

RETŪJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO PROBLEMA ĮGYVENDINANT TEISĘ Į SVEIKATOS PRIEŽIŪRĄ

Indrė Špokienė *

*Mykolo Romerio universiteto Teisės fakulteto Bioteisės katedra
 Ateities g. 20, LT-08303 Vilnius
 Telefonas 271 4576
 Elektroninis paštas indrespokiene@gmail.com*

Pateikta 2008 m. spalio 9 d., parengta spausdinti 2008 m. lapkričio 24 d.

Santrauka. Teisės nuostatos, kuriomis remiantis grindžiamas retomis ligomis sergančių pacientų aprūpinimas retaisiais vaistais Lietuvoje, yra inspiruotos Europos Sąjungos (ES) teisėkūros. Nors teisinių iniciatyvų sprendžiant retų ligų gydymo problemą mūsų šalyje yra imtasi, tačiau kyla klausimas, ar jos yra pakankamos, ar nėra taip, jog nepagrįstai ribojamas vaistų, skirtų retoms ligoms gydyti, prieinamumas ir kartu retomis ligomis sergančių pacientų teisė į kokybišką sveikatos priežiūrą?

Atsakymo į šį klausimą paieška pirmiausia reikalauja teorinio pagrindimo. Todėl pirmoji šio straipsnio dalis skirta istorinėms retųjų vaistų reglamentavimo ES sąlygoms, antroji – retųjų vaistų prieinamumo ir teisės į sveikatos priežiūrą užtikrinimo sąsajų analizei. Registruotų ir neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo materialinės teisinės garantijos Lietuvoje, kaip praktinis šio klausimo aspektas, nagrinėjamos trečiojoje straipsnio dalyje.

Pagrindinės sąvokos: retųjų vaistų reglamentavimas, retųjų vaistų prieinamumas, teisė į sveikatos priežiūrą.

IVADAS

Retomis ligomis 27 valstybėse ES narėse serga 6–8 proc. gyventojų – t. y. nuo 27 iki 36 milijonų žmonių. Tai daugiausia genetinės (paveldimos) ligos, taip pat retos vėžio formos, autoimuninės ligos, įgimtos ydos, apsinuodijimo sukeltos būklės, kai kurios infekcinės ligos. Dauguma iš jų labai sunkios, lėtinės, sekinančios, gresiančios gyvybei.¹ Nepaisant medicinos, biotechnologijų, farmacijos pažangos XX amžiaus pabaigoje dažniausiai tokios ligos buvo gydomos tik simptomiškai (pvz., malšinant skausmą), nes farmacijos ir biotechnologijų įmonių dėl labai mažos rinkos kiekvienos ligos atveju komerciniu atžvilgiu ilgai nedomino vaistų joms gydyti kūrimas. Būtent todėl retos ligos dar vadinamos našlaitėmis (angl. *orphan diseases*), o vaistai retoms ligoms gydyti ir pacientai sergantys retomis ligomis, – našlaičiais (angl. atitinkamai: *orphan medicinal products; health orphans / orphan patients*).² Siekiant spręsti retų ligų gydymo pro-

blemą ES, Europos Parlamentas ir Taryba 1999 m. gruodžio 16 d. priėmė reglamentą (EB) Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“ (toliau – 141/2000/EB reglamentas).³

Nors šis reglamentas galioja jau beveik dešimtmetį, retųjų vaistų prieinamumo klausimas tebeišlieka aktualus tiek teorinėje, tiek praktinėje plotmėje. Lietuvoje jis visai netyrinėtas, o užsienio mokslinėje literatūroje yra sulaukęs tik pavienių, daugiausia ne teisės mokslo krypties atstovaujančių autorių dėmesio, todėl stokoja teorinio pagrindimo ir teisinio vertinimo. Praktikoje jo aktualumas pasireiškia dėl nacionalinės teisės spragų ar trūkumų pacientams susiduriant su registruotų retųjų vaistų įsigijimo bei kompensavimo problemomis ar nepakankamai užtikrintomis galimybėmis gauti retai ligai gydyti skirtų neregistruotų vaistų, nors jie gali būti paskutinė viltis gyventi. Todėl kyla abejonių dėl tokių pacientų teisės į sveikatos priežiūrą tinkamo įgyvendinimo.

Šio **straipsnio tikslas** – panagrinėti retųjų vaistų prieinamumo problemos istorinį, teorinį ir praktinį aspektus, pastaruosius du atskleidžiant teisės į sveikatos priežiūrą požiūriu. Numatoma įgyvendinti šiuos *uždavinius*: 1) išryškinti esminius ES retųjų vaistų politikos raidos

* Mykolo Romerio universiteto Teisės fakulteto Bioteisės katedros doktorantė.

¹ Rare diseases: Europe's challenges. Public consultation. European Commission. Health and Consumer protection directorate-general, 2007, p. 2.

² Anglų kalbos žodis *orphan* kilęs iš graikų kalbos žodžio *orphanos* (gr. *ορφανός*), reiškiančio vaiką, netekusį vieno iš tėvų ar abiejų tėvų, arba suaugusįjį, kuris neteko vaiko. (Arson, J. Rare diseases and orphan drugs. *Br J Clin Pharmacol*. March 2006, 61(3):243–245.) Da-

bartinės anglų kalbos žodžio *orphan* pagrindinė reikšmė lietuvių kalboje – *našlaitis* (Piesarskas, B. *Didysis anglų-lietuvių kalbų žodynas*. 7 laida. Vilnius: Alma littera, 2007, p. 630).

³ Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. *OL* [2000], L18/1.

etapus; 2) panagrinėti retųjų vaistų prieinamumo užtikrinimo bei teisės į sveikatos priežiūrą užtikrinimo sampratas ir jų sąsajas; 3) analizuojant atitinkamus ES ir Lietuvos teisinius dokumentus, atskleisti vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo materialinių garantijų ypatumus Lietuvoje, apsvaistyti išvengtus trūkumus. Tyrimo **objektas** – retųjų vaistų prieinamumo problema sveikatos teisėje. Tyrimo **metodai**: istorinis, dokumentų analizės, aiškinamasis ir analitinis kritinis.

1. RETŪJŲ VAISTŲ REGLAMENTAVIMO EUROPOS SĄJUNGOJE ISTORINĖS SĄLYGOS

Literatūroje lakoniškai nurodoma, jog „dar 1980 metais buvo pripažinta būtinybė priimti Europos Bendrijos (toliau – Bendrijos) lygmens teisės aktą, skirtą vaistams retoms ligoms gydyti“⁴. Tačiau teisiškai šią idėją pradėta įgyvendinti praėjus daugiau nei dešimtmečiui.

1993 m. lapkričio 24 d. Komisijos komunikate⁵ retos ligos išskirtos kaip vienas iš aštuonių Bendrijos prioritetų visuomenės sveikatos srityje, o tų pačių metų Tarybos reglamentu (EEB) Nr. 2309/93⁶ įsteigta Europos vaistų vertinimo agentūra, kuri, be kitų funkcijų, tapo atsakinga ir už vaistų, sukurtų naudojant sudėtingus biotechnologijų procesus, centralizuotą registravimą. E. Tambuyzer teigimu, būtent šie faktai istorinėje retrospektyvoje laikytini ES retųjų vaistų politikos formavimo pradžia.⁷

1994 metų spalį Prancūzijos, kuri tuomet pirmininkavo ES Taryboje, vyriausybės iniciatyva buvo paskelbtas Prancūzijos nacionalinio sveikatos ir medicinos tyrimų instituto mokslininkų P. Lazario ir A. Wolfo parengtas pranešimas.⁸ Juo visos tuomet ES narėmis esančių keturiolika valstybių viestovės formuoti bendrą retųjų vaistų politiką, kurios būtinumas argumentuotas visuomenės sveikatos gerinimo poreikiu, taip pat tuo, jog būtina vyti JAV ir Japoniją, kur tokio pobūdžio politiką įkūnijantys teisės aktai egzistuoja atitinkamai nuo 1983 ir 1993 metų.⁹

Jau tų pačių metų gruodžio 15 dieną priimtame Tarybos sprendime dėl Mokslinių tyrimų ir plėtros programos (1994–1998)¹⁰ retų ligų ir vaistų joms gydyti tyrimai

buvo įtraukti į biomedicinos ir sveikatos specialiųjų tyrimų, finansuojamų ES lėšomis, sritį.

1995 m. gruodžio 20 d. Taryba priėmė rezoliuciją dėl retųjų vaistų¹¹, kurioje buvo pabrėžtas bendro ES požiūrio į retas ligas ir retuosius vaistus būtinybė. Europos Komisija kviesta atkreipti dėmesį į retų ligų gydymo padėtį ES ir, jei būtina, parengti atitinkamus pasiūlymus, kad vaistai retomis ligomis sergantiems pacientams taptų prieinamesni.

1998 m. liepos 27 d. Europos Komisija priėmė Europos Parlamentui ir Tarybai skirtą pasiūlymą dėl reglamento dėl retųjų vaistų.¹² Beveik po metų – 1999 m. birželio 15 d. atsižvelgdama į šių institucijų papildymus ir nuomones Komisija priėmė naują pasiūlymą.¹³ Po dviejų pakartotinių jo svarstymų, atsižvelgiant į EB Steigimo Sutartį¹⁴, ir ypač jos 95 straipsnį dėl priemonių valstybių narių įstatymų ir kitų teisės aktų nuostatų, skirtų vidaus rinkai sukurti ir veikti, derinimo, Komisijos pasiūlymą¹⁵, Ekonomikos ir socialinių reikalų komiteto nuomonę¹⁶ ir laikantis EB Steigimo Sutarties 251 straipsnyje numatytos procedūros, dar po pusmečio – t. y. 1999 m. gruodžio 16 d. Europos Parlamentas ir Taryba priėmė 141/2000/EB reglamentą dėl retųjų vaistų.¹⁷ Jame nustatytas ligos ar būklės, laikomos reta, paplitimo ES teritorijoje rodiklis – ne daugiau nei 5 sergantys asmenys iš 10 000 gyventojų, taip pat vaistų priskyrimo retųjų vaistų kategorijai Bendrijoje tvarka (3 str.), įteisintos nurodytų retųjų vaistų mokslinio tyrimo, kūrimo ir atidavimo į rinką paskatos: dešimties metų rinkos išimtinumas patvirtintam retajam vaistiniam preparatui; retųjų vaistų mokslinių tyrimų, kūrimo ir prieinamumo rėmimas; protokolinė pagalba ir mokesčių lengvatos; kita parama, inicijuota atskirų valstybių ES narių (6, 8 ir 9 str.).

Reglamentas įsigaliojo 2000 m. sausio 22-ąją, kai buvo paskelbtas Europos Bendrijų oficialiajame leidinyje, tačiau galėjo būti pradėtas taikyti tik Komisijai priėmus reglamento 3 straipsnio įgyvendinimui būtinas nuostatas ir patvirtinus jame vartojamų sąvokų apibrėžimus. Tai buvo padaryta 2000 m. balandžio 27 d., priėmus Europos Komisijos reglamentą (EB) Nr. 847/2000.¹⁸ Abu reglamentai pradėti taikyti nuo 2000 m. balandžio 28-osios. Kadangi EB Steigimo Sutarties¹⁹ 249 straipsnio 2 dalyje numatyta, jog reglamentai yra visuotinai taikomi, nuo minėtos datos jie kaip tiesioginio taikymo aktai tiesiogiai

⁴ Trouiller, P.; Battistella, C.; Pinel, B., et. al. Is Orphan Drug Status Beneficial to Tropical Disease Control? Comparison of the American and Future European Orphan Drugs Acts. *Tropical Medicine and International Health*. 1999, 4:415.

⁵ Commission Communication on the Framework for Action in the Field of Public Health. COM (93) 559 final, 24 November 1993.

⁶ Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. OJ [1993] L 214.

⁷ Tambuyzer, E. The European orphan medicinal products regulation and the biotechnology-based industry in Europe. *Journal of Commercial Biotechnology*. 2000, 6:342.

⁸ Wolf, A. *Les orphelins de la Santé*, INSERM Ed., Septembre 1994.

⁹ Lewis, S. EU policy on orphan drugs [interaktyvus]. *The Lancet*. Jun 10, 1995. No. 345. Prieiga per: ProQuest Medical Library.

¹⁰ Council Decision 94/913/EC of 15 December 1994 adopting a specific programme of research and technological development, including demonstration, in the field of biomedicine and health (1994 to 1998). OL L 361.

¹¹ Council Resolution of 20 December 1995 on orphan drugs. *Official Journal*. C 350 of 30.12.1995.

¹² Proposal for a European Parliament and Council Regulation on orphan medicinal products. *Official Journal*. C 276 of 4.09.1998.

¹³ Amended proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. Brussels, 15 June 1999.

¹⁴ Konsoliduota Europos Bendrijos Steigimo Sutartis. *Valstybės žinios*. 2004. Nr. 2-2.

¹⁵ Amended proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. Brussels, 15 June 1999.

¹⁶ Opinion of the Economic and Social Committee on the ‘Proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. OJ [1999] C 101.

¹⁷ Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. OL [2000] L18/1.

¹⁸ Komisijos 2000 m. balandžio 27 d. reglamentas (EB) Nr. 847/2000 nustatantis vaisto priskyrimo retųjų vaistų kategorijai kriterijų taikymo nuostatas ir sąvokų „panašus vaistas“ bei „klinikinis pranašumas“ apibrėžimus. OL [2000], L103/5.

¹⁹ Konsoliduota Europos Bendrijos Steigimo Sutartis. *Valstybės žinios*. 2004. Nr. 2-2.

ir besąlygiškai tapo visų valstybių ES narių teisinės sistemos dalimi. Pasakytina, jog teisinių iniciatyvų sprendžiant retų ligų gydymo problemą Bendriją įpareigojo imtis EB Steigimo Sutartimi jai suteikta kompetencija veiksmų visuomenės sveikatos, vartotojų apsaugos, mokslinių tyrimų ir plėtros srityse bei reguliuojant bendrąją vidaus rinką.

2. RETŲJŲ VAISTŲ PRIEINAMUMO UŽTIKRINIMO IR TEISĖS Į SVEIKATOS PRIEŽIŪRĄ SAŠAJOS

Įdomu tai, jog kai kurie užsienio autoriai, savo straipsniuose nagrinėjantys su retaisiais vaistais susijusius klausimus, tačiau atstovaujantys ne teisės, o įvairioms kitoms mokslo sritims (bioetikai, sveikatos politikai, sveikatos ekonomikai, visuomenės sveikatai ir kt.) tvirtina, jog 141/2000/EB reglamento priėmimo tikslas arba kertinis principas – siekis užtikrinti pacientų teisę į gydymą, teisę į sveikatą. Prie tokių išvadų A. Lavandeira²⁰, A. Rappagliosi²¹, C. A. Gericke ir kt.²² prieina užsimindami apie reglamento priėmimo aplinkybes ir (arba) cituodami 141/2000/EB reglamento preambulės nuostatas, kuriose teigiama, kad: „retomis ligomis sergantys pacientai *turėti turėti teisę* gauti tokios pat kokybės gydymą“, jie yra „verti tokių pat kokybiškų, saugių ir veiksmingų vaistų kaip ir kiti ligoniai“ (7 ir 2 pastraipos).²³ Teisiniu požiūriu taip kildinamos ir formuluojamos išvados vertintinos kritiškai, tačiau apsvarstysime jas ir išryškindami porą esminių aspektų pabandysime išsiaiškinti ne tik galimą šių preambulės žodžių reikšmę, bet ir geriau suprasti retųjų vaistų prieinamumo užtikrinimo ir teisės į sveikatos priežiūrą sąsajas.

Teisės į sveikatos priežiūrą samprata ir užtikrinimas. Cituotose reglamento preambulės pastraipose iš tiesų užsimenama apie tam tikrą retomis ligomis sergančių pacientų „teisę“, tačiau jos įvardijimas vartojant formuluotes „teisė į gydymą“ arba „teisė į sveikatą“, kaip tai daro minėti autoriai, nėra priimtinas, nes šiuolaikinėje žmogaus teisių doktrinoje turint omenyje asmens teises sveikatos srityje vartotinas „teisės į sveikatos priežiūrą“ terminas.²⁴

Ši teisė įtvirtinta pagrindiniuose žmogaus teisių gynimo dokumentuose. Pavyzdžiui, 1966 metų Tarptautinio ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių pakto 12 straipsnyje pabrėžiama būtinybė imtis priemonių „tam, kad būtų užtikrintas kiekvieno piliečio aukščiausias įma-

nomas fizinės ir psichinės sveikatos lygis“²⁵, Europos socialinės chartijos (pataisytos) 11 straipsnyje – „reikiamų priemonių, skirtų prastos sveikatos priežastims šalinti (...) bei siekti kiek įmanoma užkirsti kelią epideminėms, endeminėms ir kitoms ligoms“²⁶, o 1997 metais priimtos Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencijos 3 straipsnyje pabrėžiama lygiateisiškų galimybių gauti atitinkamos kokybės gydymą sudarymo svarba.²⁷ Ir šiuose, ir keletame kitų žmogaus teisių gynimo dokumentų laisvai disponuojama terminais „sveikata“, „kokybė“, „sveikatos priežiūra“, „aukšto lygio sveikatos apsauga“ ir pan., tačiau jie nėra patikslinami, todėl nestebina, jog sampratos „sveikatos priežiūra“ turinys doktrinoje yra gana platus ir įvairus, o visuotinai priimtino teisės į sveikatos priežiūrą sampratos apibrėžimo nėra.

Nepaisant to paprieštarauti, jog sveikatos priežiūra tikrai apima pacientų gydymą, o šis neįmanomas be vaistų, turbūt būtų sunku. Todėl, jei pritarėtume teigiantiems, jog 141/2000/EB reglamento preambulės nuostatose, numatančiose atitinkamos kokybės gydymą bei vaistus, kurių „verti retomis ligomis sergantys pacientai“, iš tiesų užsimenama apie asmens teises garantijas sveikatos priežiūros srityje, tuomet būtina išsiaiškinti jas užtikrinti turintį subjektą. Taigi dera atkreipti dėmesį į Bendrijos kompetencijos žmogaus teisių ir sveikatos priežiūros srityse klausimus.

Kalbant apie Bendrijos kompetenciją žmogaus teisių srityje konstatuotina, jog ji ribota, nes nei EB steigimo sutartyje²⁸, nei vėliau ją pakeitusiose ir papildžiusiose sutartyse formaliai šios galios jai nebuvo numatytos. Tai gali būti paaiškinta iš esmės ekonominio pobūdžio Bendrijos ištakomis. Pabrėžtina, jog ES kompetencijos *in genere* nenumato ir konsoliduotos ES Sutarties²⁹ 6 straipsnis, kurio 1 dalyje numatyta, jog „Sąjunga yra grindžiama laisvės, demokratijos, pagarbos žmogaus teisėms ir pagrindinėms laisvėms bei teisinei valstybės principais“, o 2 dalyje teigiama, jog „Sąjunga gerbia pagrindines teises, kurias užtikrina 1950 metais lapkričio 4 dieną Romoje pasirašyta Europos žmogaus teisių ir pagrindinių laisvių apsaugos konvencija“ (EŽTK), nes pagrindiniai subjektai, įpareigoti gerbti pagrindines teises, yra ES institucijos. P. Craigas ir G. de Búrca aiškina, jog šią kompetenciją riboja „neaiškus kompetencijų atribojimas ES sutartyse“ bei subsidiarumo principas, kuris žmogaus teisių srityje reiškia, kad žmogaus teisių apsaugą turi stengtis užtikrinti tas subjektas, kuris turi daugiau galimybių tai padaryti.³⁰ M. Cartabia teigimu, siekiant įtvirtinti ES bendrąją kompetenciją žmogaus teisių srityje

²⁰ Lavandeira, A. Orphan drugs: legal aspects, current situation. *Haemophilia*. 2002, 8:194–198.

²¹ Rappagliosi, A. Patient access to innovation: Biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology*. 2001, 7(4):299–308.

²² Gericke, C. A.; Riesberg, A.; Busse, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics*. 2005, 31:164–168.

²³ Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. *OL* [2000] L18/1.

²⁴ Andriulienė, A.; Baltutytė, E.; Birmontienė, T., et al. *Žmogaus teisės. Diskriminacijos draudimas Lietuvos ir tarptautinėje teisėje*. Vilnius: Lietuvos žmogaus teisių centras, 2004; Birmontienė, T. Žmogaus teisės ir jų įtvirtinimas Lietuvos Respublikos konstitucinėje teisėje. *Lietuvos konstitucinė teisė*. Vilnius: LTU, 2004, p. 337.

²⁵ Tarptautinis ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių paktas. *Valstybės žinios*. 2002, Nr. 77-3290.

²⁶ Europos socialinė chartija (pataisyta). *Valstybės žinios*. 2001, Nr. 49-1704.

²⁷ Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios*. 2002, Nr. 97-4258.

²⁸ Treaty establishing the European Economic Community, 25 March, 1957.

²⁹ Konsoliduota Europos Sąjungos Sutartis. *Valstybės žinios*. 2004, Nr. 2-2.

³⁰ Juškevičius, J. Sąžinės laisvės sveikatos priežiūros srityje ir ES pagrindinės laisvės: kai kurie probleminiai aspektai. *Soter*. 2007, 24(52):57–73.

reikėtų aiškiau ir formaliau suteikimo.³¹ Kita vertus, svarbu atkreipti dėmesį ir į tai, jog ES sutartyje nustatyta pareigą ES institucijoms gerbti pagrindines teises Europos Teisingumo Teismas išplėtė ir valstybėms narėms tais atvejais, „kai šios įgyvendina Bendrijos teisę“³².

Aptariant Bendrijos kompetenciją įgyvendinant sveikatos priežiūrą konstatuotina, jog daugiau nei tris dešimtmečius – t. y. iki pat Europos Sąjungos (Mastrichto) sutarties, kuria 1992 m. vasario 7 d. buvo pakeistos ir papildytos Bendrijų steigimo sutartys ir įsteigta Europos Sąjunga³³, ES institucijos šioje srityje kompetencijos neturėjo. Tik Mastrichto sutartimi papildžius EB Steigimo Sutartį, 3 straipsnio (o) punktu buvo įtvirtinta nuostata dėl Bendrijos įnašo siekiant aukšto lygio sveikatos apsaugos. Taip pat įtrauktas 129 straipsnis „Visuomenės sveikata“, kurio 1 dalyje Bendrija savo veikla teigia prisidėdanti prie žmonių sveikatos aukšto lygio apsaugos užtikrinimo, skatindama valstybių narių bendradarbiavimą ir prirėmus remdama jų veiksmus. Pabrėžtina, jog Mastrichto sutartimi Bendrijai kompetencija buvo suteikta būtent visuomenės sveikatos sektoriuje. Asmens sveikatos priežiūra taip ir liko valstybių narių diskrecijoje. Tai pabrėžta ir 1997 m. spalio 2 d. priimtos Amsterdamo sutarties 152 straipsnio 5 dalyje: „Bendrija savo veikloje visuomenės sveikatos srityje visiškai pripažįsta valstybių narių atsakomybę už sveikatos paslaugų ir sveikatos priežiūros organizavimą bei teikimą.“³⁴ Ši nuostata aiškiai išreiškia ES sveikatos politikos dichotomiją: reguliuojant visuomenės sveikatos reikalus galima derinti ES ir nacionalinę kompetenciją, o asmens sveikatos priežiūros organizavimas yra išimtinė valstybių ES narių nacionalinės kompetencijos sritis.³⁵

ES kompetencijos trūkumą asmens sveikatos priežiūroje šiek tiek kompensuoja ribota Bendrijos kompetencija žmogaus teisių srityje. Kadangi žmogaus teisių doktrinoje teisė į sveikatos priežiūrą, kaip ir kitos socialinės teisės, yra priskiriama asmens konstitucinėms teisėms³⁶, tai reiškia, kad valstybės, atsižvelgdamos į socialines ir ekonomines savo šalies galimybes bei išsivystymą, gali savarankiškai spręsti teisės į sveikatos priežiūrą turinio detalumą – t. y. koku lygiu šią teisę užtikrinti ir kas yra jos subjektai. Todėl grįžtant prie svarstomų 141/2000/EB reglamento preambulės nuostatų ir remiantis išdėstytais argumentais teigtina, jog Bendrija negalėjo įsipareigoti užtikrinti retomis ligomis sergančių pacientų subjektinės

teisės į sveikatos priežiūrą. Užtikrinti šią teisę yra valstybių diskrecija, todėl retomis ligomis sergančių pacientų teisės sveikatos priežiūros srityje, galima sakyti, priklauso tik nuo jų gyvenamosios valstybės ES narės prisiimamų įsipareigojimų šioje srityje apimties. Dėl šių priežasčių manytina, jog būtent todėl aptariama reglamento preambulės nuostata suformuluota vartojant veiksmažodžio tariamąją nuosaką – jog pacientai „turėtų turėti teisę...“ (angl. „*should be entitled to...*“).

Pačiame reglamente kalbama apie retųjų vaistų prieinamumą – t. y. paramą tiek Bendrijos, tiek valstybių narių mastu (9 str.), todėl atsižvelgiant į reglamento tikslą „nustatyti vaistų priskyrimo retųjų vaistų kategorijai Bendrijoje tvarką ir įteisinti nurodytų retųjų vaistų mokslinio tyrimo, kūrimo ir atidavimo į rinką paskatas“ (1 str.), reglamento priėmimo paskirtis galėtų būti įvardijama kaip retųjų vaistų prieinamumo skatinimas arba kaip teisiųjų prielaidų jam sukūrimas. Įteisindama paskatas retųjų vaistų rėmėjams³⁷ Bendrija sudarė palankias sąlygas, jog retieji vaistai būtų pateikti rinkai ir taptų prieinami kaip produktas (prekė) apskritai. Tačiau ši Bendrijos priemonė gali būti vertintina tik kaip Bendrijos įnašas, pastangos prisidėti užtikrinant retomis ligomis sergančių pacientų teisę į sveikatos priežiūrą valstybėse narėse.

Retųjų vaistų prieinamumo ir jo užtikrinimo sampratos aspektai. Prieinamumas yra vienas svarbiausių sveikatos priežiūros kokybę nusakančių principų. Jis suprantamas kaip „buvimo prieinamu būklė arba kokybė“³⁸. Prieinamas (angl. *accessible, available*) reiškia „parengtas nedelsiant naudoti“³⁹, įgyjamas, pasiekiamas, gaunamas.⁴⁰ Dabartinės lietuvių kalbos žodyne žodžio „prieinamas“ leksinė reikšmė – „nebrangus, įperkamas“⁴¹. Kokybiška sveikatos priežiūra neišsivaizduojama be saugių ir veiksmingų vaistų. Todėl ne tik vaistų kokybės kontrolė, bet ir nuolatinis jų prieinamumo gyventojams gerinimas yra viena svarbiausių farmacine veiklą reguliuojančių valstybinių institucijų veiklos kryptių. Atsižvelgiant į šalies sveikatos draudimo mastą (vaistų kompensavimo sistemą), kitas valstybinio lygio priemones ir įsipareigojimus, siekiama sudaryti galimybes gyventojams įsigyti reikiamų vaistų ekonomine – t. y. įperkamu prasme, taip pat teritoriniu požiūriu.⁴²

Kadangi naujai išrasti vaistai paprastai yra labai brangūs ir pavienio reta liga sergančio paciento galimybės įsigyti juos yra menkos, labai svarbu, kaip valstybėje yra užtikrinamas tokių vaistų prieinamumas. A. Rappagliosi nuomone, užtikrinti retųjų vaistų prieinamumą šalyje – reiškia sudaryti palankiausias sąlygas reta liga sergančiam pacientui jo gyvenamojoje valstybėje gauti naujausius

³¹ Cartabia, M. Commento all'art. 51 della Carta dei diritti fondamentali dell'Unione Europea. Bifulco R., Celotto A., Cartabia M. (eds.) *L'Europa dei diritti. Commentario alla Carta dei diritti fondamentali dell'Unione europea*. Bologna, Il Mulino. 2001. P. 350-351. Juškevičius J., Sąžinės laisvė sveikatos priežiūros srityje ir ES pagrindinės laisvės: kai kurie probleminiai aspektai. *Soter*. 2007, 24(52):57–73.

³² Case C-309/96, *Annibaldi v. Sindaco commune di Guidonia e Presidente Regione Lazio*. Juškevičius, J. Sąžinės laisvė sveikatos priežiūros srityje ir ES pagrindinės laisvės: kai kurie probleminiai aspektai. *Soter*. 2007, 24 (52):57–73.

³³ Treaty on the European Union (Maastricht Treaty). OJ [1992] C 191.

³⁴ Treaty of Amsterdam amending the treaty on European Union, the treaties establishing the European Communities and certain related acts. OJ [1997] C 340.

³⁵ Hervey, T. K.; McHale, J. V. *Health Law and the European Union*. Cambridge: Cambridge University Press, 2004, p. 72.

³⁶ Markauskas, L. Konstitucinė teisė į nemokamą gydymą: interpretavimo problemos. *Jurisprudencija*. 64(56):132–137.

³⁷ Nurodant bet kurį Bendrijoje įsisteigusį fizinį ar juridinį asmenį, siekiantį arba pasiekusį, kad vaistas būtų priskirtas retųjų vaistų kategorijai, 141/2000/EB reglamente anglų kalba vartojamas terminas „sponsor“. Į lietuvių kalbą jis išverstas kaip „rėmėjas“. Dauguma vadinamųjų rėmėjų yra farmacijos ir biotechnologijų įmonės.

³⁸ Rappagliosi, A. Patient access to orphan drugs in the European Union. *Pharmaceutical policy and Law*, 2001, 3:56.

³⁹ Ibid.

⁴⁰ Piesarskas, B. *Didysis anglų-lietuvių kalbų žodynas*. 7 laida. Vilnius: Alma littera, 2007, p. 21; 62.

⁴¹ *Dabartinės lietuvių kalbos žodynas* (vyr. red. S. Keinys). Vilnius: Mokslo ir enciklopedijų leidybos institutas, 2000, p. 598

⁴² Jankauskienė, D.; Pečiūra, R. *Sveikatos politika ir valdymas*. Vilnius: MRU, 2007, p. 125–130.

vaistus – t. y. tinkamą gydymą kiek įmanoma greičiau, idealiu atveju visiškai jį kompensuojant.⁴³ A. De Varaxo ir kt. teigimu, apie retųjų vaistų prieinamumo būklę šalyje galima spręsti iš to, ar retoms ligoms gydyti skirtus vaistus įmanoma įsigyti jos rinkoje, taip pat iš retųjų vaistų skyrimo ir kompensavimo tvarkos ypatumų.⁴⁴ Vadinas, iš šių kriterijų įmanoma spręsti ir apie šalies išipareigojimų sveikatos priežiūros srityje retomis ligomis sergantiems pacientams apimtį. Deja, kol kas daugelyje valstybių narių priemonės šioje srityje nėra pakankamos.⁴⁵ Pagrindinė priežastis – riboti sveikatos draudimo biudžetų išteklių. Todėl įvedamos įvairios kvotos, nustatomi farmakoekonominiai vaistų vertinimo kriterijai, įteisinamos sudėtingos ir ilgai trunkančios retųjų vaistų įsigijimo ir kompensavimo procedūros ir t. t.

Viena vertus, čia įmanoma svarstyti apie reta liga sergančio paciento teisės į sveikatos priežiūrą suvaržymus (kokybės, prieinamumo, tinkamumo, lygiateisiškumo aspektu). Kita vertus, šalies ekonominės galimybės bei socialinės vertybės, kuriomis vadovaujamosi priimant politinius ir teisinius sprendimus sveikatos priežiūros sektoriuje, yra teisėti kiekvienos valstybės šios teisės įgyvendinimo ribų parametrai. Tarp asmens (reta liga sergančio paciento) teisių ir visuomenės interesų kyla konfliktas, kai sveikatos draudimo biudžeto lėšomis tenka spręsti brangių retųjų vaistų kompensavimo klausimą. Objektyvius argumentus, kurie užtikrintų pusiausvyrą tarp šių interesų polių, atrasti, deja, yra itin sunku. Tai retųjų vaistų prieinamumo pacientams ekonominiu požiūriu pagrindinė problema. Nuo to, kaip ji sprendžiama, iš esmės priklauso retomis ligomis sergančių pacientų sveikatos priežiūros, o kartu ir gyvenimo kokybė.

3. VAISTŲ RETOMS LIGOMS GYDYTI PRIEINAMUMO MATERIALINĖS TEISINĖS GARANTIJOS LIETUVOJE

2007 metais Europos Komisija apibendrinama retų ligų gydymo situaciją ES atkreipė dėmesį, jog valstybės narės dar neužtikrina kiekvieno registruoto retojo vaisto prieinamumo. Kita bendra visose valstybėse narėse problema – neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumas.⁴⁶ Remdamiesi šia išvada ir turėdami omenyje, jog Lietuvoje teisė į sveikatos priežiūrą reglamentuoja Lietuvos Respublikos Konstitucijos⁴⁷ 53 straipsnis, kurio 1 dalyje teigiama, jog „Valstybė rūpinasi žmonių sveikata ir laiduoja medicinos pagalbą bei paslaugas žmogui susirgus“, o teisė į kokybišką ir prieinamą sveikatos priežiūrą įtvirtinta Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo⁴⁸ 3 ir 4 straipsniuose, paanalizuosime registruotų ir

neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo materialinių teisių garantijų ypatumus Lietuvoje.

Registruotų vaistų labai retoms ligoms ar būklėms gydyti prieinamumo teisinės materialinės garantijos. Pagrindinis teisės aktas, kuriuo reglamentuojama registruotų vaistų retoms ligoms gydyti įsigijimo ir kompensavimo tvarka Lietuvoje, yra 2005 m. lapkričio 22 d. Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus įsakymas Nr. 1K-149 „Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“ bei jo pakeitimai, priimti 2008 m. birželio 11 d. įsakymu Nr. 1K-93.⁴⁹ Atkreiptinas dėmesys, jog čia kalbama ne konkrečiai apie *retuosius vaistus*, o apie *labai retai ligai* ar būklei *skirtus* vaistus, – taigi ir tuos, kurie nebūtinai yra įtraukti į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą.⁵⁰

Apibendrinant šiuo įsakymu įtvirtintą vaistų retoms ligoms gydyti įsigijimo išlaidų kompensavimo procedūrą išskirtini kai kurie nagrinėjami klausimai aktualūs ypatumai.

Vaistai retoms ir labai retoms ligoms bei būklėms gydyti Lietuvoje paprastai nėra įtraukiami į kompensuojamųjų vaistų sąrašą. Jų įsigijimo išlaidas numatyta kompensuoti iš Privalomojo sveikatos draudimo fondo (PSDF) biudžeto centralizuotiems pirkimams skirtų lėšų. Prašymus konkrečiam labai reta liga sergančiam pacientui kompensuoti vaistus nagrinėja ir sprendimus priima speciali penkių narių komisija, įsteigta prie Valstybinės ligonių kasos. Juos pateikti gali universitetinės ar tretinio lygio paslaugas teikiančios asmens sveikatos priežiūros įstaigos. Asmens prašymai dėl gydymo kompensavimo nagrinėjami tik išskirtiniais atvejais komisijos iniciatyva. Kartu su prašymu turi būti pateikiamos gydytojų konsiliumo išvados, kuriose, be ligos ar būklės retumą patvirtinančių statistikos duomenų, paciento duomenų, klinikinės diagnozės, tyrimų rezultatų, taikyto gydymo ir jo rezultatų bei planuojamos gydymo trukmės, visais atvejais privalo būti pagrįstas išsamia gydymo prognoze paremtas vaisto kompensavimo tikslingumas. Savo sprendimą kompensuoti, nekompensuoti, iš dalies kompensuoti ar skirti papildomą ekspertizę komisija turi priimti per 30 dienų nuo prašymo gavimo datos bei motyvuoti. Jei priimtas sprendimas vaistus konkrečiam reta liga sergančiam pacientui kompensuoti, jų įsigijimu privalo rūpintis prašymą pateikusi asmens sveikatos priežiūros įstaiga. Išlaidos už įsigytą vaistą kompensuojamos tik sunaudojus vaistus ar priemones pacientui gydyti ar juos išdavus. Jei vaistai buvo panaudoti be komisijos sprendimo ar juos pacientas įsigijo savo lėšomis, jų įsigijimo išlaidos nekompensuojamos.

⁴³ Rappagliosi, A. Patient access to orphan drugs in the European Union. *Pharmaceutical policy and Law*. 2001, 3:56.

⁴⁴ De Varax, A.; Letellier, M.; Börtlein, G. *Overview of the Conditions for Marketing Orphan Drugs in Europe*. Paris: Alcimed, 2005, p. 20.

⁴⁵ Rare diseases: Europe's challenges. Public consultation. European Commission. Health and Consumer protection directorate-general, 2007, p. 12.

⁴⁶ Ibid.

⁴⁷ Lietuvos Respublikos Konstitucija. *Valstybės žinios*. 1992, Nr. 33-1014.

⁴⁸ Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymas. *Valstybės žinios*. 1996. Nr. 102-2317; 2004. Nr. 115-4284.

⁴⁹ Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymas Nr. 1K-149 „Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“. *Valstybės žinios*. 2005. Nr. 139-5037; 2008. Nr.68-2612.

⁵⁰ Remiantis 141/2000/EB reglamento 5 straipsnyje įtvirtinta procedūra, visi vaistai, priskirti retiesiems, yra įrašomi į Bendrijos retųjų vaistinių preparatų registrą (angl. *Register of designated Orphan Medicinal Products*). [žiūrėta 2008-10-05]. <<http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/register/orphreg.htm>>.

Jei gydymą reikia tęsti ilgiau nei metus, po metų jo tikslumą turi pakartotinai pagrįsti gydytojų konsiliumas.

Vertinant nustatytą tvarką pasakytina, jog kai kurios nuostatos gali nepagrįstai riboti pacientų galimybes gauti reikiamus vaistus. Pavyzdžiui, 5 taisyklių punktas, jog vaistų įsigijimo išlaidos kompensuojamos „neviršijant jiems skirtos lėšų sumos“. Viena vertus tai gali būti paaiškinta visuomenės interesų ir PSDF biudžeto galimybių suderinamumo principu, kita vertus, neaišku, ar nepasitaiško atveju, kai nepagrįstai „taupoma“. Ar esant lėšų trūkumui visuomet sudaromos lygiateisiškos galybės gauti atitinkamos kokybės sveikatos priežiūrą ne tik retomis ligomis ir įprastomis ligomis sergantiems pacientams, bet ir labai retomis ligomis sergantiems pacientams, kuriems reikalingas brangus gydymas? Panašaus pobūdžio ir taisyklių 24 punktas, nustatantis, jog komisija „savo sprendimų priėmimo kriterijus nustato savo tvarkomuosiuose posėdžiuose, atsižvelgiant į lėšų kiekį ir kitas aplinkybes“. Tai reiškia, jog komisijai suteikiamos labai plačios sprendimų motyvavimo galybės kiekvienu atveju ir kad teisėtai gali būti priimtas sprendimas nekompensuoti labai brangių vaistų motyvuojant tai lėšų stygiumi. Suprantama, kad sveikatos priežiūros užtikrinimas yra glaudžiai susijęs su valstybės ekonomine padėtimi ir finansinėmis galimybėmis, tačiau atsižvelgiant į tai, jog Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalyje įtvirtinta viena iš valstybės funkcijų rūpintis žmonių sveikata, natūralu, kad tokiu atveju asmens negalėjimas pasinaudoti sveikatos priežiūra dėl lėšų trūkumo, ypač kai kyla grėsmė asmens gyvybei, negalėtų būti laikomas tinkamu šios valstybės funkcijos įgyvendinimu.⁵¹ Nors iš negausios Lietuvos Respublikos Konstitucinio Teismo praktikos aiškinant Konstitucijos 53 straipsnio 1 dalį tampa aišku, jog šio Konstitucijos straipsnio interpretavimas turėtų būti grindžiamas kompromisu tarp asmens konstitucinės teisės į sveikatos priežiūrą ir valstybės ekonominių sąlygų⁵², vis dėlto manytina, jog išankstiniai ir viešai skelbiami komisijos, priimančios sprendimus dėl vaistų retoms ligoms gydyti kompensavimo, kriterijai būtų pranašumas ir suteiktų šiai procedūrai daugiau skaidrumo.

Pacientų teisių atžvilgiu kritiškai vertintina ir taisyklių 3 punkte įtvirtinta sąvoka „labai reta liga ar būklė“. Skirtingai nei 141/2000/EB reglamente, ji apibrėžiama ne per medicininį ir epidemiologinį, bet per kompensavimo kriterijų – t. y. kaip „per metus pasitaikantys pavieniai ypatingi ligos ar būklės atvejai, kuriems gydyti reikiamų vaistų ar priemonių kiti kompensavimo būdai nenumatyti“ (3 punktas). Taigi Lietuvoje retos ligos paplitimui nusakyti pasitelkti abstraktūs ir neaiškūs būdvardžiai, tokie kaip „pavieniai ypatingi“. Toks kalbinės struktūros atžvilgiu netobulas sąvokos apibrėžimas suteikia plačias jo interpretavimo galimybes, o tai savo ruožtu suponuoja nepakankamą retomis ligomis sergančių pacientų teisių įgyvendinimo teisinį apibrėžtumą.⁵³

⁵¹ Markauskas, L. Konstitucinė teisė į nemokamą gydymą: interpretavimo problemos. *Jurisprudencija*. 64(56):133.

⁵² Birmontienė T. Žmogaus teisės ir jų įtvirtinimas Lietuvos Respublikos konstitucinėje teisėje. *Lietuvos konstitucinė teisė*. Vilnius: LTU, 2004, p. 337.

⁵³ Špokienė, I. Legal Assessment of Current Situation on Orphan Patients' in Lithuania. *Medicina*. 2008, 44(8):575.

Neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumas Lietuvoje. Siekiant pagreitinti vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumą Bendrijos teisės aktuose buvo įtvirtintos nuostatos, leidžiančios valstybėms narėms įteisinti ir neregistruotų vaistų naudojimą. Šiuo metu retoms ligoms ar būklėms gydyti skirtų neregistruotų vaistų prieinamumo reglamentavimo pagrindas yra Europos Parlamento bei Tarybos direktyvos 2001/83/EB dėl Bendrijos kodekso, susijusio su žmonėms skirtais vaistais⁵⁴, 5 straipsnis. Juo valstybėms narėms leista įvežti šalyje dar neregistruotus vaistus esant tam tikroms aplinkybėms – t. y. konkrečiam poreikiui; gydytojo specialisto rekomendacijai; juos skiriant to gydytojo individualiam pacientui, už kurį jis tiesiogiai ir asmeniškai yra atsakingas. Kadangi ši nuostata yra išimtis iš toje pačioje direktyvoje įtvirtintos bendros taisyklės, kad į rinką gali patekti tik registruoti vaistiniai preparatai (6 str.)⁵⁵, ji kartais dar vadinama „vardinio paciento išimtimi“ (angl. *named patient exemption*)⁵⁶.

Vadovaujantis šia nuostata Lietuvoje 2005 metų gegužę buvo priimtas Sveikatos apsaugos ministro įsakymas Nr. V-374 „Dėl Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklių patvirtinimo“⁵⁷. 2007 metų balandį šios taisyklės išdėstytos nauja redakcija.⁵⁸ Jomis reglamentuotas vardinių – t. y. pavieniam pacientui būtinų neregistruotų vaistų skyrimas, tiekimas ir pardavimas (išdavimas) Lietuvoje. Neregistruoti vaistiniai preparatai – vaistiniai preparatai, neįrašyti į Lietuvos Respublikos ar Europos Bendrijos vaistinių preparatų registrą (9 punktas).⁵⁹ Taisyklės numato, jog vardinis vaistas gali būti skiriamas, „jei nėra galimybių Lietuvoje registruotais vaistais gydyti pacientą, diagnozuoti ligą ar jos išvengti ir gydymo juo naudos ir rizikos santykis yra reikšmingai palankesnis negu šalies rinkoje esamų vaistinių preparatų ir gydymo būdų“ (10 punktas). Kaip ir 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnyje, taisyklėse nustatyta, jog „toks vaistas į Lietuvos Respubliką tiekiamas remiantis to paciento gydytojo paskyrimu (...) ir skirtas vartoti tiesiogiai šiam gydytojui atsakant“ (9 punktas). Gydytojas, skirdamas vardinius vaistus pavieniems pacientams, už juos tiesiogiai ir asmeniškai atsako Lietuvos Respublikos pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymo ir kitų teisės aktų nustatyta tvarka (3 punktas). Todėl gydytojas gali skirti pacientui vardinį vaistą tik turėdamas apie jį pakankamai oficialios infor-

⁵⁴ Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. OJ L 311; Direktyvos pakeitimai: Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. OJ L 136.

⁵⁵ Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. OJ L 311.

⁵⁶ Roberts, J. Wholesale trade in named-patient medicines in the EU: "Specials" and exempt imports. *Pharmaceutical policy and Law*, 2005, No. 8.

⁵⁷ Sveikatos apsaugos ministro 2005 m. gegužės 9 d. įsakymas Nr. V-374 „Dėl Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklių patvirtinimo“. *Valstybės žinios*. 2005. Nr. 61-2189.

⁵⁸ Sveikatos apsaugos ministro 2007 m. balandžio 5 d. įsakymas Nr. V-233 „Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m. gegužės 9 d. įsakymo Nr. V-374 „Dėl Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklių patvirtinimo“ pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2007. Nr. 42-1598.

⁵⁹ Ibid.

macijos bei pats tiksliai įvertinęs jo terapinę naudą, saugumą bei naudos ir rizikos santykį. Šis santykis turi būti reikšmingai palankesnis nei turimų registruotų vaistų ir gydymo būdų (11 punktas).

Konstatuotina, jog teisinis mechanizmas, kad pacientą pasiektų reikiami neregistruoti vaistiniai preparatai, Lietuvoje įtvirtintas. Tačiau problemų galima išvelgti reglamentuojant gydytojo atsakomybę. Jau konstatuota, kad visa atsakomybė už vardinio vaisto kokybę, saugumą, veiksmingumą priskiriama tik gydytojui. Viena vertus, tai verčia gydytoją atsakingai priimti sprendimą dėl paciento gydymo neregistruotu vaistu, kita vertus, tai, jog už priimtą sprendimą ir galbūt ne visuomet įmanomo tikslaus naudos ir rizikos santykio įvertinimo padarinius tiesioginė atsakomybė tenka asmeniškai tik gydytojui (nei Europos Komisija, nei Valstybinė vaistų kontrolės tarnyba už neregistruoto vaisto saugumą, kokybę ir veiksmingumą neatsako), gali būti gydytojų noro vengti galimų nesklaidumų, o kartu nesiimti ieškoti visų įmanomų būdų gydyti reta liga sergančio paciento priežastis. Manytina, jog už vardinųjų vaistų skyrimą turėtų būti atsakingas ne tik gydytojas praktikas, bet ir produkto kūrėjas.

Kita svarbi nuostata dėl neregistruotų vaistų naudojimo yra įtvirtinta Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 726/2004 reglamento 83 straipsnyje.⁶⁰ Šio straipsnio 1 dalimi valstybėms narėms suteikta galimybė panaudoti atitinkamus neregistruotus vaistus daugiau nei vienam pacientui, t. y. pacientų grupėms gydyti, jei jie labai sunkiai serga (pavyzdžiui, vėžiu, ŽIV/AIDS, neurodegeneracine ar autoimunine liga⁶¹) ir negali būti gydomi patenkinamai duodant jau turintį leidimą vaistą. Anglų kalboje toks vaistų panaudojimas vadinamas *compassionate use*. Žodžio *compassionate* lietuviškos reikšmės – gailintis, užjaučiantis; labdaringas.⁶² Nors atsižvelgiant į aptariamo termino aiškinimą ši vaistų prieinamumo būdą geriausiai tiktų vadinti, pavyzdžiui, labdaringu arba vaistų vartojimu iš humanistinių (užuojautos) paskatų, tačiau keletame ES dokumentų, tarp jų ir 726/2004/EB reglamento, lietuviškose versijose aptariamasis terminas išverstas kaip „vaistų panaudojimas labdaros tikslu“. Pasakytina, jog tai gana keistas vertimas, ne itin atitinkantis šio termino prasmę, – juk tiriamųjų vaistų davimo ligoniui tikslas yra ne labdarystė (šelpimas), o sunkiai sergančių pacientų gydymas neregistruotais vaistais, jų prieinamumas.⁶³ Nuo anksčiau aptarto vardinųjų vaistų skyrimo šis vaistų prieinamumo būdas skiriasi tuo, jog jo tiksliniai subjektai – pacientai, negalintys dalyvauti klinikiniuose tyrimuose. Vaistas, kurį numatoma panaudoti tokiems pacientams gydyti, turi būti klinikinių tyrimų stadijoje arba jau turi būti kreiptasi dėl

leidimo prekiauti juo išdavimo (jei tai vaistas, kuris turi būti registruojamas pagal centralizuotą procedūrą).⁶⁴ Už pacientų patirtą žalą vadinamųjų labdaringo vaistų naudojimo programų metu (angl. *compassionate use programs*) valstybės narės įstatymuose gali būti numatyta baudžiamoji bei civilinė atsakomybė, bet ne gydytojui, o vaisto gamintojui arba pareiškėjui.

Nors Prancūzijoje⁶⁵, Vokietijoje, Didžiojoje Britanijoje šis neregistruotų vaistų prieinamumo būdas atitinkamose šalies aktuose jau yra įtvirtintas, Lietuvos Respublikos farmacijos įstatymo 8 straipsnio 3 dalis numato, jog Lietuvos Respublikos rinkai gali būti tiekiami ir vartojami sveikatos priežiūrai tik neregistruoti būtinieji vaistiniai preparatai⁶⁶ ir vardiniai vaistai.⁶⁷ Taigi retomis, gyvybei gresiančiomis ligomis sunkiai sergančių pacientų, negalintių dalyvauti klinikiniuose tyrimuose, gydymo neregistruotais vaistais prieinamumas Lietuvoje kol kas neįteisintas.

IŠVADOS

Retųjų vaistų prieinamumo problema aktuali įgyvendinant pacientų teisę į sveikatos priežiūrą. Teorinėje plotmėje retųjų vaistų prieinamumo užtikrinimo ir pacientų teisės į sveikatos priežiūrą sąsajas geriausiai nusako valstybės konstitucinių išpareigojimų sveikatos priežiūros srityje apimties ir valstybinio sveikatos draudimo pajėgumo kompensuoti brangiai kainuojantį gydymą parametrai. Informatyvus retųjų vaistų prieinamumo būklės šalyje rodiklis – retųjų vaistų skyrimo ir kompensavimo tvarkos ypatumai.

Bendrijos lygiu įteisinus paskatas retųjų vaistų rėmėjams sudarytos palankios sąlygos, jog vaistai retoms ligoms gydyti būtų kuriami, pateikiami rinkai ir taptų prieinami kaip produktas (prekė) apskritai. Todėl 141/2000/EB reglamento priėmimas vertintinas ne tik kaip teisinių prielaidų retųjų vaistų prieinamumui sukūrimas, bet ir kaip Bendrijos įnašas, pastangos prisidėti užtikrinant retomis ligomis sergančių pacientų teisę į sveikatos priežiūrą valstybėse ES narėse. Šią reikšmę galima priskirti ir 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnyje bei 726/2004/EB reglamento 83 straipsnyje įteisintoms išimtims dėl neregistruotų vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo.

Lietuvoje imtasi priemonių, jog pacientai, sergantys retomis ligomis, būtų aprūpinti reikiama vaistais, tačiau

⁶⁴ Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/2004 [interaktyvus]. EMEA: London, 19 July 2007, p. 5 [žiūrėta 2008-10-05]. <<http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/euleg/2717006enfin.pdf>>.

⁶⁵ Prancūzijoje „compassionate use“ yra vadinamas „laikinuoju registravimu grupėms“ (pranc. *Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU) de cohorte*; angl. *cohort temporary authorisation for use*) (*Avis aux demandeurs d'Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU). Département de l'Evaluation des Médicaments à Statut Particulier et des Essais Cliniques. Novembre 2007*).

⁶⁶ Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų, kurie gali būti tiekiami Lietuvos Respublikos rinkai, kriterijus, leidimų tiekti rinkai tvarką ir kitus reikalavimus nustato „Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų tiekimo rinkai taisyklės“, patvirtintos Sveikatos apsaugos ministro 2007 m. gruodžio 29 d. įsakymu Nr. V-1080. *Valstybės žinios*. 2008. Nr. 4-140.

⁶⁷ Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios*. 2006. Nr. 78-3056.

⁶⁰ Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. OJ L 136.

⁶¹ Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/2004 [interaktyvus]. EMEA: London, 19 July 2007 [žiūrėta 2008-10-05]. <<http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/euleg/2717006enfin.pdf>>.

⁶² Piesarskas, B. *Didysis anglų-lietuvių kalbų žodynas*. 7 laida. Vilnius: Alma littera, 2007, p. 180.

⁶³ Terminas „labdaros vaistai“ taip pat keltų painiavą, nes klaidingai asocijuotusi su labdaros būdu į šalį galimais įvežti vaistais – t. y. vaistų labdara, dovanojamais vaistais.

tam tikros nacionalinės nuostatos ir procedūros, kaip, pavyzdžiui, sprendimų dėl vaistų labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo tvarka ir vaistų retoms ligoms gydyti įsigijimo išlaidų kompensavimo procedūra, turi trūkumų. Dar nėra įteisintos visos galimos neregistruotų vaistų prieinamumo priemonės. Todėl Lietuvoje pastangos užtikrinti retomis ligomis sergančių pacientų teises sveikatos priežiūros srityje vertintinos kaip nepakankamos, gali būti traktuojamos kaip nepagrįstai ribojančios vaistų prieinamumą bei pacientų teisę į kokybišką sveikatos priežiūrą.

LITERATŪRA

- Lietuvos Respublikos Konstitucija. *Valstybės žinios*. 1992. Nr. 33-1014.
- Konsoliduota Europos Bendrijos Steigimo Sutartis. *Valstybės žinios*. 2004. Nr. 2-2.
- Konsoliduota Europos Sąjungos Sutartis. *Valstybės žinios*. 2004. Nr. 2-2.
- Treaty establishing the European Economic Community, 25 March, 1957.
- Treaty on the European Union (Maastricht Treaty). *Official Journal*. C 191 of 29.07.1992.
- Treaty of Amsterdam amending the treaty on European Union, the treaties establishing the European Communities and certain related acts. *Official Journal*. C 340 of 10.11.1997.
- Tarptautinis ekonominių, socialinių ir kultūrinių teisių paktas. *Valstybės žinios*. 2002. Nr. 77-3290.
- Konvencija dėl žmogaus teisių ir orumo apsaugos biologijos ir medicinos taikymo srityje (Žmogaus teisių ir biomedicinos konvencija). *Valstybės žinios*. 2002. Nr. 97-4258.
- Europos socialinė chartija (pataisyta). *Valstybės žinios*. 2001. Nr. 49-1704.
- Farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios*. 2006. Nr. 78-3056.
- Pacientų teisių ir žalos sveikatai atlyginimo įstatymas. *Valstybės žinios*. 1996. Nr. 102-2317; 2004, Nr. 115-4284.
- Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. *OL* [2000], L 18/1.
- Council regulation (EEC) No 2309/93 of 22 July 1993 laying down Community procedures for the authorization and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Agency for the Evaluation of Medicinal Products. *OL* [1993] L 214.
- Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency. *OJ* [2004] L 136.
- Komisijos 2000 m. balandžio 27 d. reglamentas (EB) Nr. 847/2000 nustatantis vaisto priskyrimo retųjų vaistų kategorijai kriterijų taikymo nuostatas ir sąvokų „panašus vaistas“ bei „klinikinis pranašumas“ apibrėžimus. *OL* [2000] L103/5.
- Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. *OJ* L 311; Direktyvos pakeitimai: Directive 2004/27/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 amending Directive 2001/83/EC on the Community code relating to medicinal products for human use. *OJ* [2004] L 136.
- Sveikatos apsaugos ministro 2005 m. gegužės 9 d. įsakymas Nr. V-374 „Dėl Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklių patvirtinimo“. *Valstybės žinios*. 2005. Nr. 61-2189.
- Sveikatos apsaugos ministro 2007 m. balandžio 5 d. įsakymas Nr. V-233 „Dėl Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2005 m. gegužės 9 d. įsakymo Nr. V-374 „Dėl Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklių patvirtinimo“ pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2007. Nr. 42-1598.
- Valstybinės ligonių kasos prie Sveikatos apsaugos ministerijos direktoriaus 2005 m. lapkričio 22 d. įsakymas Nr. 1K-149 „Dėl Sprendimų dėl vaistų ir medicinos pagalbos priemonių labai retoms ligoms ir būklėms gydyti kompensavimo ir dėl nenumatytų atvejų priėmimo komisijos darbo reglamento patvirtinimo“. *Valstybės žinios*. 2005. Nr. 139-5037; 2008. Nr. 68-2612.
- Council Decision 94/913/EC of 15 December 1994 adopting a specific programme of research and technological development, including demonstration, in the field of biomedicine and health (1994 to 1998). *OL* L 361.
- Council Resolution of 20 December 1995 on orphan drugs. *OJ* [1995] C 350.
- Proposal for a European Parliament and Council Regulation on orphan medicinal products. *OJ* [1998] C 276.
- Amended proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. Brussels, 15 June 1999.
- Commission Communication on the Framework for Action in the Field of Public Health. COM (93) 559 final, 24 November 1993.
- Opinion of the Economic and Social Committee on the ‘Proposal for a European Parliament and Council Regulation (EC) on orphan medicinal products. *OJ* [1999] C 101.
- Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to Article 83 of regulation (EC) No 726/2004 [interaktyvus]. EMEA: London, 19 July 2007 [žiūrėta 2008-10-05]. <<http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/euleg/2717006enfin.pdf>>.
- Rare diseases: Europe's challenges*. Public consultation. European Commission. Health and Consumer Protection Directorate General, 2007.
- Avis aux demandeurs d’Autorisation Temporaire d’Utilisation (ATU). Département de l’Evaluation des Médicaments à Statut Particulier et des Essais Cliniques. Novembre 2007.
- Aronson, J. Rare diseases and orphan drugs. *Br J Clin Pharmacol*. 2006, 61(3):243–245.
- Andriulienė, A.; Baltutytė, E.; Birmontienė, T., et al. *Žmogaus teisės. Diskriminacijos draudimas Lietuvos ir tarptautinėje teisėje*. Vilnius: Lietuvos žmogaus teisių centras, 2004.
- Birmontienė, T. Žmogaus teisės ir jų įtvirtinimas Lietuvos Respublikos konstitucinėje teisėje. *Lietuvos konstitucinė teisė*. Vilnius: LTU, 2004.
- De Varax, A.; Letellier, M.; Börtlein, G. *Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe*. Paris: Alcimed, 2005.
- Gericke, C. A.; Riesberg, A.; Busse, R. Ethical issues in funding orphan drug research and development. *J Med Ethics*. 2005, 31:64–168.
- Hervey, T. K.; McHale, J. V. *Health Law and the European Union*. Cambridge: Cambridge University Press, 2004.
- Jankauskienė, D.; Pečiūra, R. *Sveikatos politika ir valdymas*. Vilnius: MRU, 2007.
- Juškevičius, J. Sąžinės laisvė sveikatos priežiūros srityje ir ES pagrindinės laisvės: kai kurie probleminiai aspektai. *Sotter*. 2007, 24(52).
- Lavandeira, A. Orphan drugs: legal aspects, current situation. *Haemophilia*. 2002, 8:194–198.

38. Lewis, S. EU Policy on Orphan Drugs [interaktyvus]. *The Lancet*. 1995, 345. Prieiga per: ProQuest Medical Library.
39. Markauskas, L. Konstitucinė teisė į nemokamą gydymą: interpretavimo problemos. *Jurisprudencija*. 64(56):132–139.
40. Tambuyzer, E. The European Orphan Medicinal Products Regulation and the Biotechnology-Based Industry in Europe. *Journal of Commercial Biotechnology*. 2000, 6:340–344.
41. Trouiller, P.; Battistella C.; Pinel B., et. al. Is Orphan Drug Status Beneficial to Tropical Disease Control? Comparison of the American and Future European Orphan Drugs Acts. *Tropical Medicine and International Health*. 1999, 4:412–420.
42. Rappagliosi, A. Patient access to innovation: Biopharmaceuticals, 4th hurdles and socioeconomic issues. *Journal of Commercial Biotechnology*. 2001, 7(4):299–308.
43. Rappagliosi, A. Patient access to orphan drugs in the European Union. *Pharmaceutical policy and Law*. 2001, 3:55–61.
44. Roberts, J. Wholesale Trade in Named-Patient Medicines in the EU: „Specials“ and Exempt Imports. *Pharmaceutical Policy and Law*. 2005, 8:51–68.
45. Špokienė, I. Legal Assessment of Current Situation on Orphan Patients' in Lithuania *Medicina*. 2008, 44(8):571–576.
46. Wolf, A. *Les orphelins de la Santé*, INSERM Ed., Septembre 1994.
47. Piesarskas, B. *Didysis angliu-lietuviu kalbu zodynas*. 7 laida. Vilnius: Alma litera, 2007.
48. *Dabartinės lietuvių kalbos žodynas* (vyr. red. S. Keinys). Vilnius: Mokslo ir enciklopedijų leidybos institutas, 2000.

link between the concept of access to orphan drugs and the right to health care, to review the legal framework of access to approved and not approved therapies for rare diseases in Lithuania, and to discuss some legislation gaps.

The problem of orphan drugs accessibility correlates with the patient's right to health care. Two main factors outline this link: extent of national constitutional obligations in the sphere of health care and limits of national health insurance budget to reimburse very expensive therapies.

The incentives provided at the Community level stimulate the development of orphan medicinal products, in order to facilitate the accessibility of such products on the market. Consequently, the objective of the Regulation (EC) No 141/2000 can be qualified as a contribution to the attainment of an effective protection of the right to health care in the EU countries. By the same token it could be referred to the Article 5 of the Directive No 2001/83/EC and Article 83 of Regulation (EC) No 726/2004, which lay down the possibility of using an unauthorised medicinal product for compassionate use on a named patient basis and to cohorts of patients respectively.

National legal framework and administrative procedures can provide us with useful indications on the accessibility of orphan drugs in the country. In Lithuania, the administrative provisions concerning the reimbursement of approved therapies in some cases can be treated as inappropriately restrictive, since the decision-making powers of the special commission at the State Patients' Fund lack clear and transparent procedures. At the same time it should be noted that not all legal possibilities of access to orphan medicinal products are implemented, eg. compassionate use programs. Therefore the situation of orphan patients in terms of protection of patient right to access to quality health care can be assessed as insufficient.

Keywords: orphan drugs legislation, accessibility of orphan medicinal products, right to health care.

THE PROBLEM OF ACCESSIBILITY OF ORPHAN MEDICINAL PRODUCTS IN THE LIGHT OF THE RIGHT TO HEALTH CARE

Indrė Špokienė *

Mykolas Romeris University

S u m m a r y

Currently in the European Union (EU) approximately 30 million people suffer from rare diseases. A European policy on rare disorders was put into action with the Regulation (EC) 141/2000 adopted on December 16, 1999, setting out a Community procedure for the designation of medicinal products and providing incentives for research, development and marketing of orphan medicinal products in the EU. The legislation on orphan medicinal products is a part of a broader Community policy to identify rare diseases as a priority area for action in the field of public health, which constitutes the area of common competence of EU and Member States.

The paper deals with the problem of accessibility of orphan medicinal products in the light of the right to health care. The *aim* of this article is to analyse historical, theoretical and practical aspects of this problem. There are no studies or researches done in this field in Lithuania so far. In order to achieve the aim of this article the following *tasks* are set: to single out the most important stages of the development of a policy on orphan medicinal products in the EU; to clarify the

* Mykolas Romeris University, Faculty of Law, Department of Biolaw, doctoral student.