MYKOLAS ROMERIS UNIVERSITY

Indrė Špokienė

LEGAL REGULATION OF ACCESS TO ORPHAN MEDICINAL PRODUCTS IN HEALTH LAW

Summary of Doctoral Dissertation
Social Sciences, Law (01 S)

Vilnius, 2009

The Doctoral Dissertation was written during the period of 2005-2009 at Mykolas Romeris University.

Scientific supervisor:

Assoc. Prof. Dr. Jonas Juškevičius (Mykolas Romeris University, Social Sciences, Law – 01 S)

Scientific adviser:

Prof. Habil. Dr. Donatas Stakišaitis (State Medicines Control Service under the Ministry of Health of the Republic of Lithuania, Biomedical Sciences, Medicine – 07 B)

The Doctoral Disseration is defended at the Law Research Council of Mykolas Romeris University:

Chairman of the Council:

Prof. Dr. Gediminas Mesonis (Mykolas Romeris University, Social Sciences, Law – 01 S)

Members:

Prof. Dr. Kazys Meilius (Mykolas Romeris University, Social Sciences, Law – 01 S)

Dr. Linas Baublys (Mykolas Romeris University, Social Sciences, Law – 01 S)

Assoc. Prof. Dr. Julija Kiršienė (Vytautas Magnus University, Social Sciences, Law – 01 S)

Assoc. Prof. Dr. Edita Gruodytė (Vytautas Magnus University, Social Sciences, Law – 01 S)

Opponents:

Dr. Egidija Stauskienė (Mykolas Romeris University, Social Sciences, Law – 01 S)

Assoc. Prof. Dr. Zita Liubarskienė (Kaunas University of Medicine, Biomedical Sciences, Public Health – 10 B)

The public defence of the Doctoral Dissertation will take place at the Law Research Council at Mykolas Romeris University on January 8, 2010 at 2:00 PM in the Senate Hall of Mykolas Romeris University (Room II-230).

Address: Ateities str. 20, LT 08303 Vilnius, Lithuania.
The summary of the Doctoral Dissertation was sent out on December 7, 2009.

The Doctoral Dissertation is available at Martynas Mazvydas National Library of Lithuania (Gedimino ave. 51, Vilnius, Lithuania) and the Library of Mykolas Romeris University (Ateities str. 20 and Valakupių str. 5, Vilnius, Lithuania; V. Putvinskio str. 70, Kaunas, Lithuania).

MYKOLO ROMERIO UNIVERSITETAS

Indrė Špokienė

RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO REGLAMENTAVIMAS SVEIKATOS TEISĖJE

Daktaro disertacijos santrauka

Socialiniai mokslai, teisė (01 S)

Vilnius, 2009

Disertacija rengta 2005–2009 metais Mykolo Romerio universitete.

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)

Disertacija ginama Mykolo Romerio universiteto Teisės mokslo krypties taryboje:

Pirmininkas:

prof. dr. Gediminas Mesonis (Mykolo Romerio universitetas, socialiniai mokslai, teisė – 01 S)

Nariai:

prof. dr. Kazimieras Meilius (Mykolo Romerio universitetas, socialiniai mokslai, teisė – 01 S)

dr. Linas Baublys (Mykolo Romerio universitetas, socialiniai mokslai, teisė – 01 S)

doc. dr. Julija Kiršienė (Vytauto Didžiojo universitetas, socialiniai mokslai, teisė – 01 S)

doc. dr. Edita Gruodytė (Vytauto Didžiojo universitetas, socialiniai mokslai, teisė – 01 S)

Oponentai:

dr. Egidija Stauskienė (Mykolo Romerio universitetas, socialiniai mokslai, teisė – 01 S)

doc. dr. Zita Liubarskienė (Kauno medicinos universitetas, biomedicinos mokslai, visuomenės sveikata – 10 B)

Disertacija bus ginama viešame Teisės mokslo krypties tarybos posėdyje 2010 m. sausio 8 d. 14 val. Mykolo Romerio universiteto Senato salėje (II-230 aud.).

Adresas: Ateities g. 20, LT-08303 Vilnius, Lietuva.

Disertacijos santrauka išsiuntinėta 2009 m. gruodžio 7 d.

Disertaciją galima peržiūrėti Lietuvos nacionalinėje Martyno Mažvydo (Gedimino pr. 51, Vilnius) ir Mykolo Romerio universiteto (Ateities g. 20 ir Valakupių g. 5, Vilnius; V. Putvinskio g. 70, Kaunas) bibliotekose.

Indrė Špokienė

LEGAL REGULATION OF ACCESS TO ORPHAN MEDICINAL PRODUCTS IN HEALTH LAW

Summary

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"[1] 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 Parliament and of the Council on Orphan Medicinal Products[2], 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[3], in the UK – regarding the refusal to reimburse effective but very expensive medicinal products intended for treatment of breast cancer[4], in Italy – regarding reimbursement of experimental medicinal products intended for treatment of cancer[5]. The petitions[6,7] 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"[8], "Rare disease patients – outsiders for life"[9], "Patients in labyrinths of rare diseases"[10], "Rare diseases plague not only the

[1] Orphan Drug Act of 1983. *Pub. L*. 1983, No. 97-414.
[2] 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] *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).
[4] *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>.
[5] 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.
[6] 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.
[7] 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.
[8] Srėbalienė, A. Retos ligos: aukos ir pinigai. Ekstra. Vilnius, 2004-12-13, p. 50–52.
[9] Budvytienė, G. Sergantieji retomis ligomis – gyvenimo užribyje. *Kauno diena*. Kaunas, 2005-04-06.
[10] Taraškevičienė, M. Pacientai retų ligų labirintuose. *Valstiečių laikraštis*. Vilnius, 2008-04-05.

patients”[11], “Rare diseases – a puzzle to doctors in province”[12], “Diagnosed late, treatment is extremely expensive”[13], “Utterly alone with a serious illness”[14], “Exclusive treatment – for exceptional personalities”[15], “Medicine against cancer – only to every third”[16], “Doctors’ headaches: how not to condemn a patient to death”[17]) 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[18] 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

---

[11] Juškevičienė, J. Reta liga vargina ne tik ligonį. *Klaipėda.* Klaipėda, 2006-06-08.
[12] 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>.
[13] Bernotaitė, J. Diagnozuojamos pavėluotai, gydymas nepaprastai brangus. *Lietuvos medicinos kronika.* 2008-03-05.
[14] Žičkus, E., Alasauskytė, G. Vienui vieni su sunkia liga. *Vakaro žinios.* Vilnius, 2007-09-22.
[15] Kučinskaitė, J. Išskirtinis gydymas – išskirtinėms asmenybėms. *Veidas.* Vilnius, 2006, Nr. 23.
[16] Jančorienė, M. Vaistai nuo vėžio – tik kas trečiam. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2009-02-21.
[17] 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>.
[18] 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>.

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[19,20]. The main concept of this dissertation is the one of *availability of orphan medicinal 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.

[19] Jankauskienė, D., Pečiūra, R. *Sveikatos politika ir valdymas*. Vilnius: MRU, 2007, p. 125–130.

[20] 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 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].

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 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[21], 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[22]; the document approved by the Working Group on Pricing of the Pharmaceutical Forum – "Improving Access to Orphan Medicines for all Affected EU Citizens"[23]. 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[24], 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[25], 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[26].

---

[21] 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.

[22] 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 > .

[23] 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>.

[24] 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>.

[25] De Varax A., Lerellier, M., Börtlein, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005.

[26] 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>.

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*[27]. M. E. Haffner, J. Whitley and others assessed the two decades long experience of legal regulation of orphan medicinal products in the United States[28]. Legal aspects of Japanese regulation of orphan medicinal products were addressed by K. Uchida, M. Shiragami and K. Nakai, A. S. Meyers[29]. 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[30].

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)[31]. 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.

---

[27] 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.

[28] 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.

[29] 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.

[30] 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>.

[31] 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>.

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*[32] 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*[33] 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[34].

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[35] 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.[36], professor A. Hollis of University of Calgary (Canada)[37], prominent economist M. F Drummond[38]. A particularly interesting academic discussion on the subject of economic availability of

---

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

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

[34] 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.

[35] 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, Garratini, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology*. 2006, 61: 355–360; Joppi, R., Bertele, V, Garratini, 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.

[36] 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., Garratini, S. Orphan drug development is progressing too slowly. *British Journal of Clinical Pharmacology*. 2006, 61: 355–360.

[37] 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>.

[38] 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.

orphan medicinal products took place between the British health economists D. A. Huges[39] et al. and C. McCabe et al., which was published in the journal *QJM: an International Journal of Medicine* in 2005-2006[40]. 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[41].

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 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[42]; 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*[43].

A publication titled "Orphan Drugs in Europe: pricing, reimbursement, funding and market access issues" [44] (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.

---

[39] 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.

[40] McCabe, C., Tsuchiya, A., Claxton, K., *et al*. Orphan drug revisited. *Q J Med*. 2006, 99: 341–345.

[41] 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>.

[42] 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>.

[43] 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.

[44] 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>.

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.

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[45], 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[46] 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

[45] Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases. [2009] OJ C 151/02.
[46] 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.

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[47]. 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 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

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

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[48] 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 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.

[48] 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>.

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[49] 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.

[49] 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.

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 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[50]. 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

[50] Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases. [2009] OL C 151/02.

co-developing orphan medicinal products, especially in the context of anticipated Santara valley development programme[51].

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.

[51] 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.].

CURRICULUM VITAE

Indrė Špokienė was born on May 8, 1980 in Vilnius.

Education:

1986–1998 Vilnius Radvilų Secondary School, Certificate of Secondary Education.
1998–2002 Vilnius Pedagogical University, Qualification Degree of Bachelor in Sociology.
2002–2005 Mykolas Romeris University, Qualification Degree of Master in Science of Law.
2005–2009 Post-graduate studies at Mykolas Romeris University, Faculty of Law, Department of Biolaw.

Work experience:

2006-2008 Lecturer at Mykolas Romeris University, Faculty of Law, Department of Biolaw.

Contacts:

e-mail: indrespokiene@gmail.com

LIST OF SCIENTIFIC PUBLICATIONS

1. Špokienė, I. The problem of accessibility of orphan medicinal products in the light of the right to health care [orig. „Retųjų vaistų prieinamumo problema įgyvendinant teisę į sveikatos priežiūrą“]. *Jurisprudencija.* 2008, 12(114): 64– 72.
2. Špokienė, I. Legal assessment of current situation on orphan patients in Lithuania. *Medicina.* 2008, 44(8): 571– 576.
3. Stakišaitis, D., Špokienė, I., 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.

Indrė Špokienė

RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO REGLAMENTAVIMAS SVEIKATOS TEISĖJE

Santrauka

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: Lietuvos 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, tiek apskritai pasauliniu mastu, – retoms ligoms gydyti skirtų vaistinių preparatų (vadinamųjų *retųjų vaistų*) 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 sunkiai sergančiųjų sveikatą ar net išgelbėti gyvybes, netobulintos ir neteiktos rinkai dėl finansinio nesuinteresuotumo. Todėl *retas ligas*, kurioms priskiriamos genetinės (paveldimos) ligos, retos vėžio formos, autoimuninės ligos, įgimtos ydos, apsinuodijimo sukeltos būklės ir kai kurios infekcinės (*atogrąžų*) 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 (1983 metais čia priimtas ,,Retųjų vaistų aktas“[52]), o neužilgo amerikiečių pavyzdžiu pasekė ir kai kurios kitos pasaulio šalys, taip pat ir

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

ES, priimdama Europos Parlamento ir Tarybos reglamentą (EB) Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“[53], retųjų vaistų prieinamumo klausimas 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, JAV – apie 25 milijonus. Paskaičiuota, jog Lietuvoje tokių ligonių yra maždaug apie 200 000–240 000. Iš jų genetinėmis ligomis serga apie 160 000 asmenų. 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[54], Didžiojoje Britanijoje – dėl atsisakymo kompensuoti veiksmingus, tačiau labai brangius vaistus krūties vėžiui gydyti[55], Italijoje – dėl eksperimentinių vaistų vėžiui gydyti kompensavimo[56]. 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 valdžios institucijų vadovams įteiktos peticijos[57,58] reikalaujant retomis vėžio formomis sergantiems pacientams užtikrinti kokybišką gydymą bei lygiateisišką sveikatos priežiūrą, taip pat šalies dienraščiuose ir savaitraščiuose publikuotų straipsnių antraštės: „Retos ligos: aukos ir pinigai“[59], „Sergantieji retomis ligomis – gyvenimo užribyje“[60], „Pacientai retų ligų labirintuose“[61], „Reta liga vargina ne tik ligonį“[62], „Retos ligos – galvosūkis provincijos medikams“[63], „Diagnozuojamos pavėluotai, gydymas nepaprastai brangus“[64], „Vienui vieni su sunkia liga“[65], „Išskirtinis gydymas –

[53] Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. [2000] OJ L 18.
[54] *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).
[55] *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>.
[56] 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.
[57] 2006 metais 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.
[58] 2007 metais 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.
[59] Srėbalienė, A. Retos ligos: aukos ir pinigai. *Ekstra.* Vilnius, 2004-12-13, p. 50–52.
[60] Budvytienė, G. Sergantieji retomis ligomis – gyvenimo užribyje. *Kauno diena.* Kaunas, 2005-04-06.
[61] Taraškevičienė, M. Pacientai retų ligų labirintuose. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2008-04-05.
[62] Juškevičienė, J. Reta liga vargina ne tik ligonį. *Klaipėda.* Klaipėda, 2006-06-08.
[63] 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>.
[64] Bernotaitė, J. Diagnozuojamos pavėluotai, gydymas nepaprastai brangus. *Lietuvos medicinos kronika.* 2008-03-05.

išskirtinėms asmenybėms“[66], ,,Vaistai nuo vėžio – tik kas trečiam“[67], ,,Medikų galvos skausmas: kaip žmogaus nepasmerkti myriop“[68].

Pastaraisiais metais ES atliktų tyrimų[69] 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, 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 nei Lietuvoje nei užsienyje nebuvo nagrinėta – tai byloja ir apie šios problemos mokslinio tyrimo sveikatos teisės doktrinoje reikalingumą.

Tyrimo objektas: retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimas sveikatos teisėje.

Vaistų prieinamumo definicija nėra konkrečiai apibrėžta, todėl 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[70,71]. 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.

---

[65] Žičkus, E., Alasauskytė, G. Vienui vieni su sunkia liga. *Vakaro žinios.* Vilnius, 2007-09-22.
[66] Kučinskaitė, J. Išskirtinis gydymas – išskirtinėms asmenybėms. *Veidas.* Vilnius, 2006, Nr. 23.
[67] Jančorienė, M. Vaistai nuo vėžio – tik kas trečiam. *Valstiečių laikraštis.* Vilnius, 2009-02-21.
[68] 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>.
[69] 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_ReportonmutualavailabilityofmedicinesforRdinEU countries.pdf>.
[70] Jankauskienė, D., Pečiūra, R. *Sveikatos politika ir valdymas*. Vilnius: MRU, 2007, p. 125–130.
[71] 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.].

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 remiantis atitinkamomis Lietuvos teisės normomis bei suformuluoti pasiūlymus šių vaistų prieinamumui Lietuvoje gerinti.

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 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 privalomomis, tačiau itin svarbios, aiškinantis retųjų vaistų prieinamumo klausimu reikšmingų atskirų ES teisės aktų nuostatų turinio galimas interpretacijas. Pasinaudota ir kitais informatyviais šaltiniais: aprašais, skelbiančiais duomenis apie retųjų vaistų prieinamumą valstybėse ES narėse[72]; 2007 metų valstybių ES narių vaistų agentūrų vadovų ataskaita dėl žmonių vartojimui skirtų vaistų prieinamumo problemų ES[73]; Aukšto lygio farmacijos forumo patvirtintu dokumentu ,,Improving access to orphan medicines for all affected EU

[72] 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.

[73] 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> .

citizens“ (liet. *„Galimybių visiems sergantiems ES piliečiams gauti retųjų vaistų gerinimas“*)[74]. 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[75], Europos Komisijos užsakymu nepriklausomų ekspertų iš Prancūzijos A. De Varax, M. Letellier ir G. Börtlein tyrimu dėl prekybos retaisiais vaistais sąlygų Europoje, paskelbtu 2006-aisiais[76] bei mokslininkų D. Taruscio, A. Loizzo, S. Loizzo ir kt. tyrimo ataskaita apie retųjų vaistų prieinamumo situaciją ES šalyse paskelbta 2007-aisiais[77].

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

Atskirais disertacijoje nagrinėjamais klausimais vertingi ne tik sveikatos teisės mokslininkų darbai, bet ir sveikatos politikos, sveikatos ekonomikos, medicinos etikos, visuomenės sveikatos, medicinos ir kitų 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*[78]. Dviejų dešimtmečių JAV retųjų vaistų reglamentavimo patirtį vertino M. E. Haffner, J. Whitley ir kt.[79]. Japonijos retųjų vaistų teisinio reglamentavimo aspektus nagrinėjo autoriai: K. Uchida,

---

[74] 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>.

[75] 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/2007 ODsurvey-eurordis.pdf>.

[76] De Varax, A., Lerellier, M., Börtlein, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005.

[77] 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>.

[78] 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.

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

M. Shiragami ir K. Nakai, A. S. Meyers[80]. Kanados retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimas apžvelgtas Toronto universiteto teisės mokslų doktorantės N. De Paulsen[81].

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"[82] (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 atitinkamus 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*[83]. Kitas – žurnalo *Pharmaceuticals Policy and Law* 2001 metų 3 numeryje[84], 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[85].

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

---

[80] 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.

[81] 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>.

[82] 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>.

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

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

[85] 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.

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[86]. Daug lėšų reikalaujančio retųjų vaistų kūrimo finansavimo ir jų kompensavimo dilemą yra svarstę C. A. Gericke ir kt., C. Møldrup, R. Joppi ir kt. [87], Kalgario universiteto (Kanada) prof. A. Hollis[88], žymus ekonomikos specialistas M. F. Drummond[89]. Itin įdomi akademinė diskusija retųjų vaistų ekonominio prieinamumo tema vyko tarp Didžiosios Britanijos sveikatos ekonomikos specialistų D. A. Huges ir kt.[90] bei C. McCabe ir kt.[91], 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*[92].

Pastaruoju metu tiek JAV, tiek ES vis aktyviau diskutuojama dėl neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo įteisinimo privalumų ir pavojų. Kad ir tarp ES 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[93] ir naujausias tendencijas šioje srityje apžvelgiantis ir diskutuojantis L. V. Romano ir P. D. Jacobson straipsnis pavadinimu „Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine

---

[86] 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.

[87] 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.

[88] 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>.

[89] 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.

[90] 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.

[91] McCabe, C., Tsuchiya, A., Claxton, K., *et al*. Orphan drug revisited. *Q J Med.* 2006, 99: 341–345.

[92] 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>.

[93] 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>.

and law“ (liet. „*Neregistruotų vaistų prieinamumas pacientams: teisės ir medicinos pažanga”*)[94], 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*“)[95]. 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. Daugiau skirtas farmacijos ir biotechnologijų įmonėms.

Ginamieji 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 lygiateisiškumo ir solidarumo 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.

Disertacijos metodologija ir struktūra. Tyrimas atliekamas remiantis dokumentų analizės, loginiu-analitiniu, analitiniu-kritiniu, sisteminės analizės, lyginamuoju, istoriniu-teisiniu, filosofinio pažinimo, lingvistiniu metodais. Disertaciją sudaro: įvadas, trys tiriamosios-dėstomosios dalys, skirstomos į skyrius, poskyrius ir skirsnius, išvados ir pasiūlymai. Darbo pabaigoje pateiktas naudotos literatūros sąrašas, įsegti priedai.

---

[94] 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.

[95] 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>.

Pirmojoje tyrimo dalyje *„Retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo pasaulinės tendencijos ir ypatumai Europos Sąjungoje“* yra gilinamasi į 141/2000/EB reglamento priėmimo istorinius-teisinius aspektus ir teorinius ypatumus. Kadangi retųjų vaistų prieinamumo gerinimo teisinės iniciatyvos ES sietinos su pažangia JAV ir Japonijos patirtimi šioje srityje, pirmiausia nagrinėjami 1983 metų JAV ,,Retųjų vaistų akto“ bruožai ir naujų dar tiriamų vaistų skyrimo pacientams kriterijų kaita JAV teisėje, taip pat apžvelgiamos Japonijos farmacinės veiklos įstatymo pataisos dėl retųjų vaistų, priimtos 1993-aisiais. Gilinantis į 141/2000/EB reglamento rengimo bei priėmimo klausimą, išskirti ir chronologine seka surikiuoti reikšmingiausi istoriniai-teisiniai faktai ir įvykiai, taip pat nustatyti retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo Bendrijos lygiu teisėtumo pagrindai. Pirmą kartą teisės moksle išnagrinėti sampratų ,,reta liga / būklė“ ir ,,retasis vaistas“ kaip teisinių kategorijų ypatumai. Vaistų, skirtų atogrąžų ligoms gydyti prieinamumo reglamentavimo ES teisėje klausimas išalizuotas skyriaus pabaigoje.

Antrtojoje disertacijos dalyje *„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 paciento lūkesčių ir interesų, jog egzistuojantys vaistai būtų prieinami teisinį pagrįstumą. Kadangi teisė į sveikatos priežiūrą ir jos prieinamumą literatūroje nurodoma kaip pagrindinis argumentas dėl retųjų vaistų prieinamumo užtikrinimo, pirmiausia apibrėžiamos šios teisės įgyvendinimo galimybės ir ribos: statusas žmogaus teisių doktrinoje, Bendrijos ir nacionalinėje teisėje. Tuo tikslu nagrinėjamos atitinkamos tarptautinių žmogaus teisių dokumentų nuostatos, vertinama Bendrijos kompetencija žmogaus teisių bei sveikatos priežiūros srityse, analizuojama Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo jurisprudencija, konstitucinės teisės doktrina, šias teises įtvirtinantys atitinkami Lietuvos Respublikos pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo straipsniai bei jų pokyčiai šiuo metu rengiamame šio įstatymo projekte. Paciento teisę į sveikatos priežiūrą ir vaistų prieinamumo sampratą siejantys loginiai-teisiniai saitai išryškinami detalizuojant vaistų prieinamumo sampratos turinį sveikatinimo veiklą reglamentuojančiuose nacionaliniuose teisės aktuose.

Kadangi antroji ir trečioji teisinės prielaidos, suponuojančios valstybės pareigą užtikrinti retųjų vaistų prieinamumą, išvedamos iš lygiateisiškumo ir solidarumo principų turinio, skyriaus pabaigoje atskleidžiami šių principų įgyvendinimo esminiai bruožai.

2009 metais priimtoje Tarybos rekomendacijoje dėl Europos veiksmų retų ligų srityje[96] teigiama, kad valstybės narės remdamosi visoje ES priimtais lygiateisiškumo ir solidarumo principais savo šalies

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

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. Atsižvelgiant į tai, jog savo jurisdikcijoje asmenims sudaryti ,,lygiateisiškas galimybes gauti atitinkamos kokybės sveikatos priežiūrą“ įpareigoja Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija[97], o asmens teisė turėti kuo geresnę sveikatą lygybė, nesvarbu, kokios jis būtų lyties, rasės, tautybės, pilietybės, socialinės padėties ir profesijos yra daugelio Europos šalių sveikatinimo veiklos teisinio reguliavimo principas, – pastaroji Tarybos rekomendacija reiškia, kad 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. Lygiateisiškumo sveikatos priežiūroje užtikrinimas pirmiausia sietinas su asmens sveikatingumo reikmėmis, todėl ,,valstybės turimų išteklių“ argumentas neturėtų paneigti būtinybės valstybei dėti ,,visas įmanomas pastangas“, kad tos pacientų ,,reikmės“ būtų patenkintos, – aptriamu atveju negali pateisinti abejingumo, teisinio reguliavimo spragų srityse sietinose su aukšta retomis ligomis sergančių pacientų gydymo kokybe.

Tai, jog valstybės vaidmuo rūpinantis sveikatos apsauga yra neatsiejamas ir nuo solidarumo kaip esminės vertybės rodo Europos Sąjungos pagrindinių teisių chartijos[98] nuostatos. Solidarumo principui Chartijos preambulėje suteikta esminės vertybės, kuria Sąjunga ,,remiasi“ ir kurią ,,siekia išsaugoti ir plėtoti“ rangas. 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“. Tikėtina, kad ši socialinė asmens teisė kartu implikuoja asmens solidarumo pareigas. 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. Taigi jei turėsime omenyje brangių retųjų vaistų ekonominio prieinamumo užtikrinimo klausimą, logiškai sektų, kad atsižvelgiant į tai, jog sunkiai sergančiam

[97] Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios*. 2002, Nr. 97-4258.
[98] Charter of fundamental rights of the European Union. [2000] OJ C 364.

pacientui savo lėšomis įsigyti dešimtimis ir daugiau tūkstančių litų per mėnesį kainuojančius vaistus būtų nepakeliama finansinė našta, pacientai turi pagrindo tikėtis, kad jiems reikalingi brangūs, tačiau mokslo pažangos standartus atitinkatys, veiksmingi vaistai būtų visiškai ar bent jau iš dalies kompensuojami. Suprantama, kad tokių pacientų lūkesčių pateisinimas valstybei prisiimant atitinkamus įsipareigojimas yra nemažas iššūkis, nes kartais net ir vieno labai reta liga sergančio paciento gydymas gali kainuoti milijonus.

Trečiojoje dalyje *„Retųjų vaistų prieinamumo skatinimo ir užtikrinimo teisinis reguliavimas Europos Sąjungoje ir Lietuvoje“* formuluojamas retųjų vaistų prieinamumo skatinimo bei užtikrinimo reguliavimo ES ir Lietuvos teisėje koncepcinis modelis. Nagrinėjant ES teisės nuostatas, pagal subjektiškumo požymį išskiriamos čia numatytos retoms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumo gerinimo priemonės. Pirmoji – paskatos retųjų vaistų rėmėjams. Priėmus 141/2000/EB reglamentą retųjų vaistų rėmėjams buvo sudarytos palankios sąlygos kurti retuosius vaistus, greičiau juos pateikti rinkai, o pacientams – sulaukti gydymo, todėl išsamiai išanalizuotos rinkodaros teisių retiesiems vaistams suteikimo lengvatos (prieiga prie centralizuotos vaistų registravimo procedūros, ,,sąlyginių leidimų“, ,,išskirtinėmis sąlygomis“ suteikiamų leidimų išdavimas) bei dešimties metų rinkos išimtinumo registruotam retajam vaistiniam preparatui paskata. Kitoms paskatoms, tokioms kaip protokolinė pagalba, finansinė parama retų ligų ir vaistų moksliniams tyrimams, nors jos rėmėjams taip pat svarbios, dėmesio skirta mažiau.

Siekiant formuoti ir koordinuoti bendrą valstybių ES narių požiūrį į retųjų vaistų prieinamumą, ES teisėje yra įteisintos išimtys dėl šalyje neregistruotų vaistų bei tiriamųjų vaistų skyrimo pacientams. Šias išimtis įdiegus nacionalinėje teisėje, retieji vaistai pacientus gali pasiekti greičiau ir lengviau, todėl jos taip pat išskirtos ir išnagrinėtos kaip retųjų vaistų prieinamumo užtikrinimo pacientams būdas. Ištirta, kokios materialinės teisinės garantijos dėl neregistruotų vaistų pasiekiamumo galioja Lietuvoje.

Šiame disertacijos skyriuje išsamiai nagrinėjamas ir ekonominio retųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo klausimas. Literatūroje vienareikšmiškai pripažįstama, kad milžiniškų sveikatos draudimo biudžeto resursų reikalaujantis retų ligų gydymo kompensavimas ir iš to sekantys galimybių gydytis šiais vaistais apribojimai yra ir etinė, ir teisinė problema. Etiniai aspektai apsvarstyti pasitelkiant paskirstomojo teisingumo teorijas, šiuolaikinės medicinos etikos specialistų N. Daniels ir R. Veatch, C. A. Gericke, A. Hollis ir kt. įžvalgas, prieštaringą sveikatos ekonomistų J. McKie ir kt., D. A. Huges ir kt., C. McCabe ir kt. akademinę diskusiją šiuo klausimu. Teisinius praktinius šios problemos aspektus iliustruoja Lietuvoje galiojančios retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kompensavimo ir pacientų siuntimo gydytis į užsienį tvarkos analizė bei teisinis vertinimas.

Priešpaskutiniame trečiosios disertacijos dalies poskyryje aptariamas retųjų vaistų prieinamumo skatinimas gerinant paciento teisės gauti informaciją įgyvendinimą. Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencijos 10 straipsnyje, pavadintame ,,Privatus gyvenimas ir teisė gauti informaciją“ teigiama, jog ,,kiekvienas turi teisę žinoti, kokia informacija yra surinkta apie jo ar jos sveikatą“. Šios konvencijos Aiškinamoji ataskaita[99] patikslina, jog ,,teisė žinoti“ apima ,,visą informaciją apie paciento sveikatą, ar tai būtų diagnozė, prognozė ar bet koks kitas su ja susijęs faktas“ 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. 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. Tam, kad ši paciento teisė būtų įgyvendinama tinkamai visoms suinteresuotoms pusėms (medikams, mokslininkams, vaistų kūrėjams ir tyrėjams, patiems pacientams ir jų artimiesiems) turėtų būti sudaromos kuo palankiausios sąlygos tarpusavyje keistis žiniomis ir informacija. Tam patraukliausia erdvė – šiuolaikinės elektronikos ir interneto galimybės. Todėl turi būti teikiama parama jau veikiantiems tinklams, naujų kūrimui, remiamas nacionalinių retų ligų registrų kūrimas ir t.t. Pacientų organizacijos valstybių narių ir ES lygmeniu pasiteisina kaip neįkainojami partneriai didinant retų ligų matomumą ir gerinant kokybiškos informacijos apie retas ligas ir retuosius vaistus prieinamumą, įtakoja dėl pacientų gerovės priimamus sprendimus, todėl jas taip pat reikėtų remti.

Paskutinis disertacijos poskyris skirtas valstybių ES narių teisinių ir kitokių iniciatyvų remiant retųjų vaistų kūrimą, tyrimus ir prieinamumą apžvalgai ir apibendrinimui.

Disertacijos gale suformuluotos išvados, pasiūlymai dėl vaistų retoms ligoms ir būklėms gydyti prieinamumo reglamentavimo tobulinimo Lietuvoje. Sudarytas cituotos literatūros ir autorės mokslinių publikacijų sąrašai. Prieduose pateikti svarbiausi retųjų vaistų prieinamumą reglamentuojantys ES ir Lietuvos teisės aktai, lentelė, kurioje palyginti retųjų vaistų reglamentavimo ypatumai skirtingose pasaulio šalyse ir ES.

[99] 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>.

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 farmacijos ir biotechnologijų 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 ir 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 ir interesų dėl vaisto prieinamumo teisėtumą ir 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) PSDF biudžeto apimtis bei ribos; e) ,,vaistų prieinamumo“ definicijos teisinis neapibrėžtumas; 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 Lietuvoje 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[100], 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.

[100] Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisija, sudaryta Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus įsakymu.

Pasiūlymai

1. Tobulinti vaistų, skirtų retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo tvarką poįstatyminiuose teisės aktuose:

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 Lietuvos gyventojų. ,,Labai retos ligos ar būklės“ epidemiologinis rodiklis turėtų būti nurodytas – mažiau nei 100 atvejų iš milijono gyventojų.

1.2. Nurodyti 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 sprendimų 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 visiems pacientams kompensuojami 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 naujų 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.

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[101]. 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[102].

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.

---

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

[102] Santariškių – Visorių teritorijoje įsikūrusios gydymo, medicinos mokslo, studijų įstaigos bei verslo įmonės vienijasi į Vilniaus medicinos ir farmacijos slėnį. Slėnio kūrimo tikslas – telkiant sveikatos priežiūros, mokslo, studijų, inovatyvaus verslo pajėgas skatinti sveikatos priežiūros plėtrą Lietuvoje. Slėnio įkūrimas leis 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.].

GYVENIMO APRAŠYMAS

Indrė Špokienė gimė 1980 m. gegužės 8 d.

Išsilavinimas:

1986-1998 m. Vilniaus Radvilų vidurinėje mokykloje įgytas vidurinis išsilavinimas.
1998-2002 m. studijos Vilniaus pedagoginiame universitete, Istorijos fakultete. Įgytas sociologijos bakalauro laipsnis.
2002-2005 m. studijos Mykolo Romerio universiteto Teisės fakultete. Įgytas teisės magistro laipsnis.
2005-2009 m. doktorantūros studijos Mykolo Romerio universiteto Teisės fakulteto Bioteisės katedroje.

Darbo patirtis:

2006-2008 m. Mykolo Romerio universiteto Teisės fakulteto Bioteisės katedros lektorė.

Kontaktai:
el. paštas: indrespokiene@gmail.com

MOKSLINIŲ PUBLIKACIJŲ SĄRAŠAS

1. Špokienė, I. Retųjų vaistų prieinamumo problema įgyvendinant teisę į sveikatos priežiūrą. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 64– 72.
2. 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.
3. 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.