminis. Dėl to dvi farmakologiškai gimininges baltyminės medžiagos, priklausančios tai pačiai grupei (pavyzdžiui, du biologiniai junginiai, turintys tą patį Tarptautinio nepatentuotos medžiagos pavadinimo (NFP) pusiaukamienį) paprastai būtų laikomos panašiomis;
- monokloniniai antikūnai suriša tą pačią tikslinę epitopę. Paprastai jie būtų laikomi panašiais;

2.2) polisacharidai, turintys vienodas pasikartojančias sacharidų grandis, net jei grandžių skaičius skiriasi ir pasibaigus polimerizacijai vyksta papildomos modifikacijos (įskaitant konjugaciją);

2.3) polinukleotidai (įskaitant genų pernašą ir antisensines medžiagas), sudaryti iš vieno ar daugiau skirtingų nukleotidų, jeigu:

- purino ir pirimidino heterociklinių bazių ar jų darinių nukleotidinės sekos skirtumas nėra esminis. Dėl to, imant antisensines medžiagas vieno ar kelių nukleotidų pridėjimas arba pašalinimas, neturintis didesnio poveikio antisensinio oligonukleotido tikslinės hibridizacijos greičiui, jos paprastai būtų laikomos panašiomis. Imant genų pernašos medžiagas, jeigu jų sekos skirtumai nėra esminiai, jos paprastai būtų laikomos panašiomis,
- ribozės ar deoksiribozės cukraus pagrindinės molekulės modifikacijos arba pagrindinės molekulės pakeitimas sintetiniais analogais nulemia jų struktūrinius skirtumus,
- skirtumas atsiranda pasirenkant vektorių ar pernašos sistemą;

2.4) gimininges sudėtingos struktūros ir iš dalies apibūdinamos medžiagos (pavyzdžiui, dvi tarpusavyje gimininges virusinės vakcinos arba du tarpusavyje gimininges produktai, naudojami ląstelinėje terapijoje);

arba

3) ta pati radiofarmacinė veiklioji medžiaga arba ta, kuri nuo pradinės veikliosios medžiagos skiriasi radionuklidu, ligandu, ženklinimo vieta ar molekulės ir radionuklido kopuliavimo mechanizmu, jungiančiu molekulę ir radionuklidą, jeigu ji veikia tuo pačiu mechanizmu;

d) „kliniškai pranašesnis“ reiškia, kad vienu ar daugiau iš toliau nurodytų būdų įrodoma, jog vaistas terapiniu ar diagnostiniu aspektu yra gerokai pranašesnis už leidžiamą vartoti retąjį vaistą:

1) didesnis nei leidžiamo vartoti retojo vaisto veiksmingumas (atitinkamais ir gerai kontroliuojamais klinikiniais bandymais įvertintas pagal poveikį klinikiniu atžvilgiu reikšmingame ekvivalentiniame taške). Apskritai tai turėtų būti to paties pobūdžio įrodymai, kurių reikia dviejų skirtingų vaistų tariamam lyginamajam veiksmingumui patvirtinti. Paprastai reikalingi tiesioginiai lyginamieji klinikiniai bandymai, tačiau gali būti lyginama kituose ekvivalentiniuose taškuose, įskaitant pakaitalo ekvivalentinius taškus. Bet kuriuo atveju metodologija turėtų būti pagrindžiama;
arba
2) didesnė sauga didesnei tikslinės asmenų grupės ar grupių daliai. Kai kuriais atvejais bus reikalingi lyginamieji klinikiniai bandymai;
arba
3) išimtiniais atvejais, kai neįrodoma nei didesnė sauga, nei didesnis veiksmingumas, įrodymas, kad tas vaistas kitais atžvilgiais labai padeda diagnozavimui ar ligonių priežiūrai.

4 straipsnis
Įsigaliojimas

Šis reglamentas įsigalioja kitą dieną po tos, kai jį priima Komisija, ir taikomas nuo tos pačios dienos.
Šis reglamentas yra privalomas visas ir tiesiogiai taikomas visose valstybėse narėse.

Priimta Briuselyje, 2000 m. balandžio 27 d.

Komisijos vardu
Komisijos narys
Erkki LIIKANEN

VALSTYBINĖS LIGONIŲ KASOS
PRIE SVEIKATOS APSAUGOS MINISTERIJOS DIREKTORIAUS
Į S A K Y M A S

DĖL SPRENDIMŲ DĖL VAISTŲ IR MEDICINOS PAGALBOS PRIEMONIŲ LABAI RETOMS LIGOMS IR BŪKLĖMS GYDYTI KOMPENSAVIMO IR DĖL NENUMATYTŲ ATVEJŲ PRIĖMIMO KOMISIJOS DARBO REGLAMENTO PATVIRTINIMO

2005 m. lapkričio 22 d. Nr. 1K-149
Vilnius

Vadovaudamasis Galūnių, sąnarių ir organų protezavimo darbų bei protezų ir kitų centralizuotai įsigyjamų medikamentų ir medicinos priemonių pirkimo išlaidų kompensavimo tvarkos, patvirtintos Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 1998 m. kovo 20 d. įsakymu Nr. 151 (Žin., 1998, Nr. 33-894; 1999, Nr. 7-159), 14 punktu:

1. T v i r t i n u Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamentą (pridedama).

2. P a v e d u įsakymo vykdymo kontrolę direktoriaus pavaduotojui Haroldui Baubinui.

DIREKTORIUS ALGIS SASNAUSKAS

_____

PATVIRTINTA
Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus
2005 m. lapkričio 22 d. įsakymu Nr. 1K-149

SPRENDIMŲ DĖL VAISTŲ IR MEDICINOS PAGALBOS PRIEMONIŲ LABAI RETOMS LIGOMS IR BŪKLĖMS GYDYTI KOMPENSAVIMO IR DĖL NENUMATYTŲ ATVEJŲ PRIĖMIMO KOMISIJOS DARBO REGLAMENTAS

I. BENDROSIOS NUOSTATOS

1. Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti bei dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos (toliau – komisija) darbo reglamentas (toliau – reglamentas) nustato komisijos sudarymo tvarką, jos kompetenciją, prašymų pateikimo, jų nagrinėjimo, sprendimų priėmimo ir darbo tvarką bei vaistų ir medicinos pagalbos priemonių bei ortopedijos techninių priemonių (toliau – priemonių) įsigijimo bei kompensavimo tvarką.

2. Komisijos veikla grindžiama teisėtumo, teisingumo, įstatymo viršenybės, objektyvumo, tarnybinio bendradarbiavimo, proporcingumo, nepiktnaudžiavimo valdžia, kolegialumo, pacientų gerovės, visuomenės interesų ir Privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto galimybių suderinamumo bei kitais demokratinio administravimo principais.

3. Labai reta liga ar būklė – tai per metus pasitaikantys pavieniai ypatingi ligos ar būklės atvejai, kuriems gydyti reikiamų vaistų ar priemonių kiti kompensavimo būdai nenumatyti.

4. Nenumatyti atvejai – tai atvejai, susiję su tam tikromis aplinkybėmis, kurių nebuvo galima numatyti (išskyrus būtinąją pagalbą).

5. Vaistų ir priemonių, skiriamų labai retų ligų ir būklių bei nenumatytais atvejais, įsigijimo išlaidos kompensuojamos iš Privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto lėšų, neviršijant jiems skirtos lėšų sumos.

II. KOMISIJOS SUDARYMO TVARKA IR KOMPETENCIJA

6. Komisija sudaroma Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos (toliau – VLK) direktoriaus įsakymu. Komisiją sudaro 5 komisijos nariai. Komisijai vadovauja komisijos pirmininkas, jei jo

nėra – pirmininko pavaduotojas. Komisijos pirmininkas ir jo pavaduotojas tvirtinami VLK direktoriaus įsakymu dėl komisijos sudarymo ir darbo reglamento.

7. Komisiją techniškai aptarnauja VLK Sveikatos priežiūros organizavimo skyrius (toliau – SPOS).

8. Komisija pagal SPOS vedėjo paskirto darbuotojo pateiktą medžiagą:

8.1. nagrinėja asmens sveikatos priežiūros įstaigų (toliau – gydymo įstaigų) pateiktus prašymus (toliau – prašymai) kompensuoti vaistus ir priemones labai retų ligų ir būklių bei nenumatytais atvejais;

8.2. priima sprendimus dėl individualiai perkamų vaistų ir priemonių įsigijimo bei kitų su gydymu susijusių išlaidų kompensavimo iš Privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto;

8.3. ypatingais atvejais priima sprendimus dėl išankstinio mokėjimo už pacientų, siunčiamų gydytis į užsienį Sveikatos apsaugos ministerijos komisijos sprendimu, gydymą;

8.4. priima sprendimus dėl revizinių (pakartotinių) ir nestandartinių endoprotezų arba jų komponentų ir papildomai operacijų metu panaudotų medicinos pagalbos priemonių bei individualiai gaminamų specialių endoprotezų įsigijimo išlaidų kompensavimo iš Privalomojo sveikatos draudimo fondo biudžeto.

9. Komisija turi teisę gauti iš VLK skyrių bei gydymo įstaigų visą informaciją, reikalingą sprendimams priimti.

III. PRAŠYMŲ PATEIKIMO TVARKA

10. VLK pateikiamas gydymo įstaigos, turinčios sutartį su teritorine ligonių kasa dėl asmens sveikatos priežiūros paslaugų apmokėjimo, vadovo pasirašytas prašymas kompensuoti reikiamo vaisto ar priemonės įsigijimo išlaidas ir gydytojų konsiliumo išvados (išskyrus 8.3 ir 8.4 punktuose aprašytus atvejus).

11. Kompensuojamojo gydymo skyrimo tikslingumą labai retų ligų ir būklių atvejais nustato universitetų ar tretinio lygio paslaugas teikiančių, o nenumatytais atvejais – ir kitų gydymo įstaigų gydytojų konsiliumas. Jei gydymą reikia tęsti ilgiau nei metus, po metų jo tikslingumą turi pakartotinai pagrįsti gydytojų konsiliumas.

12. Gydytojų konsiliumo išvados turi būti patvirtintos konsiliume dalyvavusių gydytojų parašais (ne mažiau kaip 3 parašais).

13. Gydytojų konsiliumo išvadose turi būti nurodyta:

13.1. paciento duomenys,

13.2. klinikinė diagnozė (lietuvių ir lotynų kalbomis), jos nustatymo data, jei yra, TLK-10 kodas,

13.3. diagnostinių tyrimų rezultatai, patvirtinantys ligą ar būklę, diagnostinių tyrimų atlikimo data,

13.4. taikytas gydymas, jo rezultatai,

13.5. reikiamo vaisto ar priemonės bendrinis bei firminis pavadinimai, vienkartinė ir kurso dozė, kaina, gamintojas, tiekėjas,

13.6. ligos ar būklės retumą patvirtinantys statistiniai duomenys, duomenų šaltinis.

14. Visais atvejais vaisto ir priemonės kompensavimo tikslingumas turi būti pagrįstas išsamia gydymo prognoze.

15. Prašymai priimami ir registruojami VLK kanceliarijoje bendra tvarka vadovaujantis raštvedybos taisyklėmis.

16. Prašymai, pateikti nesilaikant šiame reglamente išdėstytų reikalavimų, nenagrinėjami. Tokiu atveju SPOS informuoja pareiškėją apie prašymų pateikimo tvarką. Išskirtiniais atvejais, gavusi asmens prašymą, komisija gali savo iniciatyva nuspręsti svarstyti gydymo kompensavimo klausimą.

IV. PRAŠYMŲ NAGRINĖJIMO TVARKA

17. Komisijos posėdžiai vyksta 2 kartus per mėnesį, o prireikus – dažniau.

18. Prieš pradėdami darbą komisijos nariai ir SPOS darbuotojai pasirašo nešališkumo deklaraciją.

19. Medžiagą komisijai rengia ir pristato SPOS vedėjo paskirtas darbuotojas, kuris:

19.1. surenka visus reikiamus medicinos dokumentus;

19.2. jei būtina, atlieka ekspertinį vertinimą vietoje (gydymo įstaigoje ar ligonio buvimo vietoje);

19.3. prireikus kreipiasi į Sveikatos apsaugos ministerijos specialistą konsultantą dėl informacijos apie labai retą ligą ar būklę (jos atvejų skaičių Lietuvoje, gydymo alternatyvą ir kt.);

19.4. surenka informaciją apie vaisto ar priemonės kainas;

19.5. vadovaudamasis sukaupta medžiaga, parengia įvertinimo pažymą, kurioje pagrindžia reikalingo vaisto ar priemonės įsigijimo išlaidų kompensavimo tikslingumą, galimas išlaidas ir pateikia išvadą – siūlymą komisijai tenkinti ar netenkinti prašymą kompensuoti minėtas išlaidas.

20. Komisijos posėdžio metu kiekvienu svarstytu klausimu rašomas protokolas. Protokolą rašo komisijai pateikęs svarstyti medžiagą SPOS darbuotojas, jį pasirašo komisijos pirmininkas ir posėdyje dalyvavę komisijos nariai, vienas iš parašų būtinai turi būti komisijos pirmininko arba jo pavaduotojo.

21. Sprendimai priimami, jei posėdyje dalyvauja ne mažiau kaip pusė komisijos narių.

22. Sprendimas priimamas posėdyje dalyvaujančių komisijos narių paprasta balsų dauguma. Jei balsai pasiskirsto po lygiai, lemia komisijos pirmininko balsas, jei jo nėra, komisijos pirmininko pavaduotojo balsas.

23. Komisija, išnagrinėjusi prašymą, priima vieną iš šių sprendimų ir juos motyvuoja:

23.1. visiškai kompensuoti (apmokėti);

23.2. iš dalies kompensuoti (apmokėti), nurodant kompensuojamąją (apmokamą) dalį;

23.3. nekompensuoti (neapmokėti);

23.4 skirti papildomą ekspertizę, jei trūksta duomenų sprendimui priimti;

23.5. nepriimti sprendimo (jei pateiktas klausimas nepriskirtinas komisijos kompetencijai).

24. Komisija savo tvarkomuosiuose posėdžiuose nustato sprendimų priėmimo kriterijus atsižvelgdama į lėšų kiekį bei kitas aplinkybes.

25. Komisija prašymą nagrinėja ir priima sprendimą ne vėliau kaip per 30 dienų nuo prašymo gavimo datos.

26. Priėmus sprendimą skirti papildomą ekspertizę, prašymą nagrinėjęs SPOS darbuotojas surenka trūkstamą informaciją ir ne vėliau kaip per 10 dienų nuo papildomos informacijos gavimo pakartotinai ją teikia komisijai.

27. Komisijai priėmus sprendimą visiškai ar iš dalies kompensuoti 8.3 ir 8.4 punktuose nurodytais atvejais, dokumentai perduodami VLK Apskaitos skyriui. Kitais atvejais taikoma V skyriuje aprašyta vaistų ir priemonių įsigijimo procedūra.

V. VAISTŲ IR PRIEMONIŲ ĮSIGIJIMO BEI JŲ IŠLAIDŲ KOMPENSAVIMO PROCEDŪRA

28. Vadovaudamasis komisijos sprendimu, SPOS darbuotojas parengia garantinio rašto gydymo įstaigai projektą, kurį vizuoja komisijos pirmininkas, jei jo nėra, jo pavaduotojas. Garantiniame rašte nurodoma paciento, kuriam numatoma kompensuoti vaistų ar priemonių įsigijimo išlaidas, pavardė, vaisto ar priemonės pavadinimas, vieneto kaina, kiekis ir kompensuojamoji suma, kitos sąlygos.

29. Gydymo įstaiga, gavusi garantinį raštą dėl vaistų ar priemonių įsigijimo išlaidų kompensavimo, rūpinasi jų įsigijimu ar pagaminimu ir pritaikymu teisės aktų nustatyta tvarka.

30. Jei dėl kokių nors priežasčių vaistai ar priemonės nebuvo panaudotos garantiniame rašte nurodytam pacientui arba buvo panaudotas ne visas jų kiekis, gydymo įstaiga gali juos skirti kitam pacientui tik šios komisijos sprendimu. Jei gydymo įstaiga vaistus ar priemones panaudoja savo nuožiūra, jų įsigijimo išlaidų VLK nekompensuoja.

31. Jei vaistai ar priemonės buvo panaudotos be komisijos sprendimo ar juos pacientas įsigijo savo lėšomis, jų įsigijimo išlaidos nekompensuojamos.

32. Gydymo įstaiga, sunaudojusi vaistus ar priemones pacientui gydyti ar juos jam išdavusi, pateikia VLK prašymą kompensuoti vaistų ar priemonių išlaidas, firmos tiekėjos sąskaitos ir perdavimo–priėmimo akto kopijas bei priemonių panaudojimą patvirtinančius dokumentus (perdavimo–priėmimo aktą, pasirašytą paciento, arba skyriaus administracijos priemonių panaudojimo stacionare ataskaitą).

33. Ortopedijos techninių priemonių išdavimo atvejais gydymo įstaiga pateikia priemonių panaudojimą patvirtinančius dokumentus (užsakymo priėmimo–išdavimo lapą, pasirašytą paciento, medžiagų nurašymo aktą).

34. VLK, gavusi 32 ar 33 punkte išvardintus dokumentus, per 30 dienų perveda gydymo įstaigai prašyme nurodytą, bet ne didesnę nei nurodytoji garantiniame rašte, sumą.

35. Išimtiniais atvejais vaistų ar priemonių pirkimą gali organizuoti VLK.

_____

VALSTYBINĖS LIGONIŲ KASOS
PRIE SVEIKATOS APSAUGOS MINISTERIJOS DIREKTORIAUS
Į S A K Y M A S

DĖL VALSTYBINĖS LIGONIŲ KASOS PRIE SVEIKATOS APSAUGOS MINISTERIJOS DIREKTORIAUS 2005 M. LAPKRIČIO 22 D. ĮSAKYMO NR. 1K-149 „DĖL SPRENDIMŲ DĖL VAISTŲ IR MEDICINOS PAGALBOS PRIEMONIŲ LABAI RETOMS LIGOMS IR BŪKLĖMS GYDYTI KOMPENSAVIMO IR DĖL NENUMATYTŲ ATVEJŲ PRIĖMIMO KOMISIJOS DARBO REGLAMENTO PATVIRTINIMO“ PAKEITIMO

2008 m. birželio 11 d. Nr. 1K-93
Vilnius

Atsižvelgdamas į Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos vidaus audito 2007 m. rugpjūčio 10 d. ataskaitoje Nr. 2 „Sveikatos priežiūros organizavimo skyriaus veiklos ir valdymo auditas“ pateiktas rekomendacijas bei vadovaudamasis Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2007 m. rugsėjo 27 d. įsakymu Nr. 150 „Dėl Vidaus audito rekomendacijų įgyvendinimo priemonių plano patvirtinimo“,

p a k e i č i u Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamentą, patvirtintą Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymu Nr. 1K-149 „Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“ (Žin., 2005, Nr. 139-5037):

1. 8 punkte vietoj žodžių „vedėjo paskirto darbuotojo“ įrašau žodžius „ ‚Ortopedijos technikos kompensavimo skyriaus, Vaistų kompensavimo skyriaus, Sveikatos priežiūros įstaigų aprūpinimo skyriaus arba Paslaugų ekspertizės, metodinio vadovavimo ir kontrolės skyriaus vedėjo paskirto eksperto (toliau – paskirto eksperto)“.

2. 8.4 punkte vietoj žodžių „bei individualiai gaminamų specialių endoprotezų“ įrašau žodžius „ ‚individualiai gaminamų specialių endoprotezų bei ortopedijos priemonių“.

3. Papildau nauju 8.5 punktu:

„8.5. priima sprendimus dėl dantų protezavimo paslaugų teikimo skubos tvarka ir dantų protezavimo išlaidų kompensavimo, jei kramtymo funkcijos negalima atlikti dėl retos būklės ir (arba) sunkios ligos, ir jei kramtymo funkcijos sutrikimas yra kitų organų sunkios ligos ar nepagijimo priežastis.“

4. 13.5 punkte vietoj žodžių „kaina, gamintojas, tiekėjas“ įrašau žodžius „planuojama gydymo trukmė, vaistinio preparato registracijos duomenys“.

5. Papildau nauju 14^1 punktu:

„14^1. Gydymo įstaiga privalo pateikti medicinos etikos komisijos išvadą (jei vaistinio preparato skyrimo terapinės indikacijos neįregistruotos) ir vardinio vaistinio preparato skyrimo pacientui pareiškimo kopiją (jei vaistinis preparatas neįregistruotas).“

6. 18 punkte vietoj žodžių „SPOS darbuotojai“ įrašau žodžius „paskirti ekspertai“.

7. 19 punkte vietoj žodžių „SPOS vedėjo paskirtas darbuotojas“ įrašau žodžius „paskirtas ekspertas“.

8. 19.5 punkte po žodžio „pažymą,“ įrašau žodžius „kurią vizuoja paskirto eksperto skyriaus vedėjas ir“.

9. 20 punkto antrajame sakinyje vietoj žodžio „SPOS darbuotojas“ įrašau žodžius „paskirtas ekspertas“.

10. 26 punkte vietoj žodžio „darbuotojas“ įrašau žodžius „paskirtas ekspertas“.

11. 28 punkte:

11.1. pirmajame sakinyje vietoj žodžių „ ‚SPOS darbuotojas“ įrašau žodžius „visiškai ar iš dalies kompensuoti vaistų ar priemonių įsigijimo išlaidas, paskirtas ekspertas per 5 darbo dienas“;

11.2. papildau nauju trečiuoju sakiniu: „Jei Komisija nusprendžia nekompensuoti vaistų ar priemonių įsigijimo išlaidų, paskirtas ekspertas per 5 darbo dienas parengia gydymo įstaigai informacinį raštą, kuriame išdėsto neigiamo sprendimo priėmimo motyvus.“

12. 29 punkte po žodžio „pagaminimu“ įrašau žodžius „ ,išdavimu pacientui arba jo atstovui“.

13. 30 punkte:

13.1. papildau nauju antruoju sakiniu: „Šiuo atveju dokumentai teikiami šio reglamento nustatyta tvarka.“;

13.2. buvusį antrą sakinį laikau trečiuoju.

14. 32 punkte po žodžio „akto“ įrašau žodį „patvirtintas“.

DIREKTORIUS ALGIS SASNAUSKAS

_____

AUTORĖS PUBLIKACIJŲ SĄRAŠAS

ŠPOKIENĖ, I. Retųjų vaistų prieinamumo problema įgyvendinant teisę į sveikatos priežiūrą. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 64– 72.

ŠPOKIENĖ, I. Retomis ligomis sergančių pacientų situacijos Lietuvoje teisinis vertinimas [orig. Legal assessment of current situation on orphan patients in Lithuania]. *Medicina.* 2008, 44(8): 571– 576.

STAKIŠAITIS, D., ŠPOKIENĖ, I., JUŠKEVIČIUS, J., VALUCKAS, K. V., BAIARDI, P. EuOrphan paslauga – informacija apie vaistų, skirtų gydyti retas ligas, prieinamumą [orig. Access to information supporting availability of medicines for patients suffering from rare diseases looking for possible treatments: the EuOrphan Service]. *Medicina.* 2007, 43(6): 441– 446.

ANOTACIJA

Šioje disertacijoje pirmą kartą Lietuvos teisiniame diskurse nagrinėjama retoms ligoms gydyti skirtų vaistų (vadinamųjų *retųjų vaistų*) prieinamumo reglamentavimo tema.

Disertacijos tikslas – išanalizuoti retųjų vaistų prieinamumo reguliavimą ES ir Lietuvos teisėje, įvertinti jo santykį su valstybės pareiga užtikrinti pacientų aprūpinimą jiems reikalingais vaistais ir nustačius šio reguliavimo disfunkciją nacionalinėje teisėje pasiūlyti galimus sprendimo būdus. Šiam tikslui pasiekti tyrimas suskirstytas į tris dalis. Pirmoje gilinamasi į retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo istorinius-teisinius aspektus ir teorinius ypatumus. Antroje – nagrinėjamos išskirtos retųjų vaistų prieinamumo teisinės prielaidos. Siekiama išsiaiškinti valstybės įsipareigojimų pacientams užtikrinti retųjų vaistų prieinamumą teisinius pagrindus ir tuo pačiu reta liga sergančio paciento lūkesčių ir interesų, jog egzistuojantys vaistai būtų prieinami teisinį pagrįstumą. Trečioje dalyje formuluojamas retųjų vaistų prieinamumo skatinimo bei užtikrinimo reguliavimo ES ir Lietuvoje koncepcinis modelis. Išanalizuotos Bendrijos lygiu įteisintos paskatos retųjų vaistų kūrimui, teisinės išimtys dėl pacientų gydymo neregistruotais vaistais, išnagrinėtas retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kompensavimo reglamentavimas Lietuvoje. Pabaigoje apžvelgiamos valstybių ES narių teisinės iniciatyvos gerinant retųjų vaistų prieinamumą. Disertacijoje atlikto tyrimo rezultatas – keturios išvados ir trys pasiūlymai.

ANNOTATION

The dissertation for the first time in Lithuanian legal discourse examines the issue of regulation of access to medicinal products intended for treatment of rare diseases (so-called *orphan medicinal products*).

The purpose of the dissertation is to examine the regulation of availability of orphan medicinal products in EU and Lithuanian law, to evaluate the relationship of this regulation with the state obligation to ensure that the patients are supplied with the needed medical products; and, having established the regulatory dysfunction in national law – to propose possible solutions. For this purpose the study is divided into three parts. The first part of the study explores the historical and legal aspects, as well as the theoretical characteristics of regulation of the availability of the orphan medicinal products. The second part establishes legal presumptions of availability of orphan medicinal products. It is sought to determine the legal basis of the state's obligation to the patients to ensure the availability of orphan medical products; and at the same time to evaluate the legal validity of expectations and interests of a patient ill with a rare disease that the existing medicinal products are available. In the third part the conceptual model of European and Lithuanian legal regulation aimed at promotion and ensuring availability of orphan medicinal products is formulated. The Community level incentives for development of orphan medicinal products are analyzed, legal exceptions regarding treatment of patients with not authorised medicinal products are examined, Lithuanian regulation of reimbursement of medicinal products intended for treatment of rare diseases is studied. Finally, the dissertation provides an overview of the EU Member States' legislative initiatives aimed at improving access to orphan medicinal products. The result of the dissertation study is summarized in four findings and three proposals.