



INOVACE PRO ŽIVOT

Jakub Dvořáček
9. března 2020



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH



Authorisation of new medicines in 2019

66 Positive opinions

30 New active substances

4 Negative opinions

12 Withdrawn applications

3 PRIME

1 Advanced therapy medicinal product

7 Orphan medicines

3 Accelerated assessments

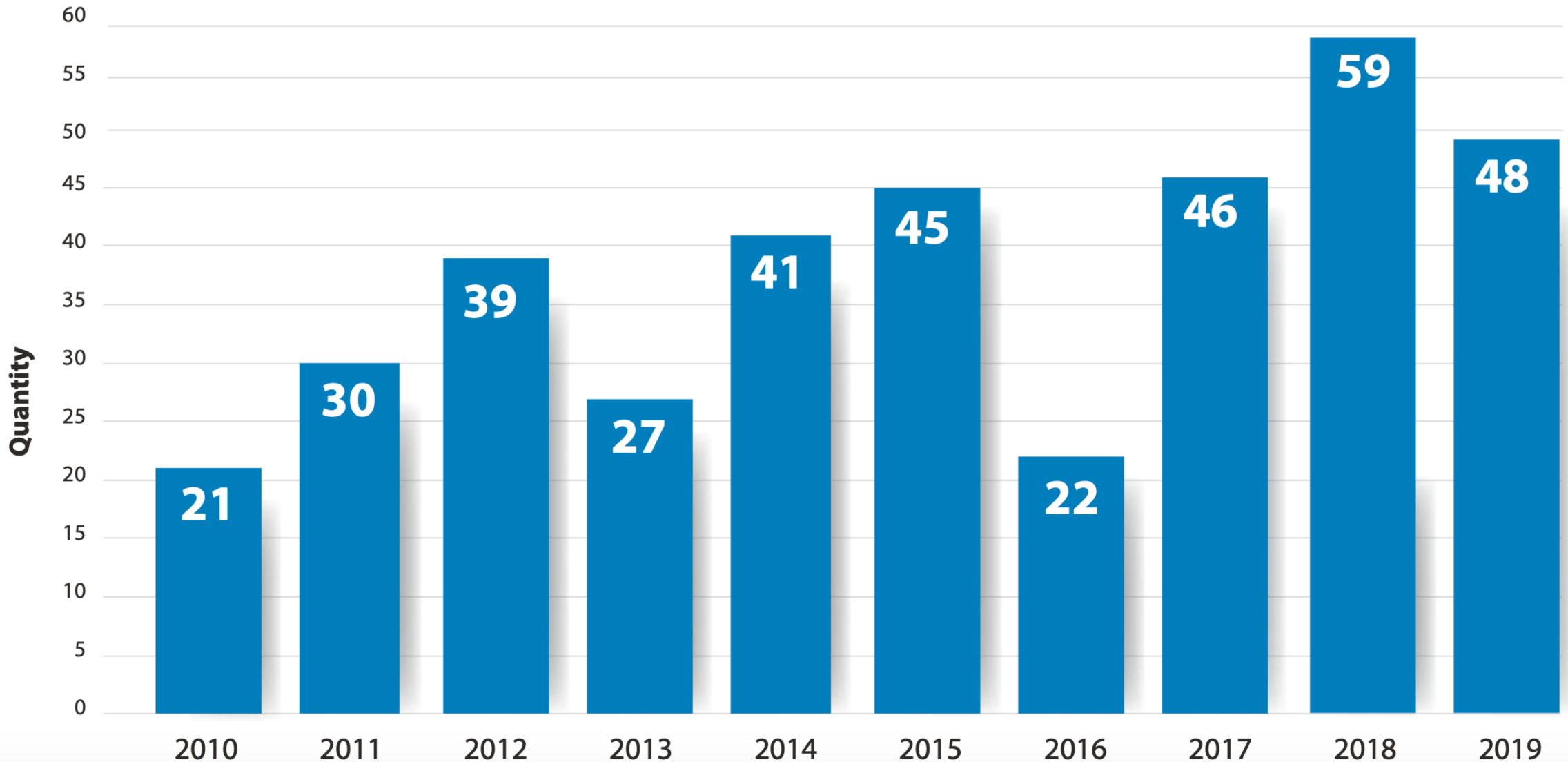
8 Conditional marketing authorisations

1 Approval under exceptional circumstances

5 Biosimilars

CDER's Annual Novel Drug Approvals: 2010–2019

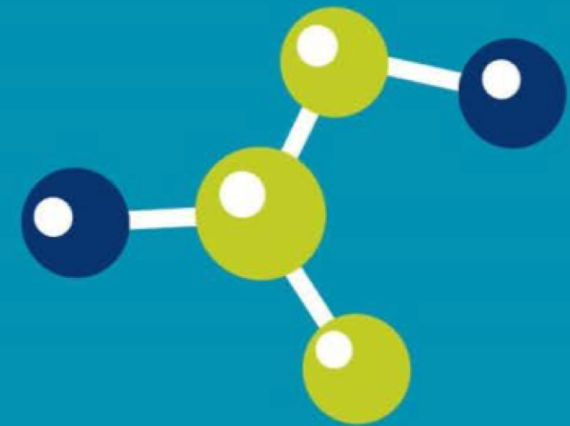
In 2019, CDER approved 48 novel drugs. The 10-year graph below shows that from 2010 through 2018, CDER has averaged about 37 novel drug approvals per year.



42%
of all medicines

73%
of cancer medicines

in development
have the potential
to be



**PERSONALIZED
MEDICINES**

VÝZVY A PŘÍLEŽITOSTI V OBLASTI INOVATIVNÍ LÉČBY



VÝZVY

Ve většině případů není o žádostech o uvedení léčivých přípravků do oběhu rozhodnuto v zákonem stanovené lhůtě a dostupnost inovativních léčiv se tak snižuje, konkrétně méně než 40 % případů je rozhodnuto včas.

Přímé investice do farmaceutického výzkumu a vývoje jsou relativně nízké, např. v ČR ve výši 0,04 % HDP, v Maďarsku 0,16% HDP a ve Švýcarsku 1,1 % HDP.

Počty nově zahájených klinických hodnocení prováděných v České republice pomalu klesají.

Množství nově zahájených klinických hodnocení zahájených místními subjekty se v období let 2015 až 2017 snížilo z 81 na 67.



PŘÍLEŽITOSTI

Regulační prostředí pro výzkum a vývoj prochází v současné době výraznými změnami spojenými s nezbytnou úpravou právních předpisů.

Kvalita výzkumné infrastruktury neustále roste, zvyšuje se i počet pracovišť zaměřených na výzkum a vývoj.

Český vzdělávací systém a vědecká obec produkují nejuznávanější odborné kapacity.

* červenec/srpen 2019



TERAPEUTICKÉ OBLASTI BYLY ZVOLENY S PŘIHLÉDNUTÍM K DOPADŮM NA POPULACI

- 1 DIABETES II. TYPU
- 2 RAKOVINA PROSTATY
- 3 RAKOVINA PRSU
- 4 RAKOVINA TLUSTÉHO STŘEVA A KONEČNÍKU
- 5 CHRONICKÁ MYELOIDNÍ LEUKÉMIE
- 6 CHRONICKÁ OBSTRUKČNÍ PLICNÍ NEMOC
- 7 REVMATOIDNÍ ARTRITIDA
- 8 ROZTROUŠENÁ SKLERÓZA
- 9 IDIOPATICKÉ STŘEVNÍ ZÁNĚTY

Příslušných 9 terapeutických oblastí zachycuje výzvy a ilustruje vývoj i pokrok v inovativní medicíně, včetně kvantifikovatelných dopadů. Výběr se řídil několika kritérii:

- A** Oblasti s relativně vysokou nemocností*, prevalencí** a incidencí*** v České republice
- B** Oblasti, na něž se zaměřují inovační činnosti
- C** Oblasti, které mají velký dopad na pacienty
- D** Oblasti, u nichž jsou dostupné kompletní databáze
- E** Oblasti s odlišným charakterem a jasně identifikovatelnými stadii

* Vypovídá o hustotě výskytu onemocnění či jeho příznaků v populaci. Pojem se používá rovněž v souvislosti se zdravotními problémy vyvolanými léčbou.

** Celkový počet jednotlivců v populaci trpících onemocněním, resp. vykazujících určitý zdravotní stav v určitém čase; tato veličina se obvykle vyjadřuje jako procentní podíl populace.

*** Odkazuje na počet jedinců, u nichž se vyvine určité onemocnění, případně se u nich vyskytnou konkrétní zdravotní potíže během stanoveného časového období (například v průběhu jednoho měsíce či roku).





ZHOUBNÝ NÁDOR PRSU

Zhoubný nádor prsu (C50) je způsoben růstem nádorových buněk v prsní tkáni a je po zhoubném nádoru kůže nejčastěji diagnostikovaným nádorovým onemocněním. Jde především o onemocnění žen, ale může se objevit i u mužů. Díky funkčnímu screeningu je mnoho nádorů diagnostikováno v počátečních stádiích, kdy je šance na úplné uzdravení téměř stoprocentní. Úmrtnost na ZN prsu se tak významně snižuje.¹

Stádia ZN prsu²

- 0. fáze**
Neinvazivní nádor, který dosud nevnikl do lymfatických nebo krevních cév.
- 1. fáze**
Nádor je menší než 2 cm v průměru a nejsou postiženy lymfatické uzliny v podpaží, karcinom se zatím nešíří mimo prs.
- 2. fáze**
2A, 2B – různé velikosti nádoru s možností postižení lymfatických uzlin v podpaží.
- 3. fáze**
3A, 3B, 3C – postižení lymfatických uzlin či kosti hrudní, možnost prorůstání nádoru do stěny hrudní nebo kůže, zánětlivý karcinom.
- 4. fáze**
Prokázané vzdálené metastázy (nový nádor vytvořený na jiné části organismu), nejčastěji v plicích, játrech, kostech a mozku.

Diagnostické prostředky²

- Krevní testy
- Klasický rentgen
- Scintigrafie skeletu (vyšetření kostry)
- Ultrazvukové vyšetření břicha
- Výpočetní tomografie (CT)
- Magnetická rezonance (MR)
- Pozitronová emisní tomografie (PET)

Léčba³

- Chirurgická léčba
- Chemoterapie
- Ozařování
- Hormonální léčba
- Biologická léčba

Nádor prsu je nejčastějším zhoubným nádorovým onemocněním u žen. Ročně je v České republice zjištěno přes 7 000 nových případů.⁴



Zdroje: 1) EUC, 2) Občanské sdružení Nejsi na to sama, 3) MOÚ, 4) Národní onkologický registr (www.svod.cz)



MÉNĚ INVAZIVNÍ A ÚČINNĚJŠÍ ZÁKROKY DÍKY ROZŠÍŘENÝM MOŽNOSTEM LÉČBY C50¹



Díky velkým pokrokům nyní moderní cílené léky umožňují léčbu prvotních stádií bez nutnosti chemoterapie, což značně zvyšuje komfort pacientů.

Zdroje: The Conversation Trust (UK) Limited

*Lumpektomie = odstranění nádorového ložiska s dostatečným lemem zdravé tkáně



ROSTE DOSAHOVANÉ PŘEŽITÍ I DOBA DOŽITÍ PACIENTŮ, A TO I VE 4. STADIU ONEMOCNĚNÍ

Prevence, inovativní postupy a léky pomohly po roce 2012 ušetřit souhrnně 16 103 dříve ztracených let života.

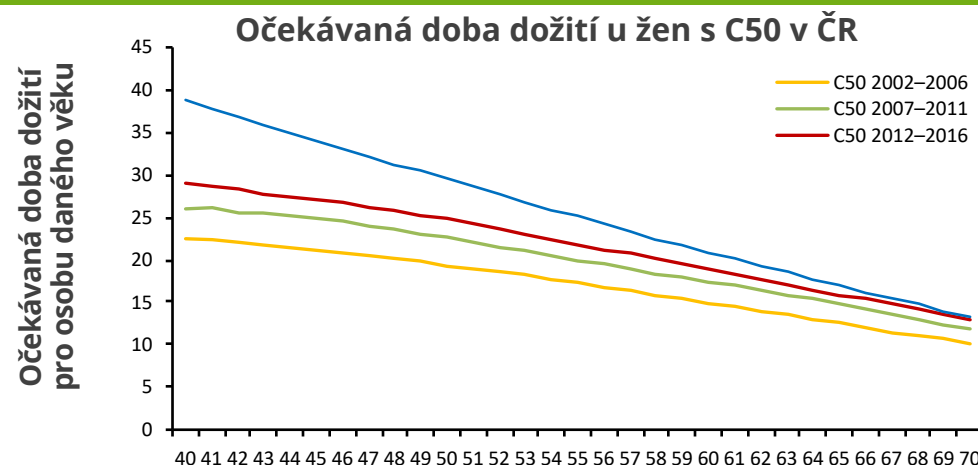
Ztracené roky života celkem (40 až 70letí)

2002–2006: **27 405** → **16 103**
 2012–2016: **11 302** Let života navíc

Míra 5letého přežití vzrostla od roku 1990, a to včetně 4. stadia (metastatické), kde se výrazně zapojují inovativní léky.

1. fáze	1990–1994 91,8 %	↗ 8,8 %	2013–2016 99,9 %
2. fáze	1990–1994 79,7 %	↗ 14 %	2013–2016 90,8 %
3. fáze	1990–1994 53,5 %	↗ 25,6 %	2013–2016 67,2 %
4. fáze	1990–1994 20,5 %	↗ 18,5 %	2013–2016 24,3 %

Doba dožití pacientek* diagnostikovaných se zhoubným nádorem prsu se dlouhodobě zvyšuje a u pacientek nad 65 let se přibližuje době dožití běžné populace.



Citelná redukce „ztracených let“

Očekávaná doba dožití u 40leté pacientky v období 2002 až 2006 byla 22,5 roku (tedy o 14,3 roku kratší než u průměrného člověka). O 10 let později (mezi roky 2012 a 2016) se očekávaná doba dožití zvýšila na 29 let a „ztracené roky“ klesly na 9,8 let. Stejný trend lze pozorovat napříč věkovým spektrem pacientek, což znamená celkový nárůst očekávané doby dožití.

*Statistická data jsou dostupná pouze pro pacientky ženského pohlaví

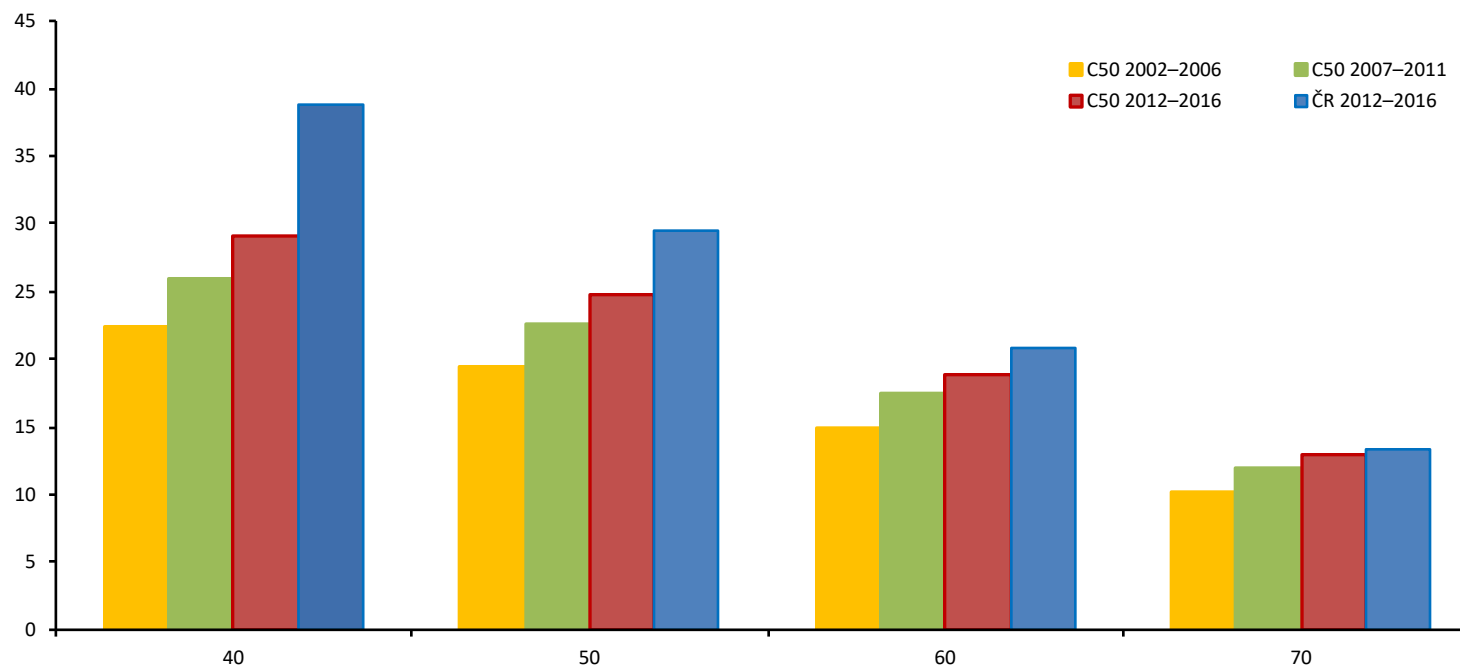
Zdroje: 1) Národní onkologický registr (www.svod.cz), Analýza populačních dat NZIS, analytická studie Zdraví 2030



PATIENTS' LIFE EXPECTANCY AND SURVIVAL RATES ARE GROWING

Doba dožití pacientek* diagnostikovaných se zhoubným nádorem prsu se dlouhodobě zvyšuje a u pacientek nad 65 let se přibližuje době dožití běžné populace.

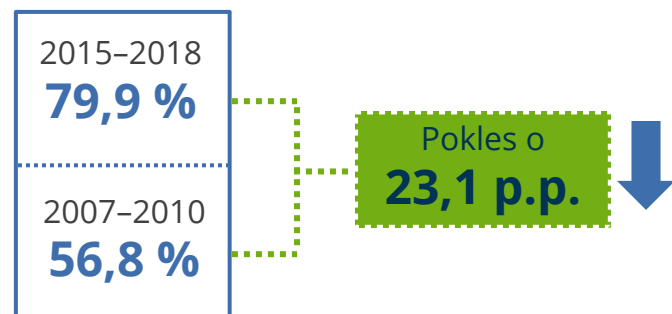
Očekávaná doba dožití u žen s C50 v ČR dle věkových skupin



PACIENTKY VYŽADUJÍ NIŽŠÍ MÍRU HOSPITALIZACE A JSOU SCHOPNY ŽÍT PROFESNĚ AKTIVNÍ ŽIVOT

Většina hospitalizací je kratší než 1 týden. Podíl krátkodobých hospitalizací roste, pacientky tráví méně času v nemocnicích.

Podíl hospitalizací s délkou menší nebo rovnou 1 týdnu¹



Úspory na důchodech spojených se zhoubným nádorem prsu od roku 2010 činí 1,53 mld. Kč. Dalších 94 mil. se ušetřilo na lécích podávaných během hospitalizace.²

Spočítané ušetřené náklady

1,52 mld. Kč

% hospitalizovaných pacientek (z celkové prevalence) zaznamenalo pokles.¹



Zhoubný nádor prsu je diagnostikován dříve

2006: **36,5 %** případů ve stadiu 1 2016: **47,3 %**

V roce 2006 bylo 36,5 % zachycených případů stále v prvním stadiu. Díky velmi efektivnímu českému programu screeningu uvedené procento k roku 2016 narostlo na 47,3 %, což znamená, že více pacientek je diagnostikováno v dřívějším stadiu, jejichž léčba je snadnější.¹

Zdroje: 1) Analýza populačních dat NZIS, analytická studie Zdraví 2030, 2) ČSSZ





ZHOUBNÝ NÁDOR PROSTATY

Zhoubný nádor prostaty je nejčastějším nádorovým onemocněním u mužů, v průměru postihuje zhruba jednoho z devíti mužů. Ve většině případů se projevuje pomalu rostoucím nádorem, který může zůstat nerozpoznán, protože nevyvolává žádné příznaky.¹



Stadia ZN prostaty¹

Stadium T (Nádor)

T

- T1: Nádor nelze nahmatat, je možné jej zjistit pouze pod mikroskopem – jedná se o lokalizovaný nádor prostaty.
- T2: Nádor je možné nahmatat, ale nachází se celý uvnitř prostaty – jedná se o lokalizovaný nádor prostaty.
- T3: Nádor lze nahmatat a již pronikl skrze pouzdro prostaty nebo do semenných váčků – jedná se o lokálně pokročilý nádor prostaty.
- T4: Nádor se rozšířil do okolních orgánů, například do hrdla močového měchýře, konečníku nebo pánevní stěny – jedná se o lokálně pokročilý nádor prostaty.

N

Stadium N (Mízní uzliny)

Nádor se rozšířil do okolních mízních (lymfatických) uzlin.

M

Stadium M (Metastáze)

Nádor se rozšířil (metastázoval) do jiných částí těla, například do kostí.

Příznaky ZN prostaty²

- Nucení na močení, časté močení
- Pocit nevyprázdnění
- Močení v malých dávkách
- Slabý proud moči

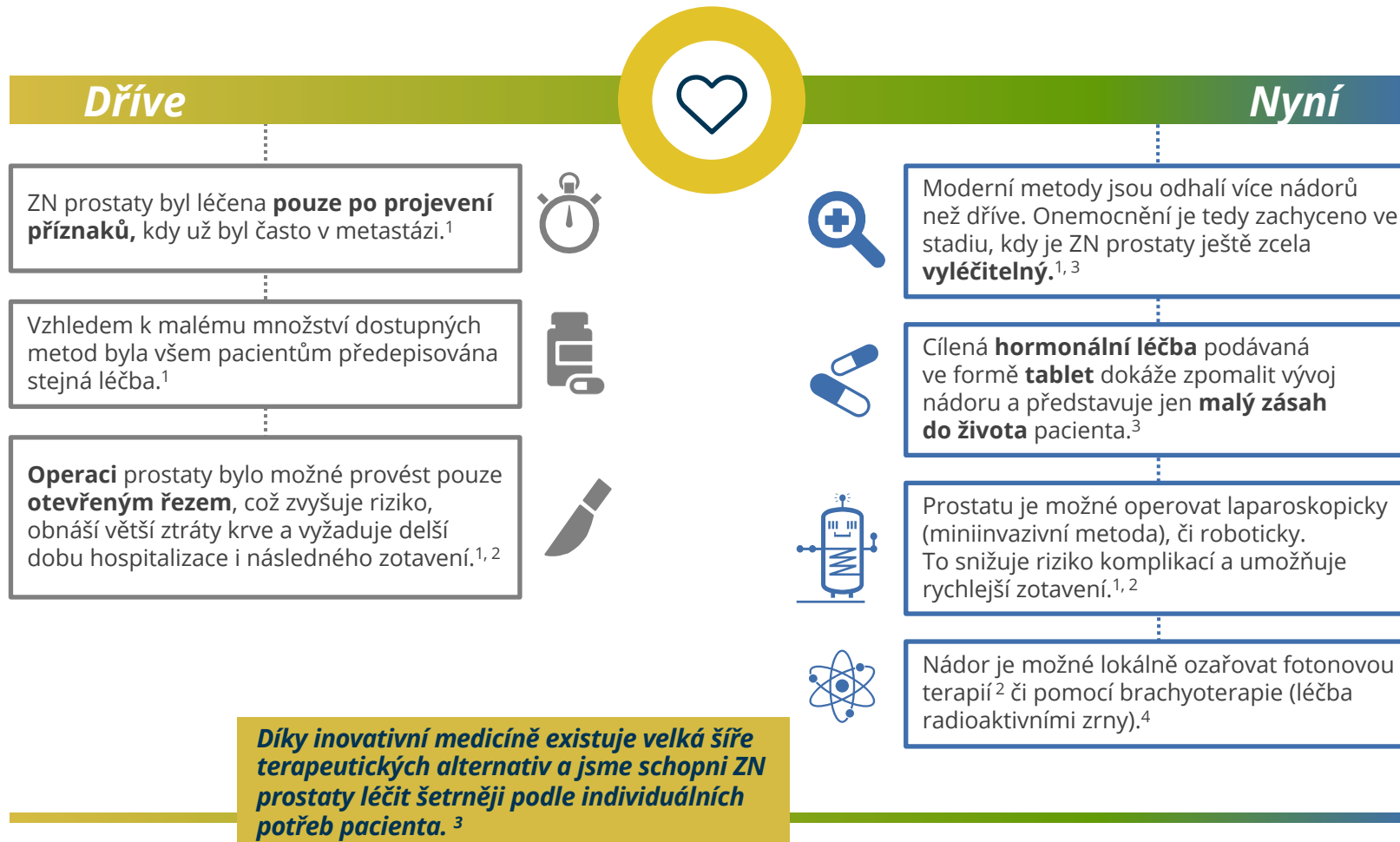
Příznaky jsou patrné až v pokročilém stadiu onemocnění, nádor se tak může roky rozvíjet bez povšimnutí.²



Zdroje: 1) Muži proti rakovině, 2) MOÚ



SOUČASNÁ LÉČBA ZN PROSTATY NABÍZÍ KVALITNĚJŠÍ ŽIVOT A ŠANCI NA ÚPLNÉ VYLÉČENÍ




Zdroje: 1) PCF, 2) ČUS, 3) MOÚ, 4) ČPZP



DÍKY POKROKŮM V LÉČBĚ ZN PROSTATY BYLO VÝZNAMNĚ NAVÝŠENO PŘEŽITÍ PACIENTŮ¹

Prevence a inovativní medicína pomohly ušetřit po roce 2012 souhrnně 4 642 dříve ztracených let života.

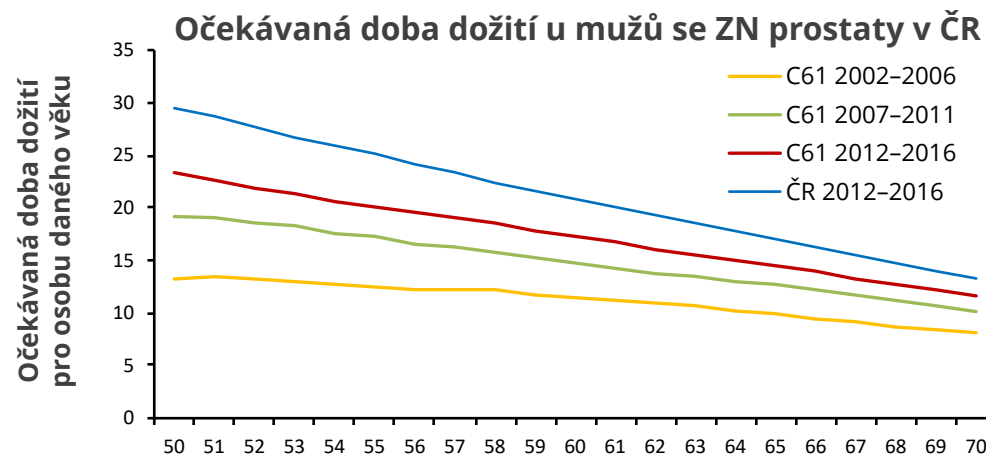
Ztracené roky života celkem (50 až 70let věku)

2002–2006: **8 989**  **4 642**
 2012–2016: **4 347** Let života navíc

Míra 5letého přežití výrazně vzrostla od roku 1990, a to včetně 4. stadia, kde je léčba prováděna primárně léčivý.

Stadium	1990–1994	2013–2016	Δ
1. a 2. stadium	81,1 %	100 %	23 %
3. stadium	59,7 %	97,4 %	63 %
4. stadium	30,1 %	43,5 %	44,5 %

Očekávaná délka života u pacientů se ZN prostaty se výrazně a dlouhodobě **prodlužuje**.



Značný nárůst v očekávané délce života za 10 let

Mezi lety 2006 a 2016 narostla doba dožití u 70letých pacientů o 25,1 %, u 60letých pak o 32,9 % a u 50letých dokonce o 44,6 %.

Očekávaná doba dožití 50letého pacienta v období 2002–2006 bylo 13,2 roku (o 14,4 roku kratší než běžné populace), v období 2012–2016 to bylo 23,4 roku (o 6,1 roku kratší než běžná populace).



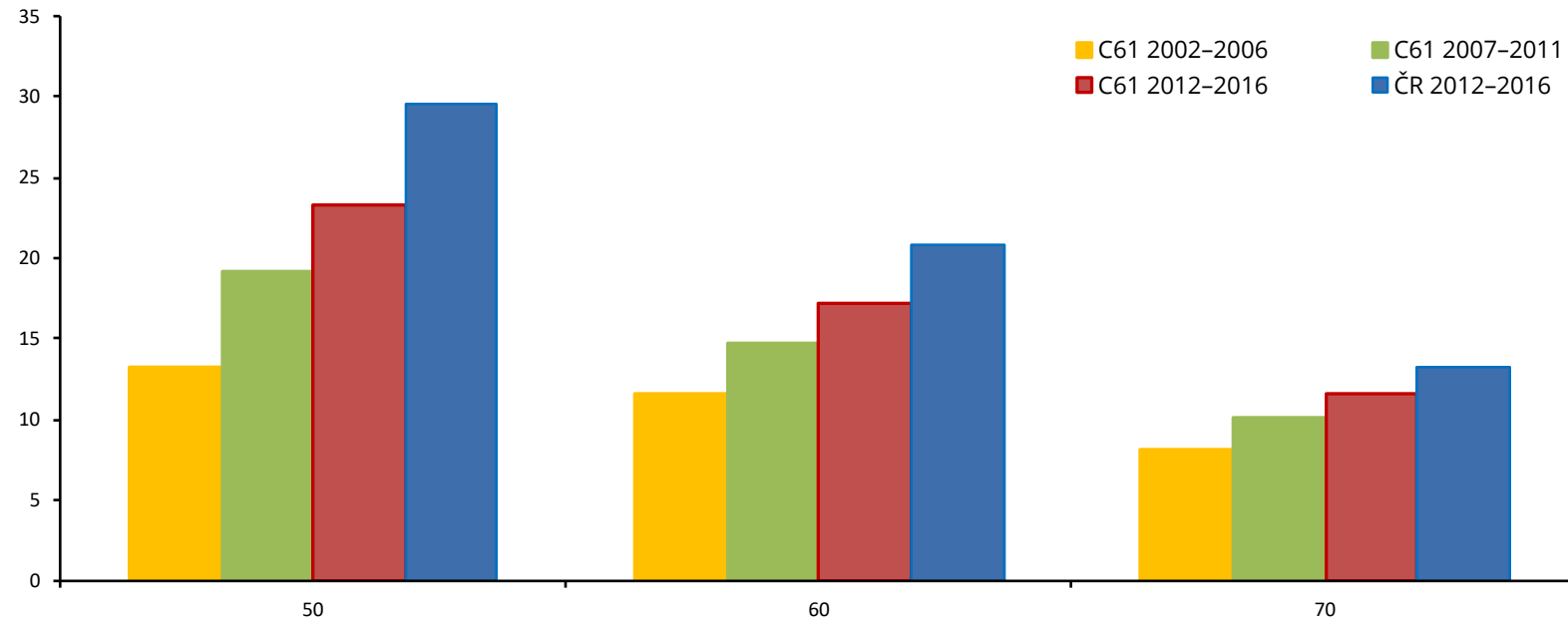
Zdroje: 1) Analýza populačních dat NZIS, analytická studie Zdraví 2030 (MZ ČR & ÚZIS ČR, 2019)



THANKS TO PC TREATMENT ADVANCEMENTS, PATIENT SURVIVAL RATES INCREASED SIGNIFICANTLY¹

Očekávaná délka života u pacientů se ZN prostaty se výrazně a dlouhodobě **prodlužuje**.

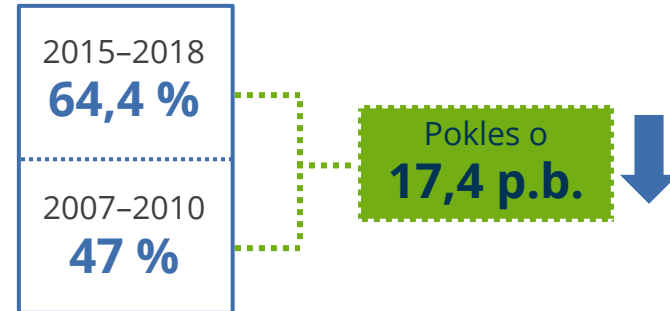
Očekávaná doba dožití u mužů se ZN prostaty v ČR dle věkových skupin



DŘÍVĚJŠÍ DIAGNÓZA NAPOMÁHÁ K NIŽŠÍ NUTNOSTI HOSPITALIZACE I NIŽŠÍ ÚMRTNOSTI

Většina hospitalizací je nyní kratší než **1 týden**. Pacienti se vrací domů dříve.¹

Podíl hospitalizací s délkou kratší, nebo rovnou 1 týdnu¹



Mezi lety 2013 až 2017 **poklesly náklady na invalidní důchody** o 112 mil. Kč.²

Spočítané ušetřené náklady

112 mil. Kč

Mortalita u ZN prostaty jako primární příčiny smrti **zaznamenala pokles**.¹



ZN prostaty je diagnostikován dříve

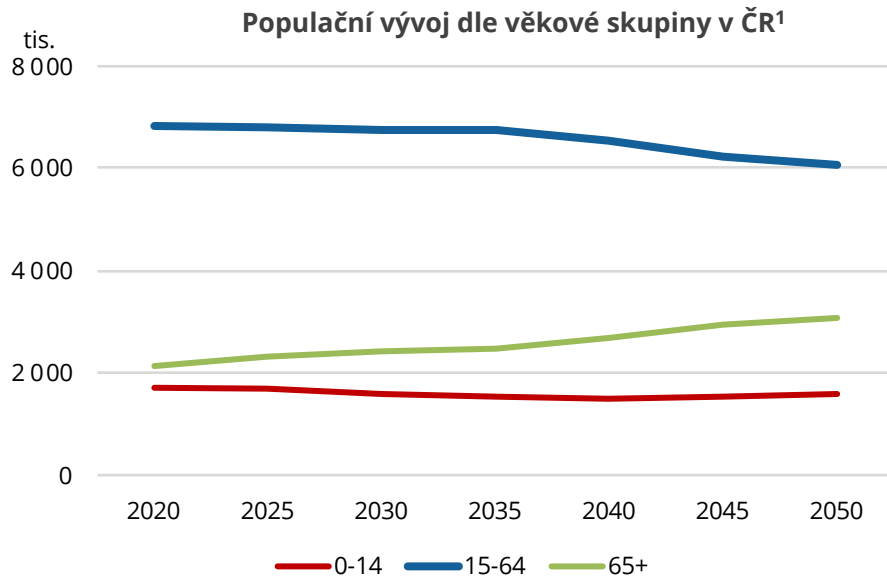
2006: **59,7 %** případů ve stadiu 1 či 2 2016: **71,3 %**

V roce 2006 bylo 59,7 % případů zachyceno ve stadiu 1 nebo 2. Do roku 2016 uvedené procento narostlo na 71,3%. Více pacientů je diagnostikováno v dřívějším stadiu.¹

Zdroje: 1) Analýza populačních dat NZIS, analytická studie Zdraví 2030, 2) Kalkulace EY na základě dat ČSSZ



ČESKÁ POPULACE STÁRNE A ZVYŠUJE SE POTŘEBA INOVATIVNÍ LÉČBY



Nárůst populace v ČR do roku 2050 nebude nikterak významný. Co se však **zásadně změní je podíl obyvatel starších 65 let.** ¹

Celková populace v ČR	
2018	10,6 mil.
→ + 1,2%	
2050	10,7 mil.

Populace starší 65 let	
2018	2 mil.
→ + 50,8%	
2050	3 mil.

Stárnutí populace bude mít za následek nárůst počtu pacientů. Inovativní medicína bude využívána jako prostředek ke kvalitnějšímu životu. Jedním z důsledků bude i schopnost pacientů zůstat déle ekonomicky aktivními a nebýt tak závislími na pomoci státu.

Zdroje: 1) ČSÚ



VYŠŠÍ KVALITA LÉČBY VEDE KE ZVÝŠENÍ JEJÍ ÚSPĚŠNOSTI

Terapeutické oblasti s výskytem předčasných úmrtí v důsledku léčby

Rakovina prsu, rakovina tlustého střeva a konečníku, rakovina prostaty, chronická myeloidní leukémie

1

Ušetřené roky života činily úhrnu více než 20 000 let pouze pro zhoubné nádory prsu a prostaty.

2

Díky preventivním vyšetřením a kontrolám stoupl podíl případů diagnostikovaných v raných stádiích.

3

Vzrostla pětiletá míra přežití u jednotlivých stádií nemoci, např. z 30 % na 43 % u rakoviny prostaty ve 4. stadiu.

4

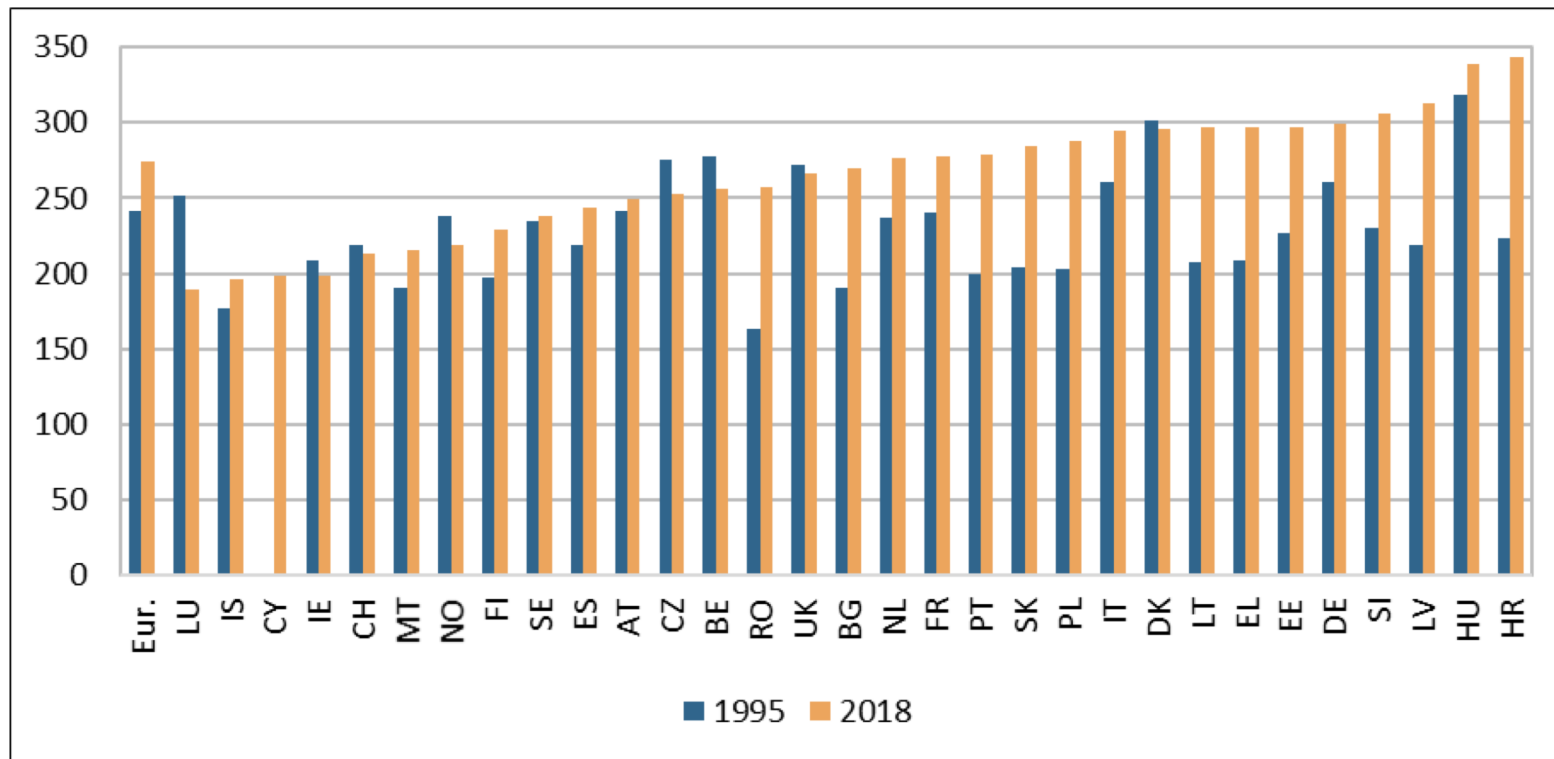
Míra úspěšnosti léčby se zvýšila ve všech stádiích nemoci.

5

V rámci vybraných terapeutických oblastí významně poklesl počet úmrtí zapříčiněných primárně danou chorobou, např. u rakoviny prostaty o téměř 15 procentních bodů.



Rakovina jako příčina úmrtí vzrostla téměř ve všech evropských státech.



Snížení úmrtnosti pouze v BE, CZ, DK, IE, LU, NO, CH, UK

- léčba
- screening

Estimated number of cancer mortality cases per 100,000 inhabitants (crude rates for both sexes), 1995–2018

Source: IARC and ECIS



DĚKUJI ZA POZORNOST
