
Vzácná onemocnění a hlavní události ve zdravotnictví

červenec - srpen 2020

Vážení přátelé,

přinášíme Vám nové číslo Čavonovin, ve kterém Vás chceme upozornit na hlavní události v oblasti vzácných nemocí a zdravotnictví, které se přes prázdniny objevily v médiích.

Po velice dlouhých přípravách a snad ještě delším projednávání na ministerstvu zdravotnictví se konečně dostává do sněmovny novela zákona č. 48/1997 Sb. o veřejném zdravotním pojištění, která mimo jiné nově formuluje vstup léčivých přípravků pro vzácná onemocnění do úhrad v ČR. Doufáme, že tato novela nakonec přinese to, co bylo jejím prvotním cílem: příchod nových léků na vzácná onemocnění bude pro všechny jednodušší, bude mít přesná pravidla a bude dostatečně rychlý.

Přejeme vám zajímavé čtení

Srdečně zdraví

Anna Arellanesová, předsedkyně ČAVO

Vzácná onemocnění



Vzácná onemocnění: bude léčba dostupnější?

Dostupnost léků na vzácná onemocnění a připravovaná novela zákona o úhradách těchto léků byla na začátku července tématem hlavní reportáže pořadu Události Komentáře.

[VIDEO](#)

Orphan drugs jsou drahé, ale i šetří náklady

Náměstek ministra zdravotnictví Filip Vrubel říká, že nejsou informace o tom, kolik zdravotní pojišťovny odmítnou žádosti o úhradu léků na vzácná onemocnění přes paragraf 16. V podcastu pro ZdraveZpravy.cz se pak vyjadřuje i k nákladům na orphan drugs a udržitelnosti financování zdravotnického systému.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



Nemocní, pomozme si sami aneb Jak vznikly desítky patientských organizací?

Předsedkyně a spoluzakladatelka České asociace pro vzácná onemocnění Anna Arellanesová přibližuje v reportáži pro CNN Prima fungování patientských organizací v ČR.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



Vitamin C by mohl pomáhat v léčbě některých vzácných nádorů, naznačuje český výzkum

Kyselina askorbová neboli vitamin C možná pomůže k léčbě některých vzácných druhů těžce léčitelných nádorů spojených s endokrinními žlázami. Mezinárodní tým, jehož součástí jsou i čeští vědci, prokázal, že nádory s určitými mutacemi na vitamin reagují citlivě.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Letní výzva Křížem krázem s dystrofií upozorňuje na problematiku bezbariérového cestování

Pacientská organizace Parent Project v průběhu léta poukázala na problémy, s nimiž se musí při cestování vypořádat lidé s omezenou pohyblivostí.

[CELÝ ČLÁNEK](#)



Zdravotnictví



Změny úhrad nových léků ze zdravotního pojištění vláda schválila

Vláda 24. srpna schválila velkou novelu zákona o veřejném zdravotním pojištění, která mění úhrady moderních léků, dohodovací řízení nebo práci revizních lékařů zdravotních pojišťoven. Návrh nyní posoudí Sněmovna..

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Ze světa



Evaluation of the medicines for rare diseases and children legislation

Evropská komise 11. srpna zveřejnila vyhodnocení legislativy týkající se léků na vzácná onemocnění a pro děti. Jedná se o první zhodnocení daných předpisů od jejich zavedení v letech 2000 a 2006.

[CELÝ ČLÁNEK](#)

Celé články

Vzácná onemocnění: bude léčba dostupnější?

Daniela PÍSAŘOVICOVÁ, moderátorka

Nejmodernější léky na vzácné nemoci nebo pro onkologické pacienty by měly být dostupnější. Ministerstvo zdravotnictví představilo novelu zákona, která by měla zprůhlednit jejich schvalování. Podle patientských organizací přibývá lidí, kteří se nevzdali a o neúčinnější léčbu bojují i u soudu.

redaktorka

Ivanka Danišová má za sebou mimořádně náročný rok a půl. Prodělala několik operací tváře v Chicagu i Japonsku. K tomu srdeční kolaps, ale také potřetí porazila leukémií.

Ivanka DANIŠOVÁ, respondentka

Pro mě poslední měsíce nebyly určitě žádným stylem jednoduché, protože se spojovala do toho určitá onkologická zásadní vlastně léčba.

redaktorka

Vystudovaná právnička se narodila se vrozenou vadou. Momentálně čeká poslední zákrok v Japonsku. Do neděle ale musí sehnat pomocí svého transparentního účtu ještě 100 000 Kč.

Ivanka DANIŠOVÁ, respondentka

Je to jeden z těch neklíčovějších vlastně zákroků, který mě čeká, teď řešíme vlastně tu orbitální stránku.

redaktorka

Naopak, první zákrok čeká bývalou onkologickou pacientku Mirku Dobešovou. Naplánovanou operaci ve Velké Británii ji zrušila koronavirová krize. Příští týden se s týmem spojí přes telekonferenci a věří, že na podzim na operaci odletí.

Mirka DOBEŠOVÁ, respondentka

Stahuje mi vlastně ta mřížka jako víc dolů to oční víčko dolní. To je právě to, co má i ten. Dr. Pospíšil, který mi to všechno pomáhá zařizovat, má docela obavu, protože to se nedá potom už nijak jako nahradit.

redaktorka

Nejdražší lék na světě teď dostávají 2 čeští chlapci se spinální svalovou atrofií. Rodiče Maxe po měsíci od aplikace genové terapie hlásí, že syn sílí a začal zvedat nohy. Daří se mu i rehabilitovat. Léčba už dostal i Adam. Rodiče teď překvapil, že sám zvedl hlavu.

Samuel CHRAMOSTA, Adamův otec

Chceme docílit toho, aby se sám dokázal prosadit. Aby vlastně byl soběstačnej, když to řeknu, vozíčkář

redaktorka

Naopak Oliverovi, který je závislý na plicní ventilaci, na rozdíl od Maxe a Adama, motolská nemocnice léčbu zolgensmou zamítla. Chlapec se stal jejich pacientem až po vyhlášení sbírky. Momentálně dostává jiný medikament, který má dle lékařů srovnatelné účinky.

redaktorka/citace: vyjádření nemocnice Motol

Oliverův zdravotní stav je velmi těžký, a léčba Zolgensmou má velmi závažná zdravotní rizika. Podání tohoto léku lékaři u Olivera z důvodu život ohrožujících rizik kontraindikovali, protože vysoce převyšují eventuální benefit léčby.

redaktorka

Některé případy končí až u soudu. Ten letos definitivně vyhrála Jaroslava Krejčová, která 20 let bojuje s rakovinou kůže. Klíčové pro ni podle lékařů bylo zařazení do studie imunitní léčby, jenže ta skončila a pojišťovna další léčbu odmítla uhradit.

Jaroslava KREJČOVÁ, pacientka se zhoubným melanomem

Pro mě to je jediná šance, která mi tak nějak tu nemoc zbrzdí, a vlastně prodlužuje život.

redaktorka

Průměrná doba přežití přitom bývala maximálně 9 měsíců. Jaroslava Krejčová je tak příkladem, že bojovat má smysl. Markéta Žižková a Lea Surovcová, Česká televize.

Daniela PÍSAŘOVICOVÁ, moderátorka

A právě Lea Surovcová je teď se mnou ve studiu. Dobrý večer.

Lea SUROVCOVÁ, redaktorka

Dobrý večer.

Daniela PÍSAŘOVICOVÁ, moderátorka

Jenom do kontextu dodávám, že jsi tou osobou, která se danou problematikou dlouhodobě zabývá, takže máš opravdu dobré informace. Pacienti teď zpravidla žádají individuálně o mimořádnou úhradu léku na vzácné onemocnění. Pojišťovny na žádosti reagují různě. Řízení se protahují. Pomůže tedy novela zákona, kterou má na podzim projednat vláda. Svítá na lepší časy? Já pevně věřím, že by mohla pomoci, protože tam se mluví o tom, že by se měla zvětšit ta rychlost, a pak další klíčová věc, že by o těch případech měla rozhodovat komise. Teď o tom často rozhodoval třeba jenom revizní lékaře a často mi ti pacienti říkali, že třeba je ani neviděl, takže ta komise by se měla skládat jak z ministerstva zdravotnictví, tak odborných organizací patientských, takže, a měli by řešit konkrétní ten případ a jak už jsi říkala. Často to byly individuální žádosti, které byli přes § 16, a to je v případě, když se ukáže, že už není vhodná jiná léčba, a jenom tato třeba ta biologická, tak je možné zažádat přes ten paragraf. Jenomže to měla být výjimka. A v posledních letech se ukazuje, že přes ten § 16 třeba ročně zažádá

až 450 000 lidí, což to by taky měl změnit ten zákon, aby opravdu se zase z toho stala ta výjimka, a vycházeli vstříc normální cestou.

Daniela PÍSAŘOVICOVÁ, moderátorka

Kolik z nich je úspěšných se svojí žádostí z těch 450 000 žadatelů?

Lea SUROVCOVÁ, redaktorka

To mě překvapilo, protože vlastně v těch médiích vždycky rezonují silně ty případy. Já jsem si nechal vytáhnout ty statistiky z pojišťoven, a je to v podstatě 85 % případů, až 90 %, takže vlastně ve velké části vyhoví.

Daniela PÍSAŘOVICOVÁ, moderátorka

Nebude to ale i nadále tak, že možnosti léčby budou nejspíš vždycky předbíhat možnosti uhradit ji z veřejných zdrojů všem. Jaké případné řešení, a budeme se stále spoléhat na nějaké veřejné sbírky?

Lea SUROVCOVÁ, redaktorka

Ta budoucnost je taková, že vlastně jak ej lepší diagnostika, tak samozřejmě budeme přicházet na stále další a další vzácné třeba nemoci, nebo těžké, těžké rakoviny. Ale také přibývá, což teď víme v zahraničí, řada příkladů a případů a léků, které budou zase velmi drahé účinné a já jsem třeba, když jsem nedávno natáčela v Motole, tak jsem se třeba dozvěděla, že jednou z cest je soud byl similární přípravky, což jsou přípravky, které jsou, to jsou ty inovativní léky. Je to třeba biologický lék, kterému ale končí licence, už nemusí probíhat celé to zdoluhavé kolečko, takže vlastně ten lék může být až třeba 10× levnější. Samozřejmě se budou hledat další úhrady, ale to, že by nebyla jako žádná sbírka, to si už, to si nemyslím, že by se takhle vyřešilo.

Daniela PÍSAŘOVICOVÁ, moderátorka

Veřejné sbírky právě otrásají se hodně sociálními sítěmi, jak dlouho ještě budou účinné, protože dnes není zas až takovou výjimkou vybrat opravdu velikou částku na nějaké vzácné onemocnění na jeho léčbu. Ale vydrží nám to?

Lea SUROVCOVÁ, redaktorka

Ono se ukázalo, hlavně v loňském roce se vybralo, nebo vybraly se obrovské částky na rekonstrukce obličejů mladých dam, což bylo přes 10 000 000 Kč, a to jsme si říkali. Bylo to velmi krátkém čase, a říkali jsme si, tak to je úžasné, tady vidíme Mirku Dobešovou například, ale potom najednou přišli teď chlapci, o kterých mluvila i v reportáži, a to byli u každého případu to bylo přes 50 000 000 Kč a opravdu zase ta společnost tady vidíme zase malého Olivera. A tak ta společnost se vzedmula a bylo to úplně neuvěřitelné, jak velké částky dokázal sesbírat, ale já vnímám přes sociální sítě, že ten zájem těch dárců nebo i těch lidí klesá, protože pořád se tam objevují nové případy, kdy pořád někdo na něco sbírá. A navíc se tam do toho projevuje teď i koronavirová krize, kdy vlastně už lidé třeba ani nemají peníze tolik dávat na tyto dobročinné účely. A také už ani firmy už tolik nedávají, a vlastně ten pokles velký, a to by taky možná v budoucnu měla řešit sněmovna..

Zdroj: Česká televize

Orphan drugs jsou drahé, ale i šetří náklady?

Náměstek ministra zdravotnictví Filip Vrubel říká, že nejsou informace o tom, kolik zdravotní pojišťovny odmítnou žádostí o úhradu léků na vzácná onemocnění přes paragraf 16. [V podcastu pro ZdraveZpravy.cz](https://www.zdravezpravy.cz) se pak vyjadřuje i k nákladům na orphan drugs a udržitelnosti financování zdravotnického systému.

Zdravotní pojišťovny dostávají ročně tisíce žádostí od lékařů pacientů o úhradu léku přes paragraf 16. Jde ale v podstatě o udělení výjimky. Každá žádost je pojišťovnou posuzována a vyhodnocována individuálně. V praxi tak dochází k tomu, že se výsledky správních řízení pojišťoven o úhradě léku liší, a to i u pacientů se stejnou či téměř totožnou diagnózou.

„Občas je pozorováno, že je to nekonzistentní rozhodovací praxe. Jedna pojišťovna lék může uhradit, jiná ho nemůže uhradit. Zdravotní stav pacientů přitom mohou být velmi podobné, ale přesto se rozhodnutí různých pojišťoven je různé,“ vysvětluje Filip Vrubel.

Jiný problém je, že paragraf 16 využívají i farma firmy, aby dostaly své léky do systému úhrad dříve, než by je tam dostaly standardní cestou přes Státní ústav pro kontrolu léčiv [SÚKL]. I to vede k zahlcení tohoto nástroje, v němž ročně projdou léky za dvě miliardy korun. Proto mu je třeba dle Filipa Vrubela vrátit původní smysl. Aby znovu sloužil hlavně pacientům, když potřebují lék, jež pro jejich diagnózu není v standardní úhradě.

V podcastovém rozhovoru pro ZdraveZpravy.cz se Filip Vrubel ale vyjadřuje i dopadům novely o veřejném zdravotním pojištění na dostupnost léků na vzácná onemocnění či obecně k financování českého zdravotnického systému.

Orphan drugs a jejich výhody

Úhrada orphan drugs podle Filipa Vrubela neohrozí finanční stabilitu českého systému zdravotnictví. Jejich úhrada už je totiž v systému nějakým způsobem zakotvena. Navíc i když orphan drugs patří k nejdražším lékům, jsou určeny omezenému počtu pacientů. Náklady na léky naopak stoupají v centrové péči. Už dnes ročně stojí více než 20 miliard korun a jejich spotřeba stále roste.

„V dlouhodobém horizontu je potřeba vnímat problematiku orphan drugs v kontextu centrové péče spíše obecně. Je třeba se zamyslet, jak je ta centrová péče v systému dlouhodobě udržitelná,“ potvrzuje Filip Vrubel.

Přesto zdůrazňuje, že orphan drugs, ale i obecně moderní léky, dávají hluboký smysl, i přes svou finanční náročnost. Pacienti i s vážným onemocněním se díky nim často vracejí do běžného života a jsou ekonomicky aktivní. Pacient tak není plně invalidizovaný, nároky na sociální systém tím výrazně klesají. To znamená, že i když jsou nové moderní léky drahé, tak kompenzují náklady v jiných systémech, což se podle něj musí do budoucna zvažovat při rozdělování finančních prostředků.

„To je něco, co dnes systém neumí zohlednit, vypočítat. Systémy zdravotní a sociální jsou odděleny včetně rozpočtu,“ říká.

Financování českého zdravotnictví Pro udržitelnost českého zdravotnictví je podle Filipa Vrubela zásadní najít takový systém, který bude přinášet nové finanční prostředky. V této věci je tak třeba se podle něj „pobavit“ s Ministerstvem financí ČR [MF ČR]. Stávající systém zdravotnictví totiž nebude zřejmě dlouhodobě vyhovovat. Už jen proto, že nejvíce do něj odvádějí zaměstnavatelé i zaměstnanci samotní.

„Stát, který má na starosti nejvíce pojištěnců, za které musí odvádět pojistné, neodvádí proporcionálně takovou část pojistného právě jako zaměstnavatelé a zaměstnanci. to znamená, že je třeba se podívat zejména na tuto příjmovou stránku, zda by otázka příjmů ze státního rozpočtu neměla být revidována zásadním způsobem,“ vysvětluje Filip Vrubel.

Dodává, že je třeba se ale podívat i na výdajovou stránku systému. Což je především oblast lůžkové péče nebo naopak rozvoj sítě v následné lůžkové péči i dalších oblastech. Případné komerční pojištění jako řešení udržitelnosti systému může podle Filipa Vrubela pomoci v určité přesně vymezené konkrétní oblasti. Mohlo by jít například o připojištění služeb, o kterých víme, že je budeme využívat ve stáří.

Zdroj: ZdraveZpravy.cz

Nemocní, pomozte si sami aneb Jak vznikly desítky patientských organizací

Člověk bojující s nemocí, často o život, bojující se systémem, bojující o péči a o svá práva na ni. Tak začaly příběhy většiny patientských organizací v České republice. Kdo jsou lidé, kteří za nimi stojí, kde se vzaly a kdo je financuje? Čtete o vzniku, systému a podstatě patientských organizací v ČR. V úvodním videu se také podívejte na příběh Jany Hlaváčové, která žije s diagnózou roztroušená skleróza a svou snahu pomoci dokázala dotáhnout až tam, kde pacienti mohou být u procesů tvorby zákonů. Na ministerstvo zdravotnictví, kde vede Oddělení podpory práv pacientů. Právě s tímto patientským oddělením spolupracuje web CNN Prima NEWS při informování vás, našich diváků a čtenářů, o příbězích lidí, jejichž životy ovlivnila a navždy změnila vážná nemoc.

„Může se to stát každému a stalo se to i mě. Jednoho dne si vyslechnete diagnózu nevléčitelného onemocnění. Celý svět se vám najednou obrátí naruby. Odejdete z ordinace lékaře plní otázek. V té chvíli potřebujete informace, potřebujete podporu, potřebujete pomoc,“ vypráví ve videu Jana Hlaváčová své pocity, když se dozvěděla diagnózu.

Velice důležitá podpora pochází od těch, kteří vědí, co prožíváte. Prošli si tím totiž také. Mluví na vás v tu chvíli jazykem, kterému rozumíte, popisuje dále Jana, jak sama vnímá jednu z klíčových výhod a úloh lidí z patientských organizací.

Ocitla se sama ve zdraví ohrožujícím stavu, když vedla ve svém volném čase patientskou organizaci věnující se právě roztroušené skleróze, kterou onemocněla. Proto ví, jak je důležité, aby se práce patientských organizací dočkala podpory a pozornosti nejen lidí, ale i patřičných úřadů. Její snaha pomáhat ji dovedla až do kanceláře ministerstva, kde teď se svým patientským týmem „dýchá za krk“ ministerským úředníkům a snaží se, aby hlas pacientů byl v systému slyšet.

Chyběly mi aktivity pro pacienty

Jedním z dalších typických příběhů je i ten Edity Müllerové. Přidala se ke spolku Revma Liga Česká republika jako řadový člen a společně s nemocnou maminkou jezdila na vzdělávací víkendy pro pacienty, sbírala zkušenosti a chtěla být více aktivní. „Mrzelo mě, že Revma Liga dělala (a dělá) spoustu zajímavých a prospěšných aktivit, ale krom členů o nich nikdo moc nevěděl. Chyběly mi aktivity pro ty ostatní pacienty, kterých je v oblasti revmatologie mnoho.“ Nabídla proto své zkušenosti a začala plánovat osvětové akce nejprve jako dobrovolník a pak přijala nabídku kandidovat do předsednictva. „Byla jsem zvolena v roce 2014 a musím říct, že jsme s kolegy za tu dobu uskutečnili spoustu akcí nejen pro členy a dostali spolek do povědomí. Věřím, že náš akční tým ještě hodně aktivit uskuteční, i když jsme všichni dobrovolníci.“

Boj s nemocí, časem i penězi při pomoci ostatním

Patientské organizace jsou převážně spolky – neziskové organizace, které sdružují pacienty, jejich blízké a někdy i lékaře. Poskytují informace, pořádají setkání, rehabilitace, pobyty pro pacienty, organizují kampaně pro veřejnost, poskytují poradenství a hájí zájmy svých členů. Některé se pro lepší kooperaci spojily do takzvaných zastřešujících organizací.

Většina patientských organizací funguje díky dobrovolné činnosti samotných pacientů nebo jejich blízkých. Práce pro ostatní plní jejich volný čas a většinou se potýkají s nedostatkem finančních prostředků.

„Není problém vymyslet aktivity, potíže má většina spolků s penězi na provozní a administrativní náklady,“ popisuje Anna Arellanesová, předsedkyně a spoluzakladatelka České asociace pro vzácná onemocnění. „Není snadné hájit zájmy pacientů, realizovat projekty a přitom nemít peníze na základní náklady spolků, pokud chceme mít silné pacientské organizace, je nutné zajistit stabilní financování.“

Co se týká peněz, ty pacientské organizace na svůj provoz shánějí ze sbírek, darů členů, příznivců, soukromých společností a když je ta možnost, tak také z nejrůznějších vypsaných grantů a státních dotací.

Kdy se na pacientskou organizaci můžete obrátit?

Dozvěděli jste se konkrétní diagnózu a nevíte, kde získat důvěryhodné informace o nemoci.

Potřebujete poradit ohledně rozsahu dostupné péče a jejích možností, ale i v dalších otázkách života s nemocí (oblast sociální, zaměstnávání, vzdělávání apod.).

Potřebujete rady těch, kteří si již prošli tím, čím procházíte vy, dovedou konkrétně poradit a podpořit.

Vy nebo kdokoli z vašich blízkých potřebujete komunikovat s lidmi, kteří rozumí tomu, co je žít s takovou diagnózou a na jaká úskalí narážíte.

Cítíte se osamělí a hledáte společnost lidí, kteří si vzájemně pomáhají.

V tuto chvíli je v České republice přes 100 pacientských organizací. Jejich databázi a kontakty naleznete i na webu Ministerstva zdravotnictví ČR.

Podpora práv pacientů

Ve zdravotnictví působí různé subjekty. Jde především o stát reprezentovaný ministerstvem zdravotnictví, Státním ústavem pro kontrolu léčiv a dalšími institucemi, zdravotní pojišťovny, poskytovatele zdravotních služeb, odborné společnosti, komerční subjekty a pacienti.

Právě pacienti dlouhá léta bojovali s problémem prosadit svůj hlas tam, kde by měli být nejvíce slyšet. To znamená u úřadů, které tvoří zákony a rozhodují o fungování celého systému. Situace se ale změnila a díky úsilí mnoha lidí, kteří stáli v letech 2016–2017 u zrodu spolupráce pacientských organizací s Ministerstvem zdravotnictví ČR. Dnes už mají pacienti přímo Oddělení podpory práv pacientů, jehož vedoucí Jana Hlaváčová, hovoří v úvodním videu.

Toto oddělení na ministerstvu zdravotnictví pracuje na tom, aby byl hlas pacientů slyšet tam, kde se rozhoduje, vyvíjí kritéria a požadavky pro ty, kteří by na tomto místě měli pacienty zastupovat, a snaží se jim pro to poskytnout vhodné podmínky – včetně vzdělávání a financování.

Oddělení podpory práv pacientů, které slouží také jako sekretariát Pacientské rady, zajišťuje posílení pacientského segmentu jako aktéra ve zdravotnictví prostřednictvím: systémového zapojení pacientů do procesů zdravotních politik; informování a vzdělávání zástupců pacientských organizací (realizace setkání s pacientskými organizacemi, intenzivních vzdělávacích kurzů apod.); nastavení udržitelného financování pacientských organizací.

Z hlediska ministerstva zdravotnictví se zástupci ministerstva účastní pravidelných setkávání s pacientskými organizacemi, které slouží primárně k informování o aktuálních tématech a navazování spolupráce. Co se týká možnosti zasahovat do přípravy zákonů a vyhlášek, funguje už zmíněná Pacientská

rada a její pracovní skupiny, díky kterým jsou pacienti zapojeni do rozhodovacích procesů nebo tvorby nových koncepcí a právních předpisů na ministerstvu.

Web CNN Prima NEWS představuje příběhy pacientů

Na našem webu se věnujeme představení jednotlivých organizací a jejich činnosti. Přinášíme vám příběhy rodin bojujících s nemocí i zprávy o tom, jaká řešení se jim v životě daří nalézat.

Je to právě Oddělení podpory práv pacientů, se kterým naše redakce spolupracuje při informování vás, našich čtenářů.

V našich reportážích o životě a boji s konkrétní diagnózou naleznete vždy i kontakt na příslušnou organizaci, a tak budete vědět, kam se můžete obrátit, pokud i vy, nebo někdo z vašich blízkých, budete potřebovat pomoc.

Zdroj: CNN Prima News

Vitamin C by mohl pomáhat v léčbě některých vzácných nádorů, naznačuje český výzkum

Kyselina askorbová neboli vitamin C možná pomůže k léčbě některých vzácných druhů těžce léčitelných nádorů spojených s endokrinními žlázami. Mezinárodní tým, jehož součástí jsou i čeští vědci, prokázal, že nádory s určitými mutacemi na vitamin reagují citlivě.

Role českých expertů v tomto výzkumu byla významná. Vedl ho Karel Pacák z amerického Státního zdravotního ústavu a za Česko na něm spolupracovali Jiří Neužil a Kateřina Váňová z Laboratoře molekulární terapie v centru Biocev. Článek o výzkumu publikoval časopis *Clinical Cancer Research*.

Objev může podle vědců otevřít nový přístup k léčbě takzvaných feochromocytomů a paragangliomů. U nich je nyní jedinou známou léčbou chirurgické odstranění karcinomu. Pokud se ale nepodaří vyjmout ho celý, nemoc se vrací. Podle Neužila je účinnost léčby v současnosti velmi nízká.

„Konkrétní mutace, na kterou se soustředíme a která je u pacientů s daným typem nádoru relativně častá, vede k citlivosti nádoru na vitamin C. Je to vlastně shoda několika dějů,“ řekl k objevu Neužil.

„Mutace v proteinu SDHB vede k akumulaci železa v rakovinových buňkách. Toto železo v přítomnosti vitaminu C vede k tvorbě reaktivních forem kyslíku selektivně v rakovinových buňkách, které jsou na tyto formy kyslíku citlivé a následně umírají,“ popsal vědec. Na nádory, které určité mutace nemají, vitamin nepůsobí.

Neužil uvedl, že tým bude nadále zkoumat vliv mutace SDHB a dalších mutací na citlivost rakovinových buněk vůči vitaminu, zaměří se ale i na jiné potenciálně protirakovinné látky. „Byli bychom rádi, pokud by toto vedlo k budoucím klinickým testům, ale to je ještě běh na dlouhou trať,“ uzavřel vědec.

Rakovina a vitamin C

Vitamin C a jeho role při boji s rakovinou se zkoumají už nejméně od 80. let dvacátého století. Organismu totiž během léčby tato látka chybí a to oslabuje jeho obranyschopnost.

První výzkumy a experimenty nepřinesly dostatečné důkazy o účinnosti vitaminu C, protože se podával jen ústy. Zřejmě jsou však potřeba velmi vysoké koncentrace. V současné době se vědci pokouší prozkoumat toto téma znovu a modernějšími způsoby.

Zdroj: Česká televize

Letní výzva Křížem krážem s dystrofií upozorňuje na problematiku bezbariérového cestování

Bariéry. Jsou různé a patří k životu. Někdo musí překonávat jen ty ve vlastní hlavě, někdo tělesné, finanční apod. Lidé se svalovou dystrofií musejí překonávat bariér hodně, ale to jim nebrání užívat život a cestovat. Jak se cestuje s elektrickým vozíkem, co musí absolvovat člověk s omezenou pohyblivostí, jak náročné je vůbec nějaký výlet či dovolenou naplánovat? To jsou všechno témata, která zazní během letní výzvy pacientské organizace Parent Project.

Zapojit se může každý. Lidé starší s omezenou pohyblivostí. Lidé cestující s malými dětmi. Stačí se během výletu zamyslet, zda by byl i pro vozíčkáře, a sdílet fotku. Každý, kdo se zapojí, bude zařazen do slosování o drobné dárky.

Cestování s dítětem se svalovou dystrofií je náročné v tom, že se jedná o progresivní onemocnění, které se neustále zhoršuje. Takže zatímco zdravé děti postupně vymění kočárek za pohorky, děti se svalovou dystrofií postupně vymění kočárek za mechanický vozík a později za vozík elektrický. Již v raném věku totiž začnou mít problémy s pohybem a po desátém roce života přestávají chodit.

U některých forem svalové dystrofie děti ani nikdy chodit nezačnou. Od puberty je většina lidí s touto diagnózou odkázána na dýchací přístroje, se kterými se také necestuje zrovna lehce.

Diagnózu svalová dystrofie si vyslechne každý rok na 20 tisíc dětí z celého světa. Jim i jejich rodinám obrátí život naruby. Navždy.

„Dovoluji si říct, že cestování lidí se svalovou dystrofií je o dost náročnější. Není ale nemožné. Máme členy, kteří cestují pravidelně i na daleké zahraniční cesty. Většinou je to díky rodičům, kteří jsou k dispozici 24/7 a starají se o vše od A do Z,“ popisuje Jitka Reineltová, předsedkyně pacientské organizace PARENT PROJECT.

„Není to lehké, ale jde to a ukazuje se, jak moc obohacující tyto zkušenosti a zážitky jsou i pro lidi, kterým nefungují svaly“, dodává Jitka Reineltová.

PARENT PROJECT organizuje jednou ročně i psycho-relaxační pobyt pro rodiny se staršími dětmi s Duchennovou svalovou dystrofií. Lidé s Duchennovou svalovou dystrofií jsou rozseti po celé České republice. Osobní setkání je pro ně nenahraditelné.

PARENT PROJECT jim během těchto pobytů zajišťuje asistenci, program a služby odborných poradců jako jsou psycholog, ergoterapeut, sociální pracovník atd. Podpořit tento projekt v rámci letní výzvy Křížem krážem s dystrofií můžete na: <https://www.darujme.cz/projekt/1203248>.

Zdroj: Helpnet.cz

Změny úhrad nových léků ze zdravotního pojištění vláda schválila

Vláda na včerejším zasedání schválila velkou novelu zákona o veřejném zdravotním pojištění, která mění úhrady moderních léků, dohodovací řízení nebo práci revizních lékařů zdravotních pojišťoven. Včera to sdělil ministr zdravotnictví Adam Vojtěch (za ANO). Novela také přidá zdravotním sestřám možnost předepisovat některé pomůcky a praktickým lékařům nové léky. Měla by platit od roku 2022, v návrhu zakotvené změny budou veřejné zdravotní pojištění stát zhruba 100 milionů korun

navíc. Mění se několik desítek ze 61 paragrafů zákona, podle ministerstva jde o největší novelu nejméně od roku 2007. Návrh nyní posoudí Sněmovna.

„Novela je propacientská a má zajistit lepší dostupnost zdravotní péče, jasnější vymahatelnost nároku pojištěnců na zdravotní péči, aby se nestalo to, že zdravotní pojišťovny rozhodují o nároku pojištěnce každá jinak. Aby se sjednotil proces přiznání nároku pojištěnce, rozhodování revizních lékařů například při žádosti o individuální úhradu léku a podobně,“ řekl Vojtěch po jednání vlády.

Nejzásadnější je podle ministrova vyjádření ze začátku července změna úhrad drahých inovativních léčiv a přípravků na vzácná onemocnění ze strany pojišťoven. U nemocí, kterými trpí nejvýše jeden člověk z 5000, se obtížně sbírají data o účinnosti léků. Na základě těch pojišťovny ale rozhodují, jestli budou pacientům hrazené z pojištění. Pojišťovny nově zohlední názor komise složené z odborníků na danou nemoc a bude možné se odvolat.

Nové léky dostávají v současné době dočasnou úhradu na tři roky. Nově to bude na pět let, a potom se jejich účinnost vyhodnotí. I kdyby úhradu z veřejného zdravotního pojištění po pěti letech lék nezískal, pacienti, kteří ho už dostávali a fungoval jim dobře, ho budou moci užívat i nadále. Platit jim ho nebude pojišťovna, ale výrobce.

V současné době nemocní často žádají, aby jim drahé moderní léky pojišťovny hradily na takzvaný paragraf 16, což je výjimka uvedená v zákoně. Ze zhruba 450.000 žádostí za rok by změna zákona měla eliminovat zhruba třetinu. Pojišťovny jich kladně vyřizují kolem 90 procent a platí za ně přes dvě miliardy korun za rok.

Zákon upravuje také proces dohodovacího řízení, ve kterém zástupci jednotlivých segmentů zdravotní péče vyjednávají se zdravotními pojišťovnami o úhradách péče na celý rok. Ministerstvo se zaměří na jednotlivé vyjednavače a platnost jejich plných mocí. Chce také více zveřejňovat protokoly z jednání. Mění také úhrady některých zdravotnických prostředků. Například pleny budou moci nově předepisovat pacientům i zdravotní sestry.

„Co je revoluční, že nově přímo podle zákona dáváme možnost patientským organizacím vstupovat do systému v rámci rozhodování o tom, jestli nějaký lék bude hrazen nebo nikoli. Společně budou s odbornými společnostmi, se zdravotními pojišťovnami a s ministerstvem zdravotnictví rozhodovat o tom, jestli určitý lék má přidanou hodnotu pro lepší kvalitu života pacientů a bude tedy možnost ho standardně hradit a nikoli na základě individuálních žádostí u zdravotních pojišťoven,“ poznamenal Vojtěch.

Na základě návrhu České stomatologické komory byly do novely zákona o veřejném zdravotním pojištění zahrnuty novinky, které učiní péči dostupnější pro pacienty s vážnými ortodontickými vadami, jako jsou rozštěpy, vrozené nebo systémové vady. Také rozšíří úhradu i na jiné než základní zubní náhrady.

Zdroj: ČTK

Evaluation of the medicines for rare diseases and children legislation

On 11 August 2020, the European Commission published its evaluation (main document – part 1, annexes: part 2, part 3, part 4, part 5, part 6) on the legislation for medicines for rare diseases and for children. An executive summary [Search for available translations of the preceding link in English, French and German is also available.](#)

This is the first comprehensive evaluation of the two regulations since their adoption in 2000 and 2006 respectively. They are evaluated together, given that the majority of rare diseases may appear already in children and many children's diseases are also rare.

The evaluation was conducted in line with the Commission's Better Regulation Guidelines. It aimed to assess the strengths and weaknesses of the two regulations. The evaluation consisted of several steps, including the publication of a Roadmap, various recent studies on paediatric medicines and on medicines for orphan diseases and extensive consultation of stakeholders. The European Commission is now reflecting on follow-up actions.

Roadmap

The European Commission published a Roadmap on the evaluation of the orphan and paediatric legislation (medicines for special populations). This Roadmap was a first step in the evaluation process and outlined the purpose, content and scope of the evaluation. Stakeholders were invited to submit comments on the Roadmap until 8 January 2018. To view the feedback received, please [click here](#).

External Studies

To conduct this evaluation, the European Commission used the outcomes of various recent studies.

An external contractor carried out a study on the functioning of the regulation on medicines for rare diseases. This study was based on Commission documents and reports, the relevant published literature, documents developed by other bodies (such as the European Parliament) and the results of the public and targeted consultation.

Final study report and executive summary [Search for available translations of the preceding link](#).

As regards the paediatric regulation, all relevant studies and reports have already been published [here](#).

Stakeholder consultation

Stakeholder consultation was one of the key sources of evidence that was used to support this evaluation. The aim was to collect views and opinions on the implementation of the two legislations, to gather factual information on what works well and where there is still room for improvement and to gather data and knowledge about the impact of the legislations. Stakeholders were consulted in the following ways:

Conference on "Medicines for Rare Diseases and Children: Learning from the Past, Looking to the Future" was held 17 June 2019 in Brussels. The event brought together around 150 experts from across the EU, representing national governments and health authorities, academia, patients and health professionals' organisations and the pharmaceutical industry. By using interactive methods of discussion, all participants had the opportunity to express their opinions on specific questions. A detailed report was published [here](#). [Search for available translations of the preceding link](#).

An online public consultation on the evaluation of the orphan and paediatric legislation was launched on 12 October 2018 and run until 11 January 2019. The online public consultation was conducted via a survey consisting of open and closed questions about knowledge of and experiences with

orphan medicines, policy challenges, experiences with the EU Orphan Regulation, and the availability, affordability and accessibility of orphan medicines, both in general and at member State level. A total of 145 responses was received and published here.

A multi-stakeholder workshop on “How to better apply the Paediatric Regulation to boost development of medicines for children” was held on 20 March 2018. The workshop brought together around 160 participants from different groups: patients and carers, academics, healthcare professionals, and pharmaceutical industry representatives as well as clinical trial assessors from national competent authorities (NCAs), ethics committees, the Agency including representatives of the Paediatric Committee (PDCO) and the European Commission.

An online public consultation on the roadmap on the evaluation of the orphan and paediatric legislation was launched on 11 December 2017 and run until 8 January 2018. In total 23 replies were received: 4 from business associations, 2 from companies, 2 from public authorities, 5 from NGOs, 3 from academic/research institutions, 5 from EU citizens and 2 from non-EU citizens. The replies are published here.

An online public consultation on the experience acquired from the application of the paediatric regulation was launched on 15 November 2016. Submissions were received from 75 responses from a variety of stakeholders representing pharmaceutical undertakings, patient organisations, NGOs, as well as public institutions including regulatory agencies and national ministries. A report summarising the stakeholders’ replies is published here.

Zdroj: Evropská komise