



Wczesny dostęp w Polsce

Każdy produkt leczniczy co do zasady jest wprowadzany do obrotu na terenie Unii Europejskiej po uzyskaniu stosownego pozwolenia. Zarówno polski, jak i unijny prawodawca przewidują jednak wyjątki od tej reguły. Niestety czynią to z różnym skutkiem, a właściwie w diametralnie różnym zakresie. Wzorcowe i kompleksowe ścieżki prawne jednak istnieją, a nadto z powodzeniem funkcjonują w wielu państwach członkowskich.

Trudno nie pokusić się o stwierdzenie, że problematyką zainteresowani są właściwie wszyscy – od pacjentów, zwłaszcza tych ciężko chorych, których życie nie rzadko jest zagrożone, przez lekarzy, a w szczególności środowiska naukowe, po koncerny farmaceutyczne. Wiele ze zgłaszanych zapytań prawnych dotyczy właśnie zagadnień wczesnego dostępu do leków. Polskie przepisy przewidują wyłączenia od zasady obrotu lekami dopuszczonymi (zarejestrowanymi), aczkolwiek wydaje się, że kształtują je niedostatecznie kompleksowo.

Zasadniczo aktualnie możliwe są dwie ścieżki dostępu do leków niedopuszczonych do obrotu w Polsce. Po pierwsze, niezarejestrowany produkt leczniczy może zostać wykorzystany w ramach badania klinicznego i wówczas być podawany pacjentom. Po drugie, ustawa z 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne umożliwia w trybie importu docelowego sprowadzenie z zagranicy leków, z tym jednak zastrzeżeniem, że dany produkt leczniczy musi być sprowadzany z kraju, w którym dopuszczono go do obrotu. Istnieje jeszcze trzeci tryb,

przewidziany w tzw. procedurze *compassionate use* (określonej jako litościwy lub humanitarny dostęp). Nadal jednak nie został on wprowadzony do polskiego porządku prawnego.

Nadzieją na zmianę tego stanu rzeczy jest procedowany obecnie przez Ministerstwo Zdrowia projekt ustawy z 21 września 2016 r. zmieniający szereg aktów prawnych, m.in. Prawo farmaceutyczne (numer z wyroku UD125). Projekt ten zakłada implementację do krajowego porządku prawnego art. 83 rozporządzenia nr 726/2004 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 31 marca 2004 r. ustanawiającego wspólnotowe procedury wydawania pozwoleń dla produktów leczniczych stosowanych u ludzi i do celów weterynaryjnych i nadzoru nad nimi oraz ustanawiającego Europejską Agencję Leków (dalej: rozporządzenie 726/2004).

Ponad 50 zawiadomień

Zgodnie z przywołanym art. 83 ust. 1 rozporządzenia 726/2004 w ramach *compassionate use* niedopuszczony do obrotu produkt leczniczy można uczynić dostępnym do indywidualnego stosowania. Oznacza to udostępnienie określonej grupie pacjentów leku z powodu choroby chronicznej lub poważnej, wycieńczającej albo choroby traktowanej jako zagrożenie życia, pod tym jednak warunkiem, że grupa ta nie może być pomyślnie leczona dostępnymi (dopuszczonymi) produktami leczniczymi. Co istotne, lek objęty procedurą humanitarnego dostępu musi być przedmiotem wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu lub być poddany testom klinicznym (art. 83 ust. 2 *in fine* rozporządzenia 726/2004). Polska wersja implementacji odzwierciedla dyspozycję analizowanego art. 83 rozporządzenia 726/2004. Uzupełniająco projekt zmian Prawa farmaceutycznego określa procedurę uzyskania zgody właściwego ministra, a także stanowi m.in., że podmiotem legitymowanym do złożenia odpowiedniego wniosku jest podmiot odpowiedzialny, który złożył wniosek o dopuszczenie do obrotu danego produktu leczniczego w procedurze centralnej, albo sponsor badania klinicznego (w przypadku produktu leczniczego, który jest w trakcie badań klinicznych). Warto wspomnieć o części dotyczącej finansowania procedury, która w myśl projektu wydaje się czerpać ze wzorców niemieckich oraz holenderskich, zakładających pokrywanie kosztów w całości lub częściowo przez producentów produktów leczniczych.

Powyższe działania należy uznać za absolutnie słuszne i celowe. Zmierzają one bowiem do pełnego wdrożenia procedury *compassionate use* do polskiego ustawodawstwa. Procedura ta od lat obowiązuje w wielu państwach członkowskich. Aż 18 z nich wdrożyło już w pełni regulację prawną przewidzianą w rozporządzeniu 726/2004, a w świetle danych Europejskiej Agencji Leków od 2006 r. wpłynęło ponad 50 zawiadomień o wszczęciu procedury humanitarnego dostępu. Kra-

” Zgodnie z art. 83 ust. 1 rozporządzenia 726/2004 w ramach *compassionate use* niedopuszczony do obrotu produkt leczniczy można uczynić dostępnym ”

jami przodującymi dotychczas w tym zakresie były Wielka Brytania oraz Szwecja.

Kilka prób zakończonych sukcesami

Ogromne oczekiwania związane z wdrożeniem do porządku krajowego omawianej formy wczesnego dostępu do leków trzeba niestety nieco ostudzić. Choć projekt został opublikowany na stronach Rządowego Centrum Legislacyjnego 23 września 2016 r., a termin uzgodnień, opiniowania i konsultacji publicznych upłynął już dawno (24 listopada 2016 r.), to do tej pory nie ma oficjalnych komunikatów o losach projektu ustawy.

W tym stanie rzeczy należałoby rozważyć, czy przy braku wdrożenia przez polskiego prawodawcę art. 83 rozporządzenia 726/2004 istnieje obecnie jakakolwiek inna procedura bądź tryb umożliwiający dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego nigdzie dotychczas niezarejestrowanego. W literaturze można się spotkać ze stanowiskiem, że *compassionate use* znajduje na gruncie polskiego porządku prawnego zastosowanie na podstawie zasady bezpośredniej skuteczności rozporządzeń unijnych. Z poglądem tym nie sposób się jednak zgodzić. Po pierwsze, art. 83 ust. 1 rozporządzenia 726/2004 wyraźnie akcentuje fakultatywność zaimplementowania procedury (*Państwa członkowskie mogą...*). Po drugie, art. 83 ust. 3 rozporządzenia 726/2004 wymaga powiadomienia Europejskiej Agencji Leków o fakcie skorzystania z *compassionate use* przez dane państwo członkowskie. Ministerstwo Zdrowia zaprzecza natomiast wdrożeniu, jednoznacznie wskazując, że procedura *compassionate use* nie znalazła dotychczas odzwierciedlenia w polskich przepisach, a tym samym nie jest możliwe jej przeprowadzenie (m.in. odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia z 17 października 2014 r. na zapytanie poselskie nr 7311). Po trzecie wreszcie, co dostrzegają także zwolennicy bezpośredniego stosowania regulacji unijnych, przy braku jakichkolwiek regulacji krajowych dotyczących humanitarnego dostępu kłopotliwe jest oznaczenie organu właściwego do wszczęcia i przeprowadzenia procedury humanitarnego dostępu.

Lektura Prawa farmaceutycznego pozwala przypuszczać, że remedium na omawiane zaniechanie prawodawcze jest art. 4 ust. 8 tejże ustawy. Zgodnie z jego



„Potrzeba implementacji w Polsce procedury *compassionate use* jest niepodważalna”

treścią minister właściwy do spraw zdrowia może w przypadku klęski żywiołowej bądź też innego zagrożenia życia lub zdrowia ludzi dopuścić do obrotu na czas określony produkty lecznicze nieposiadające pozwolenia. Przepis ten, jak wskazuje się w literaturze, został oparty na tzw. procedurze *treatment on a named-patient basis* z art. 5 dyrektywy 2001/83/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z 6 listopada 2001 r. w sprawie wspólnotowego kodeksu odnoszącego się do produktów leczniczych stosowanych u ludzi. Artykuł 4 ust. 8 Prawa farmaceutycznego został już zastosowany w analizowanym zakresie, choć w nielicznych przypadkach, przez organy krajowe. Kilka podjętych prób dopuszczenia leków niezarejestrowanych do indywidualnego stosowania przez pacjentów zakończyło się sukcesami. Co więcej, prawidłowość oraz dopuszczalność takiej ścieżki zapewnienia wczesnego dostępu do leku potwierdziło oficjalnie w ostatnim czasie Ministerstwo Zdrowia. Obecnie zaś procedowane są kolejne wnioski oparte na tym szczególnym trybie.

Sceptycyzm wśród praktyków

Niewątpliwą wadą procedury z art. 4 ust. 8 Prawa farmaceutycznego jest brak regulacji w zakresie procedury wydawania zgody przez organ, a nadto warunków, zasad i sposobu zapewnienia wczesnego dostępu do leku oraz wytycznych co do ram czasowych udzielanej zgody. Z jednej strony pozwala to na elastyczność procesu decyzyjnego organu, a przy tym kreatywność wnioskodawców w zakreślaniu projektów,

z drugiej jednak wymaga ponadprzeciętnej staranności po stronie inicjatorów, a w efekcie stwarza duże ryzyko niepowodzenia samych inicjatyw, zwłaszcza biorąc pod uwagę fakultatywne brzmienie przepisu (właściwy organ nie jest obowiązany do wyrażenia zgody). Wskutek tego nierzadko dostrzegalny jest sceptycyzm wobec analizowanego trybu procedowania nie tylko wśród praktyków, lecz nawet wśród samych producentów produktów leczniczych, potęgowany bezspornie dość skąpym charakterem regulacji.

Potrzeba implementacji procedury *compassionate use*, przewidzianej w art. 83 ust. 1 rozporządzenia 726/2004, jest zatem niepodważalna mimo istnienia alternatywnych rozwiązań pozwalających zapewnić wczesny dostęp do leków na gruncie porządku prawnego w Polsce. Kształt przepisów założony w procedowanym obecnie projekcie jest satysfakcjonujący i w przypadku jego wdrożenia gwarantowałby oczekiwany model dostępu pacjentów do sprawdzonych i nowoczesnych metod leczenia. Działania legislacyjne są tym bardziej niezbędne, że kolejne kraje europejskie modyfikują już stosowane formy wczesnego dostępu do leków, często idąc o krok dalej. Doskonałym przykładem jest Wielka Brytania, która od 2014 r. przewiduje wczesny, szybki dostęp do nowych obiecujących leków dla chorych w stanie zagrożenia życia (tzw. *Early Access to Medicines*).

Mateusz Faron
Autor jest aplikantem radcowskim w Kancelarii Radców Prawnych
Zygmunt Jerzmanowski i Wspólnicy sp. k.