



ISSN 2029–2236 (print)
ISSN 2029–2244 (online)
SOCIALINIŲ MOKSLŲ STUDIJOS
SOCIAL SCIENCES STUDIES
2010, 2(6), p. 207–225.

RETOMIS LIGOMIS SERGANČIŲ PACIENTŲ TEISINĖS GALIMYBĖS GYDYTIS NEREGISTRUOTAIS VAISTAIS

Indrė Špokienė

Mykolo Romerio universiteto Teisės fakulteto
Bioteisės katedra
Ateities g. 20, LT-08303 Vilnius, Lietuva
Telefonas (+370 5) 2714 576
Elektroninis paštas indrespokiene@gmail.com

Pateikta 2010 m. gegužės 13 d., parengta spausdinti 2010 m. birželio 27 d.

Anotacija. *Retoms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumo klausimas į Europos Sąjungos (ES) teisės reguliavimo sritį prieš dešimtmetį pateko siekiant paskatinti jų kūrimą ir taip padėti užtikrinti geresnę retomis ligomis sergančių pacientų sveikatos priežiūrą. Tuo tikslu prieš keletą metų ES lygiu priimtos ir teisės normos dėl pacientų galimybių gydytis dar tiriamu – taigi neregistruotu vaistiniu preparatu, jei jie serga retomis, sunkiomis, gyvybei gresiančiomis ligomis ir negali dalyvauti to vaisto klinikiniame tyrime, o kitų gydymo alternatyvų nėra. Straipsnyje taikant istorinį, lyginamąjį, dokumentų analizės, sintezės bei apibendrinimo metodus, remiantis ES ir nacionalinių teisės aktų normomis bei JAV sveikatos teisės doktrina ir jurisprudencija analizuojami retomis ligomis sergančių pacientų teisinių galimybių gydytis neregistruotais vaistais ypatumai, probleminiai aspektai. Siekiama atskleisti neregistruotų vaistų prieinamumo būdų skirtumus, reikšmę, išsiaiškinti, kodėl ne visi iš galimų šių vaistų prieinamumo būdų yra teisėti, svarstoma, kodėl ne visose šalyse jie įteisinti ir veikia.*

Reikšminiai žodžiai: *neregistruotų vaistų prieinamumo reglamentavimas, tiriamieji vaistai, vaistų prieinamumas, retomis ligomis sergantys pacientai, labdaringos vaistų programos.*

Įvadas

Naujų vaistų pateikimas rinkai ir galimybė juos naudoti pacientų sveikatos priežiūros tikslais tiesiogiai sietini su jų kokybės, saugumo ir veiksmingumo palankiu įvertinimu. Daugumoje išsivysčiusių valstybių teisės nuostatos, draudžiančios pardavinėti neregistruotus vaistus, buvo priimtos XX a. septintajame dešimtmetyje, suvokus būtinybę apsaugoti pacientus nuo nepakankamai ištirtų ir todėl galimai pavojingų vaistų¹. Dėl sugriežtintų vaistų gamybos ir klinikinių tyrimų standartų ženkliai pailgėjo ir vaisto patekimo į rinką laikas (nuo kūrimo pradžios iki tol, kol preparatas teisėtai gali tapti prieinamas vartotojui, praeina 11–15 metų ar dar daugiau)².

XX a. devintajame dešimtmetyje, farmacijos ir biotechnologijų įmonėms pradėjus kurti daugiau vaistų, skirtų sunkioms retai pasitaikančioms ligoms gydyti (viena to priežasčių – 1983 m. JAV priimtas Retųjų vaistų aktas³), netrukus sveikatos ir teisės sistemos susidūrė su nauju iššūkiu – prašymais ir net bylomis, kad būtų leista teisėtai jų įsigyti ir juos vartoti, nepaisant veiksmingumo, saugumo ir kokybės įrodymų trūkumo – t. y. dar prieš registravimo procedūrą. JAV Maisto ir vaistų administracija, atsiliepdama į sunkiomis, gyvybei gresiančiomis ligomis sergančių pacientų ir jų artimųjų lūkesčius, 1987 m. priėmė teisės nuostatas, išimtiniais atvejais leidžiančias skirti ir vartoti paskutinėse klinikinių tyrimų fazėse esančius vaistus⁴. Netrukus, sekdamas JAV pavyzdžiu, atitinkamas nuostatas priėmė ir kai kurios kitos pasaulio šalys (pvz., Brazilija, Australija, kai kurios Europos Sąjungos valstybės)⁵.

Nors teoriškai problema pradėta spręsti, pastaraisiais metais karštas diskusijas dėl tiriamųjų vaistų prieinamumo kliūčių sunkių ligų atvejais vėl paskatino JAV teisės praktikoje iškilęs klausimas dėl paciento „teisės gyventi“ užtikrinimo po to, kai dvidešimt vienerių metų amžiaus merginos Abigail Burroughs, mirusios nuo kaklo vėžio, tėvas, subūręs dukros vardu pavadintą pacientų teisių gynėjų aljansą, teismui apskundė Maisto ir vaistų administraciją dėl to, jog sunkios sveikatos būklės pacientams (pvz., sergantiems retomis vėžio formomis), neturintiems jokių gydymo alternatyvų ir negalintiems dalyvauti naujų vaistų klinikiniuose tyrimuose, nesuteikiami leidimai įsigyti galimai

- 1 1962 m. Europoje įvyko „talidomido tragedija“. Jos metu buvo užregistruota apie 30 000 naujagimių apsigimimų, kuriuos, kaip išsiaiškinta vėliau atlikus tyrimus, sukėlė migdomasis ir raminamasis preparatas Talidomidas (jo buvo rekomenduojama skirti nėščioms moterims rytinio pykinimo simptomams slopinti).
- 2 Di Masi, J.; Hansen, R. W.; Grabowski, H. G. The price of innovation: new estimates of drug development costs. *Journal of Health Economics*. 2003, 22: 151–185.
- 3 JAV – pirmoji šalis pasaulyje, priėmusi teisės aktą, skirtą paskatinti retoms ligoms gydyti skirtų vaistų kūrimą (Orphan Drug Act of 1983. *Pub. L.* 1983, No. 97-414, 96 Stat. 2094). Jame farmacijos ir biotechnologijų įmonėms numatytos paskatos, iš kurių svarbiausia – 7 metų rinkos išimtinumo teisė registruotam retajam vaistui [Daugiau: Stakišaitis, D.; Špokienė, I.; Juškevičius, J.; Valuckas, K. V.; Baiardi, P. Access to information supporting availability of medicines for patients suffering from rare diseases looking for possible treatments: the EuOrphan Service. *Medicina*. 2007, 43(6): 441–446.].
- 4 Vale, J. Expanding expanded access: how the Food and Drug Administration can achieve better access to experimental drugs for seriously ill patients. *The Georgetown Law Journal* [interaktyvus]. 2008, 96: 2149 [žiūrėta 2010-02-21]. <<http://www.georgetownlawjournal.org/issues/pdf/96-6/Vale.PDF>>.
- 5 Bedell, E. Global access to medicinal products: compassionate use procedures. *Regulatory Focus*. January 2010, p. 10.

veiksmingų vaistų po I klinikinių tyrimų fazės. Klausimo keblumą dar labiau išryškino *Abigail byloje*⁶ priimti kardinaliai priešingi apygardos ir apeliacinio teismų sprendimai, ne tik aiškiai rodantys tolydžio augančią įtampą tarp farmacijos sektoriuje persipinančių laisvosios rinkos ir griežto valstybinio reguliavimo principų, bet ir skatinantys permašyti asmens autonomijos principo įgyvendinimo sveikatos priežiūroje ribų aspektą.

Debatų atgarsiai dėl vaistų po I klinikinių tyrimų fazės prieinamumo sunkiai sergantiems pacientams įteisinimo 2008-ųjų pabaigoje nuvilnijo ir Lietuvos žiniasklaidoje, Laisvosios rinkos institutui surengus diskusiją „Nauji vaistai: kaip nepavėluoti?“^{7,8}, tačiau plačiau nei šios temos, nei apskritai problemos dėl neregistruotų vaistų prieinamumo retų ligų atvejais mūsų šalies mokslininkai iki šiol nėra nagrinėję. Beje, ir užsienyje tokių tyrimų nėra gausu. Tokia situacija pirmiausia sietina su temos naujumu ir tarpdalykiniu bendrumu, nes dėl temos reikšmingumo abejonių nekyla – niekas neapsaugotas nuo to, jog neteks išgirsti savo, savo vaiko ar kito artimojo retos ligos diagnozės, kuriai gydyti vaistai dar nesukurti arba tik kuriami. Pagal ES teisėje galiojančią apibrėžtį prie retų ligų priskiriamos lėtinės, sekinančios, gyvybei gresiančios ligos, kuriomis serga mažiau nei 5 asmenys iš 10 000 gyventojų, kai vaistai joms gydyti nekuriami dėl ekonominių motyvų, t. y. palyginti mažos paklausos ir didelių investicijų⁹. Šią sampratą atitinka ne tik genetinės (paveldimos) ligos, bet ir retos vėžio formos (pvz., visi vaikų piktybiniai navikai, sarkomos, melanomos ir kt.), autoimuninės ligos, įgimtos ydos, apsinuodijimo sukeltos būklės ir kai kurios retai ES pasitaikančios infekcinės (atogrąžų) ligos. Šiuo metu ES teritorijoje gyvena 27–36 milijonai retomis ligomis sergančių pacientų¹⁰. Paskaičiuota, jog Lietuvoje tokių ligonių yra maždaug apie 200–240 tūkst.¹¹. Todėl nekelia abejonių *praktinė tyrimo reikšmė*: tiek esamiems, tiek vadinamiesiems ateities pacientams Lietuvoje svarbu, kad tos teisinės galimybės, kurios numatytos ES teisėje siekiant vaistų prieinamumo, ir kitos, geriausiai atitinkančios sunkiai sergančių pacientų poreikius ir lūkesčius, būtų įtvirtintos ir Lietuvoje nacionaliniu lygiu, kad jomis būtų galima tinkamu laiku pasinaudoti iškilus poreikiui. Tyrimas *aktualus ir teoriniu požiūriu*, nes pirmą kartą Lietuvos sveikatos teisės diskurse sistemaiškai nagrinėjamas neregistruotų vaistų prieinamumo retomis ligomis sergantiems pacientams teisinių galimybių klausimas: nuo teisinio reglamentavimo ypatumų ES ir Lietuvos teisėje iki išvalgų dėl asmens (šiuo atveju reta liga sergančio paciento) laisvo apsisprendimo įgyvendinimo ribų renkantis gydymą. Straipsnio *objektas* – neregistruotų vaistų prieinamumo teisinio reglamentavimo probleminiai aspektai. Kadangi jie daugiausia susiję su tiriamųjų

6 *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 445 F.3d 470 (D.C. Cir. 2006), *rev'd*, 495 F.3d 695 (D.C. Cir. 2007) (en banc).

7 Lietuvos laisvosios rinkos instituto surengta diskusija „Nauji vaistai: kaip nepavėluoti?“ vyko 2008 m. lapkričio 18 d.

8 Valentas, A. Rusiškoji ruletė farmakoterapijoje. *Lietuvos sveikata*. 2008-12-05.

9 Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. [2000] OL L 18/1.

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

11 Špokienė, I. Legal assessment of current situation on orphan patients in Lithuania. *Medicina*. 2008, 44(8): 573; Tumienė, B.; Kučinskas, V. Retosios ligos Lietuvoje ir Europoje. *Gydymo menas*. 2008, 11/12: 25–27.

vaistų prieinamumu pacientams, neturintiems kitų gydymo alternatyvų ir negalintiems dalyvauti klinikiniuose tyrimuose, pabrėžtina, jog straipsnyje orientuojamasi būtent į šią grupę. *Tikslas* – išskirti ES teisėje numatytus neregistruotų vaistų prieinamumo būdus, kuriais gali pasinaudoti retomis ligomis sergantys pacientai, išnagrinėti tiriamųjų vaistų prieinamumą numatančias išimtis, nustatyti ir įvertinti jų raišką nacionalinėje teisėje, nagrinėjamame kontekste apsvarstyti asmens autonomijos principo įgyvendinimo ribų klausimą. *Metodai*: istorinis, lyginamasis, dokumentų analizės, sintezės bei apibendrinimo.

Atkreiptinas dėmesys, jog „neregistruotų vaistų“ samprata yra dviprasmiška: apima ir šalyje neregistruotus vaistinius preparatus (tačiau užsienyje parduodamus), ir apskritai dar prekybos leidimų neturinčius, kitaip tariant, naujus dar tiriamus vaistus. Straipsnyje nagrinėjamos temos atžvilgiu ši „neregistruotų vaistų“ sampratos ypatybė yra reikšminga ir priklausomai nuo nagrinėjamų probleminių aspektų išryškinama.

1. Neregistruotų vaistų prieinamumo išimtis ES teisėje

Kad vaistinis preparatas galėtų būti tiekiamas Bendrijos rinkai, tai yra kad juo galėtų būti prekiaujama, jam privalo būti suteikta rinkodaros teisė. Taigi vaistas privalo būti registruotas – įtrauktas į nacionalinį arba Bendrijos vaistinių preparatų registrus. Prekyba vaistais Bendrijoje neturint atitinkamo leidimo yra neteisėta. Šis fundamentalus ES farmacijos teisės principas šiuo metu įtvirtintas 2001/83/EB direktyvos 6 straipsnyje¹². Vis dėlto išanalizavus pastarųjų dviejų dešimtmečių ES teisės norminę bazę sveikatos priežiūros srityje matyti, jog yra numatytos ir kelios šios taisyklės išimtis, t. y. būdai, kai ir neregistruotų vaistų ligonis gali gauti teisėtai, t. y.: (1) galimybė įtraukti pacientus į klinikinius tyrimus, o pacientams juose dalyvauti¹³; (2) galimybė skirti ir vartoti neregistruotus vaistus pavieniams pacientams¹⁴; (3) vadinamosios „paskutinės vilties/labdaringos“ vaistų programos¹⁵ (angl. *compassionate use programmes*)¹⁶; (4) ekstremalios

-
- 12 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. [2001] OJ L 311.
 - 13 Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. [2001] OJ L 121.
 - 14 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. [2001] OJ L 311.
 - 15 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. [2004] OJ L 136.
 - 16 Angliško žodžio *compassionate* lietuviškos reikšmės – gailintis, užjaučiantis; labdaringas. Kelių ES dokumentų, tarp jų ir 726/2004/EB reglamento, lietuviškuose vertimuose aptariamas terminas išverstas kaip „vaistų panaudojimas labdaros tikslu“, bet tokio vertimo tikslumas yra diskutuotinas. Šio termino ES teisėje pirmtakas – analogiškas terminas JAV teisėje. Beje, kalbėdami apie tokį tiriamųjų vaistų panaudojimą amerikiečiai dar vartoja ir „išplėsto prieinamumo“ (angl. *expanded access*) terminą: dažniausiai kaip *compassionate use* sinonimą (nors pastarasis daugiau sietinas su tiriamųjų vaistų prieinamumu pacientų grupėms, o ne pavieniams pacientams). Tenka konstatuoti terminų vienovės ir aiškiaus apibrėžtumo trūkumą.

situacijos, kai laikinai leidžiama naudoti neregistruotus, tačiau būtinus vartoti vaistus (pvz., įvykus gaivalinei nelaimei ir pan.)¹⁷. Pažymėtina, kad nors tik trečioji iš čia išvardintų išimčių yra specialiai priimta sunkiomis, retomis, gyvybei gresiančiomis ligomis sergančių pacientų gydymo galimybėms palengvinti, šiame straipsnyje apsibrėžto tyrimo objekto atžvilgiu ne mažiau svarbi ir antroji. Tai paaiškėja detaliau nagrinėjant šias išimtis reglamentuojančių ES teisės normų priėmimo priežastis, turinio skirtumus, įdiegimo ir taikymo skirtingose ES šalyse narėse pavyzdžius.

1.1. Galimybė skirti ir vartoti neregistruotus vaistus pavieniams pacientams

Neregistruotus vaistus, skirtus pavieniams pacientams gydyti, valstybėms ES narėms leista įsivežti remiantis 1989 m. priimtoms Tarybos direktyvos 89/341/EEB (toliau – 89/341/EEB direktyva) 1 str. 3 dalimi¹⁸. Konkrečiai apie retomis ligomis sergančius pacientus joje neužsiminta. Tačiau šiuo atveju svarbu tai, jog įteisinta galimybė esant būtinybei gydytojui skirti gydymą, o pacientui gydytis geriausiai gydymo poreikį atitinkančiu vaistu, neatsižvelgiant į jo registravimo faktą.

Kad pastaroji nuostata svarbi retų ligų atvejais, rodo jos įdiegimo Prancūzijos sveikatos teisėje pavyzdys. Jau 1992-aisiais į nacionalinę teisę perkeltiant šią ES teisės normą visuomenės sveikatos kodekse gydytojui jo paties atsakomybe numatyta teisė teikti prašymus dėl užsienyje parduodamų vaistų įvežimo konkrečiam sunkia reta liga sergančiam pacientui. O Prancūzijos vaistų agentūrai suteikta teisė ligoninei išduoti leidimą įsigyti ir laikinai naudoti dar tiriamus vaistus retoms ligoms ir būklėms gydyti, kai nėra šių patologijų gydymo alternatyvų ir kai yra pagrįsta tikimybė, kad tokie vaistai bus ligoniui veiksmingi^{19,20}. Taigi Prancūzija pirmoji iš ES narių retų ligų atvejais reglamentavo ir šalyje neregistruotų (tačiau užsienyje parduodamų), ir dar tiriamų vaistų (po II ar III klinikinių tyrimų fazės) prieinamumą. Susiklosčius atitinkamoms aplinkybėms gydytojas tiriamųjų vaistų gali skirti ir pavieniam reta liga sergančiam pacientui gydyti, pritaikius vadinamąjį vardinę laikinos registracijos procedūrą (pranc. *l'ATU dite nominative*), ir skirti tiriamuosius vaistus daugiau nei vienam pacientui – t. y. pacientų grupei – gydyti (pranc. *l'ATU dite de cohorte*)²¹.

Matyti, jog Prancūzija iš karto pasirinko plačią „neregistruoto vaisto“ sampratą interpretaciją. Kitose valstybėse narėse susiklostė įvairi minėtos ES teisės normos per-

17 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. [2004] OJ L 136.

18 Council Directive 89/341/EEC of 3 May 1989 amending Directives 65/65/EEC, 75/318/EEC and 75/319/EEC on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products. OJ [1989] L 142.

19 Costille, M. B. Les Medicaments Orphelins a l'heure de l'Europe: une longue histoire: these pour le diplome d'etat docteur en pharmacie. Lyon: Universite Claude Bernard – Lyon I, Faculte de pharmacie, Institut des sciences pharmaceutiques et biologiques, 2000.

20 Dabar Prancūzijos visuomenės sveikatos kodekso L.5121-12, R.5121-68 ir R. 5121-76 straipsniai [Bedell, E., *supra* note 5, p. 10].

21 Šios procedūros išsamiai aprašytos Prancūzijos sveikatos ir produktų saugumo agentūros (Afssaps) 2007 m. pranešime [Notice to applicants for Temporary Authorisation for Use (ATU). Afssaps, November 2007].

kėlimo praktika. Šios praktikos ypatumų analizė reikalautų atskiro išsamaus, statistiniais duomenimis paremto tyrimo. Tačiau tam, kad būtų galima konstatuoti, jog skirtingose valstybėse narėse sunkiai sergantiems pacientams susidarė nevienodos galimybės gauti gydymą reikalingais neregistruotais vaistais, pakanka faktų, jog tiriamųjų vaistų skyrimas ir naudojimas pavieniam pacientui gydyti iki šiol teisiškai reglamentuotas tik maždaug dešimtyje valstybių ES narių (tarp jų Vokietijoje, Italijoje, Jungtinėje Karalystėje²², Danijoje²³); ir nors šalyje neregistruotų vaistų importas įteisintas visose ES narėse, tačiau leidimų išdavimo, atsakomybės už tokio vaisto saugumą, paskirstymo, kontrolės ir vaistų apmokėjimo tvarka skiriasi²⁴, tai rodo esant nevienodas tokių vaistų prieinamumo sąlygas skirtingų ES narių gyventojams.

Reikia pasakyti, kad 2001 m. priėmus 2001/83/EB direktyvą²⁵ neregistruotų vaistų prieinamumo teisiniu pagrindu tapo jos 5 straipsnis. Nepaisant skirtingo iki tol galiojusios 89/341/EEB direktyvos 1 str. 3 dalies normos interpretavimo ES narėse, 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnio norma nebuvo pakoreguota. Tik 2004 m. kovo 31 d. priėmus 2004/27/EB direktyvą²⁶ joje padarytas smulkus pakeitimas: žodžiai „individualiems pacientams“ iš daugiskaitos perrašyti vienaskaita. Ši teisės normos gramatinė korekcija tampa reikšminga susiejant ją su faktu, jog tą pačią dieną Europos Parlamentas ir Taryba priėmė 726/2004/EB reglamentą²⁷, kurio 83 straipsnyje įtvirtino nuostatas dėl vadinaujamųjų *compassionate use* programų, tiesiogiai sietinų su tiriamųjų vaistų prieinamumo galimybių retomis ir kitomis sunkiomis ligomis sergantiems pacientams išplėtimu.

1.2. Galimybė dalyvauti „paskutinės vilties/labdaringose“ vaistų programose

726/2004/EB reglamento 83 str. 1 d. reglamentuota galimybė „panaudoti labdaros tikslu“ vaistus, jei pacientai labai sunkiai serga (pvz., vėžiu, ŽIV/AIDS, neurodegeneracine ar autoimunine liga²⁸) ir negali būti tinkamai gydomi registruotu vaistu. Europos vaistų agentūros išleistose gairėse paaiškinta, kad vaistų „panaudojimas labdaros tikslu“

-
- 22 A guide to cancer drug development and regulation. AstraZeneca, 2006. In Wagstaff, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/ December, 2007, p. 22 [žiūrėta 2010-02-15]. <<http://www.cancerworld.org/CancerWorld/getStaticModFile.aspx?id=1955>>.
 - 23 Compassionate use permit for experimental treatment with medicinal products [interaktyvus] [žiūrėta 2010-03-05]. <<http://www.dkma.dk/1024/visUKLSArtikel.asp?artikelID=4619>>.
 - 24 Bourg, E., de Crémiers, F. Compassionate use and early access to the market in the USA and EU. *The Regulatory Affairs Journal*. 2000, 11(9): 640–645. In de Varax, A., Letellier, M., Börtlein, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005, p. 21–22.
 - 25 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. [2001] OJ L 311.
 - 26 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. [2004] OJ L 136.
 - 27 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. [2004] OJ L 136.
 - 28 Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/2004. London: EMEA, 19 July 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2010-03-05]. <<http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/euleg/2717006enfin.pdf>>.

šiam straipsnyje turi būti suprantamas kaip „vaistų davimas pacientams, sergantiems lėtine arba sunkia sekinančia liga arba kurių liga pripažįstama gyvybei pavojinga ir kurie negali būti gydomi patenkinamai, duodant jau turintį leidimą vaistą“ – t. y. likę be jokių gydymo galimybių arba tie, kurių liga nepasiduoda esamam gydymui ar vėl pasikartoja, arba tie, kuriems esantis gydymas yra žalingas ar nepakankamas²⁹.

Pažymėtina, kad nuo 2001/83/EB direktyvos 5 str. normos minėtoji norma skiriasi tuo, jog čia kalbama išskirtinai apie prekybos leidimo dar neturinčių – būtent tiriamųjų – vaistų vartojimą. Beje, skirtingai nei 2001/83/EB direktyvos 5 str., 726/2004/EB reglamento 83 str. nustato, kad teisę kreiptis dėl labdaringo vaistų vartojimo turi ne pacientą gydantis gydytojas, o farmacijos įmonė. Dar vienas ir bene pats svarbiausias skirtumas yra tas, jog šia nuostata reglamentuojama tik pacientų grupės – t. y. daugiau nei vieno paciento – galimybė gydytis tiriamaisiais vaistais. Pastarasis faktas paaiškina minėtos nedidelės gramatinės pataisos, 2004 m. padarytos 2001/83/EB direktyvos 5 straipsnyje, prasmę. Daugiskaitos pakeitimas vienaskaita kalbant apie tikslinius pacientus, kuriems skiriamas gydymas tiriamaisiais vaistais, greičiausiai yra normos patobulinimas juridinės technikos požiūriu, taip kur kas aiškiau atskiriant tiriamųjų vaistinių preparatų skyrimo pavieniam pacientui ir pacientų grupėms teisinius pagrindus³⁰.

Analizuojant 726/2004/EB reglamento 83 str. reikia pabrėžti dar keletą aspektų. Pirma, vaistas, kurį rengiamasi vartoti „labdaros tikslu“, turi būti toks, kuriam privaloma išduoti leidimą prekiauti pagal centralizuotą procedūrą. Tai rodo, kad nuostatos dėl tokio vaistų panaudojimo apima ir pagal šį straipsnį yra taikytinos tik nedidelės produktų kategorijos atžvilgiu³¹. Preparatams, nepriklausantiems šiai kategorijai, tebelieka galioti nacionalinių teisės aktų nuostatos, jei jos priimtos. Nors vadinamiesiems retiesiems vaistiniams preparatams³² ir kitiems „aukštųjų technologijų“ pagrindu kuriamiems vaistams, kurie irgi gali būti skirti retoms ligoms gydyti, nuo 2005 m. pabaigos galioja privaloma centralizuoto registravimo procedūra, manytina, kad toks griežtas api-

29 *Op. cit.*

30 Palyginimui:

2001/83/EB direktyvos 5 str. ištraukos atitinkamai anglų ir lietuvių kalbomis: „in accordance with the specifications of an authorized health care professional and for use *by his individual patients* on his direct personal responsibility“; „pagal teisę turinčio medicinos specialisto nurodymus ir skirtas *jo individualiems pacientams*, už kuriuos jis tiesiogiai ir asmeniškai yra atsakingas“.

2004/27/EC direktyvos 5 str. ištraukos anglų ir lietuvių kalbomis: „in accordance with the specifications of an authorised health-care professional and for use *by an individual patient* under his direct personal responsibility“; „pagal tam teisę turinčio sveikatos priežiūros specialisto nurodymus ir skirtas *individualiems pacientams*, už kuriuos jis tiesiogiai ir asmeniškai yra atsakingas“. Pastaba: lietuviškas direktyvos vertimas tikslintinas.

31 Centralizuotos vaistų registravimo procedūros pagrindinis privalumas tas, jog suteikiama galimybė atitinkamu vaistu prekiauti visose ES valstybėse narėse. Taip registruojami „aukštųjų technologijų“ pagrindu kuriami vaistai, taip pat ir retieji. Už šią registravimo procedūrą atsakinga Europos vaistų agentūra, o jos taikymo tvarka nuo 2004 m. vidurio nustatyta Europos Parlamento ir Tarybos reglamente (EB) Nr. 726/2004.

32 Nuo 2000 m. ES galiojančiame Europos Parlamento ir Tarybos reglamente Nr. 141/2000/EB „Dėl retųjų vaistų“ numatyti kriterijai, pagal kuriuos vaistas gali būti priskirtas retųjų vaistų kategorijai. Kadangi tai vaistai retai paplitusioms, sunkioms, lėtinėms, gyvybei gresiančioms ligoms gydyti, jų kūrimą numatyta įvairiai skatinti [Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. [2000] OL L 18/1].

brėžtumas lemia arba ateityje gali lemti papildomus retoms ligoms gydyti skirtų vaistų prieinamumo skirtumus valstybėse ES narėse. Antra, šiame straipsnyje nėra užsimenama apie tiriamųjų vaistų, tiekiamų per „paskutinės vilties/labdaringas programas“, arba tų programų apmokėjimą. J. P. Griffinas pastebi, kad, rengiantis priimti 726/2004/EB reglamentą, ankstyvuosiuose 83 str. projektuose buvo siūloma įteisinti, kad tokie vaistai pacientams būtų tiekiami tik nemokamai, tačiau vėliau šios idėjos atsisakyta ir dabar, nors reglamente nieko apie tai nesakoma, laikomasi nuostatos, jog farmacijos įmonės gali tokias programas apmokestinti³³. Tai tarsi prieštarauja programų pavadinimui „labdaringumas/užuojauta“, kita vertus, toks sprendimas, matyt, priimtas suprantant, kad imperatyvi norma tik slopintų farmacijos įmonių, kurių vaistai galėtų tapti prieinami per tokias programas, norą jas vykdyti, jei įmonės privalėtų prisiimti visas vaisto gamybos, logistikos, programos administravimo ir kitas sąnaudas.

Nors aptartoji reglamento nuostata įsigaliojo maždaug prieš penkerius metus, A. Wagstaff straipsnyje „Mirštantys dėl užuojautos stokos?“ (orig. *Dying for lack of compassion?*) nurodoma, kad kol kas tik maždaug pusėje valstybių ES narių yra priimtos teisės nuostatos dėl pacientų grupėms skirtų vaistų prieinamumo programų. Leidimų naudoti tokius vaistus išdavimo sistemos bei apmokėjimo reguliavimas skirtingose šalyse taip pat yra skirtingas. Vienose šalyse numatytos ilgai trunkančios griežtos kompleksinės procedūros ir būtina parengti pluoštus dokumentų, o kiekvienas atvejis apsvarstomas keliose skirtingose institucijose. Kitur atvirkščiai – tvarka supaprastinta. Vienur nustatyta, jog visas su tais vaistais susijusias išlaidas turi apmokėti gamintojas, kitur pacientas turi pats apmokėti programos administravimo išlaidas, o kai kuriais atvejais ir vaisto gamybos ar netgi nedidelę dalį vaisto kūrimo ir tyrimų išlaidų³⁴. Nors tokia situacija, kaip ir vaistų prieinamumo skirtumai pavieniams pacientams, iš dalies gali būti pateisinama valstybių ES narių diskrecija organizuojant savas sveikatos priežiūros sistemas, vis dėlto tai, jog skirtingose šalyse gyvenančių pacientų galimybės gauti galimai veiksmingų vaistų laiko atžvilgiu skiriasi net iki penkerių metų, vertintina kaip prieštaravimas solidarumui ir lygiateisiškumui – vienoms iš pagrindinių ES sveikatos sistemų vertybių³⁵.

1.3. Išimčių dėl neregistruotų vaistų prieinamumo įteisinimo reikšmė užtikrinant retomis ligomis sergančių pacientų teises ir interesus

Vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumas, tarp jų ir tiriamųjų, yra sietinas ne tik su lygiateisiškumo ir solidarumo principų užtikrinimu sveikatos priežiūros sistemoje, bet ir vertintinas kaip retomis ligomis sergančių pacientų teisės į sveikatos priežiūrą įgyvendinimo dalis³⁶. Nors užtikrinant šią teisę (ypač ekonominiu požiūriu) pagrindinis

33 Griffin, J. P. *The textbook of pharmaceutical medicine*. 6th ed. London: Wiley-Blackwell, 2009, p. 333.

34 Wagstaff, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/ December, 2007, p. 22 [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.cancerworld.org/Cancer_World/getStatic_ModFile.aspx?id=1955>.

35 Tarybos išvados dėl Europos Sąjungos sveikatos sistemų bendrų vertybių ir principų. [2006] OL C 146/1.

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

vaidmuo tenka pačioms valstybėms, galima teigti, kad ES teisės nuostatos, vienodinančios tiriamųjų vaistų prieinamumo pacientams sąlygas bei kriterijus, padeda arba turėtų padėti užtikrinti šią teisę, nes jos leidžia labai sunkiai sergantiems pacientams naujausius vaistinius preparatus pradėti vartoti net iki penkerių metų anksčiau, nei jie būtų pateikti rinkai³⁷. Taip atsižvelgiama į sunkios sveikatos būklės pacientų lūkesčius gauti bent kiek vilties teikiantį gydymą, kai rizika vartoti dar tiriamus vaistus yra mažesnė už pasekmes, kurios ištiktų jų nevarojant (pvz., yra didelė tikimybė, jog pacientas mirtų nesulaukęs, kol jam reikalingi vaistai būtų registruoti arba dėl ligos progresavimo patirtų negrįžtamų sveikatos būklės pakitimų).

Tačiau, kaip matyti iš tiriamųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo ES narėse statistinių duomenų, tenka konstatuoti, kad tokios pacientų galimybės prilygsta loterijai. Europos vaistų agentūra gali priimti tik nuomones dėl konkretaus tiriamojo vaisto naudojimo, vaisto paskirstymo sąlygų ir tikslinių pacientų, taigi nesprenžia tiriamųjų vaistų tiekimo skirtumų, lemiančių jų prieinamumo pacientams nelygybę skirtingose valstybėse ES narėse. Vadinasi, sunkia, gyvybei gresiančia liga sergančiam pacientui pasiseka, jei jo gyvenamojoje valstybėje yra imtasi veiksmingų teisinių priemonių užtikrinant ne tik šalyje neregistruotų, bet ir naujų tiriamųjų vaistų prieinamumo galimybes, jei gydytojų derybos su farmacijos įmone dėl vilties teikiančio vaisto tiekimo yra sėkmingos, o medicinos etikos komiteto nariai, kuriems dažnai pavedama funkcija išreikšti pritarimą arba nepritarimą dėl tiriamųjų vaistų vartojimo, yra kompetentingi ir geranoriški, trumpiau tariant, jei atsakingiems asmenims visose grandyse, turinčiose įtakos, kad sunkiai sergantis pacientas gautų vilties teikiantį gydymą, tai tikrai rūpi.

2. Tiriamųjų vaistų prieinamumo reglamentavimas Lietuvoje

Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymo³⁸ (LR SSI) 20 str. 1 dalyje nustatyta, kad „sveikatos priežiūros specialistai turi teisę pasirinkti Sveikatos apsaugos ministerijos nustatyta tvarka aprobuotas diagnostikos ir gydymo metodikas bei technologijas“. O 2 dalyje numatyta, kad panaudoti „naujus, moksliskai pagrįstus, bet dar nustatyta tvarka neįregistruotus vaistus, neaprobuotus profilaktikos, diagnostikos ir gydymo metodus [...] gali tik stengdamiesi pacientą išgydyti, išgelbėti ar pratęsti jo gyvybę“. Lietuvos teisės norminėje bazėje tai vienintelė nuostata, kuri iš pirmo žvilgsnio atrodo sietina su tiriamųjų vaistų naudojimo galimybėmis pacientui gydyti. Ji galioja jau 16 metų, nuo pat įstatymo priėmimo 1994-aisiais³⁹, tačiau nei LR sveikatos sistemos įstatyme, nei įstatymo įgyvendinamuosiuose teisės aktuose šios nuostatos nedetalizuojamos. Todėl nėra aišku, kokie „neįregistruoti vaistai“ ir „neaprobuoti gydymo metodai“ čia turimi omenyje. Manant, jog kalbama apie dar tiriamus vaistus, nelogiška tai, jog nėra numatyta nei tokių vaistų įsigijimo (tiekimo) tvarka, nei tai, kokioje klinikinių tyrimų

37 Vale, J., *supra* note 4, p. 2152–2153.

38 Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios*. 1994, Nr. 63-1231; 1998, Nr. 112-3099; 2000, Nr. 92-2876; 2004, Nr. 68-2367, 2372; Nr. 171-6309; 2007, Nr. 64-2456; 2008, Nr. 50-1850.

39 Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios*. 1994, Nr. 63-1231. 41 str.

fazėje esantis vaistas galėtų būti panaudotas sveikatos priežiūros reikmėms, nenurodyti paciento(-ų) ligos sunkumo kriterijai, neiškus gydytojo atsakomybės aspektas, pranešimo apie nepageidaujamas reakcijas į tiriamąjį vaistą tvarka ir t. t. Vienintelė sąlyga, kuri keliama – raštiškas paciento, o jeigu jis yra nesąmoningos būsenos arba nepilnametis – jo atstovų sutikimas. Lyginant su Prancūzijoje nustatyta tvarka, toks tiriamų vaistų vartojimo reguliavimas būtų pernelyg paprastas. Patvirtinti iškeltos prielaidos, kad čia turimi omenyje dar tiriami vaistai, neleidžia ir tai, kad LR farmacijos įstatymo 8 str. 3 d. numatyta, jog Lietuvos rinkai gali būti tiekiami ir vartojami sveikatos priežiūrai tik neregistruoti būtinieji vaistiniai preparatai, jeigu jiems suteikta rinkodaros teisė bent vienoje Europos ekonominės erdvės (EEE) valstybėje, ir vardiniai vaistai, kai gydytojas, skirdamas juos vartoti pavieniam pacientui, prisiima tiesioginę ir asmeninę atsakomybę⁴⁰.

Jau iš pačios cituotos teisės normos formuluotės matyti, jog į neregistruotų būtinųjų vaistų sampratą tiriamieji vaistai nepatenka⁴¹. Vardinių vaistinių preparatų įsigijimo taisyklėse⁴² (toliau – Taisyklės) nurodyta, kad vardinis vaistinis preparatas turi būti registruotas bent vienoje EEE valstybėje arba gamintojo valstybėje (4 punktas), ir aiškiai pabrėžta, kad šios Taisyklės netaikomos tiriamiesiems vaistiniams preparatams (2.4 punktas). Taigi čia reglamentuota tik Lietuvoje neregistruotų, o ne tiriamųjų vaistų įsigijimo tvarka. Taisyklių 9 bei 10 punktuose iš esmės pakartotas 2001/83/EB direktyvos 5 str., nurodant, kad jei nėra galimybių Lietuvoje registruotais vaistais gydyti pacientą, diagnozuoti ligą ar jos išvengti, o gydymo neregistruotu vaistu naudos ir rizikos santykis yra reikšmingai palankesnis negu šalies rinkoje esamų vaistinių preparatų ir gydymo būdų (10 punktas), toks vaistas gali būti tiekiamas į Lietuvos Respubliką remiantis to paciento gydytojo paskyrimu ir skirtas vartoti tiesiogiai šiam gydytojui atsakant. Vadinasi, Lietuvoje perkeltant 2001/83/EB direktyvos 5 str. pasirinkta pati siauriausia jo interpretacija – apsiribota tik šalyje neregistruotų vaistų prieinamumu pavieniams pacientams ir, skirtingai nei Prancūzijoje, neįteisintas tiriamųjų vaistų prieinamumas. Mūsų teisės aktuose teisiškai neregamentuotas ir labdaringas vaistų vartojimas retų ligų atvejais pacientų grupėms. Nepaisant to, jog Europos vaistų agentūra 2007 m. liepą yra išleidusi gaires, palengvinančias 726/2004/EB reglamento 83 str. supratimą ir įgyvendinimą⁴³, į nacionalinę teisę ši nuostata iki šiol nėra perkelta. Reikėtų tai kuo greičiau atlikti.

40 Lietuvos Respublikos farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios*. 2006, Nr. 78-3056.

41 Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. gruodžio 29 d. įsakymas Nr. V-1080 „Dėl Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų tiekimo rinkai taisyklių patvirtinimo“. *Valstybės žinios*. 2008, Nr. 4-140.

42 Lietuvos Respublikos 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.

43 Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/2004. London: EMEA, 19 July 2007.

3. Įžvalgos dėl priešasčių, lemiančių tiriamųjų vaistų prieinamumo neklinikinių tyrimų metu reglamentavimo skirtumus valstybėse ES narėse

Ir žvelgiant į situaciją Lietuvoje, ir turint omenyje tiriamųjų vaistų prieinamumo reglamentavimo ES narėse skirtumus kyla klausimas, kodėl vienoje šalyse atitinkamos nuostatos jau senokai priimtos, o kitur vis dar ne. Dėl kokios priežasties nacionaliniais įstatymais vengiama įteisinti išimtis dėl tiriamųjų vaistų prieinamumo? Nors ir šis klausimas teoriškai reikalautų atskiro išsamaus tyrimo, kai kurios įžvalgos peršasi prisiminus, jog teisės aktų išimties dėl neregistruotų vaistų teisėto įsigijimo pirmiausia buvo įtvirtintos JAV ir aiškėja gilinantis į jų priėmimo aplinkybes bei priežastis. Įvade minėta, jog pacientai kėlė bylas, siekdami neregistruotų vaistų prieinamumo⁴⁴. Jose apeliuota į pagarbą asmens privačiam gyvenimui ir asmens autonomijai, kuri yra neatsiejama šios teisės dalis. Pripažįstant šį argumentą svariu, nuo 1987 m. leista įsigyti naujų tiriamųjų vaistų, esančių vėlesnėse jų klinikinių tyrimų fazėse, pacientams, kurie serga sunkia, reta liga, jiems gresia mirtis, nėra alternatyvaus registruoto gydymo ir kt.⁴⁵

Asmens autonomija sveikatos priežiūros sistemoje suvokiama kaip asmens apsisprendimo laisvė, kai asmuo turi plačią diskreciją savo paties kūno ar net gyvybės atžvilgiu⁴⁶. Iš šios vertybės kildinama ir informuoto paciento sutikimo koncepcija, kurios vienas aspektų – paciento teisė sutikti net ir su labai rizikingu gydymu arba tokio gydymo atsisakyti. Asmens teisė į apsisprendimą ir pagarbą jo autonomijai kontinentinės teisės šalių teisės doktrinoje pripažįstama nuo XX a. vidurio⁴⁷. Todėl galima teigti, kad tos ES valstybės narės, kurios yra įteisinusios tiriamųjų vaistų prieinamumą po II ir (ar) III klinikinių tyrimų fazės, taip pat pripažįsta platesnį požiūrį į informuoto paciento teisę spręsti dėl gydymo metodų ir juos rinktis, nei tos, kuriose, neatsižvelgiant į paciento sveikatos būklės sunkumą, yra įmanomas tik registruotų (gyvenamojoje šalyje ar užsienyje) vaistų prieinamumas. Tačiau ar šios šalys asmens autonomijos principą sveikatos priežiūroje pažeidžia – santykinis klausimas, nes reikia pripažinti, jog „Vakarų kultūrinėje tradicijoje ši vertybė nebūtinai yra suvokiama individualistiniais terminais

44 Žr. *Carnohan v. United States*, 616 F.2d 1120, 1122 (9th Cir. 1980) (dėl konstitucinės teisės į privatumą ir asmens laisvės teisėto suvaržymo neleidžiant asmenims laisvai įsigyti vaisto *Laetril* (vėžiui gydyti); *Duncan v. United States*, 590 F. Supp. 39, 44 (W.D.Okla. 1984); *Rutherford v. United States*, 438 F. Supp. 1287, 1301 (W.D. Okla. 1977), *aff'd*, 582 F.2d 1234 (10th Cir. 1978), *rev'd*, 442 U.S. 544 (1979) (dėl konstitucinės teisės į privatumą užtikrinimo suteikiant leidimą nepagydomai sergantiems pacientams naudoti netoksišką vaistą *Laetril* asmeninio gydymo reikmėms). In Vale, J. Expanding expanded access: how the Food and Drug Administration can achieve better access to experimental drugs for seriously ill patients. *The Georgetown Law Journal* [interaktyvus]. 2008, 96: 2149 [žiūrėta 2010-02-21]. <<http://www.georgetownlawjournal.org/issues/pdf/96-6/Vale.PDF>>.

45 Investigational New Drug Application, 21 C.F.R. § 312.34(b)(1)(i)-(iv); Expanded access investigational drugs for treatment use; Final Rules. *Federal Register* [interaktyvus]. 2009, 74(155) [žiūrėta 2010-02-14]. <<http://edocket.access.gpo.gov/2009/pdf/E9-19005.pdf>>.

46 Juškevičius, J. Teisės principų taikymas norminant sveikatos priežiūros sritį. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 12–13.

47 Kutkauskienė, J.; Rudzinskas, A. Informuoto paciento sutikimas: pacientui teikiamos informacijos teisinio įvertinimo problemos. *Socialinių mokslų studijos*. 2009, 2(2): 321.

ir visuotiniu lygiu⁴⁸. Be to, valstybės ES narės turi plačią diskreciją reguliuoti savo sveikatos priežiūros sistemas. Todėl suformuluoti vienareikšmišką atsakymą į šį klausimą kol kas sunku.

Pasak J. Juškevičiaus, pastaruoju metu doktrina tik pradeda kreipti dėmesį į asmens autonomijos principo taikymo sveikatos priežiūroje galimybes ir ribas⁴⁹. Tiriamųjų vaistų prieinamumo retų ligų atveju klausimas yra vaizdus pavyzdys. Tam tikros išimties (pvz., tiriamųjų vaistų po II ar III klinikinių tyrimų fazės teisėtas įsigijimas), nusveriančios įprastais atvejais taikomą vaisto saugumo prioritetą prieš pacientų pasirinkimo laisvę, rodo tendenciją ribinėse sveikatai situacijose asmens apsisprendimo laisvę suabsoliutinti, kita vertus, naujausias JAV teismų praktikos pavyzdys byloje *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach* patvirtina, kad net ir šiais atvejais asmens autonomija sveikatos priežiūroje turi ribas.

2003 m. JAV Maisto ir vaistų administracijai pareikšto reikalavimo esmė gana aiškiai atsispindi pačiame bylos pavadinime – *Abigailės aljansas už geresnį tiriamųjų vaistų prieinamumą*⁵⁰. Patikslintina, kad remiantis paciento autonomijos ir laisvo pasirinkimo teise siekta, jog retomis, sunkiomis, gyvybei gresiančiomis ligomis sergantiems pacientams būtų leista įsigyti naujai kuriamų vaistų pasibaigus jų I klinikinių tyrimų fazei tuo atveju, jei pacientai negali dalyvauti reikiamo vaisto klinikiniame tyrime, o kitų gydymo alternatyvų nėra arba esantys gydymo metodai neveiksmingi. 2006 m. Kolumbijos apygardos teismas priėmė sprendimą, iš esmės patenkinantį tokį reikalavimą, išskeldamas tam tikras tiriamųjų vaistų prieinamumo sąlygas: pacientas turi būti suaugęs ir veiksnus; sirgti sunkia, greitai mirtimi gresiančia liga; registruotų vaistų šiai ligai gydyti rinkoje nėra arba jie pacientui neveiksmingi; turi būti įrodymų, jog vaistas po I klinikinio tyrimo fazės yra pakankamai saugus, kad būtų tęsiamas jo klinikinis tyrimas. Teismas rėmėsi *Cruzan v. Director, Missouri Department of Health* byla dėl teisės atsisakyti gyvybę palaikančio gydymo, kurioje teigta, jog „asmenys yra laisvi apsispręsti, ar priimti bet kokią žinomą ar nežinomą vaistų, galinčių pratęsti jų gyvybę, riziką“⁵¹. Teisėjai konstatavo, kad abi bylos sietinos su „pacientų teise dėl savo gyvenimo apsispręsti laisvai, nepriklausomai nuo valdžios kišimosi“. Taip pat išvesta dar viena, tik šįkart atvirkštinė paralelė – jei *Cruzan* byloje buvo pripažinta paciento „teisė mirti“ apsisprendžiant atsisakyti gyvybę palaikančio gydymo, tai *Abigail* byloje – patvirtinta pacientų teisė į galimai gyvybę palaikysiančio gydymo prieinamumą, „teisė pabandyti likti gyvam“⁵².

48 Juškevičius, J., *supra* note 46, p. 13.

49 *Ibid.*, p. 12.

50 *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 445 F.3d 470 (D.C. Cir. 2006), *rev'd*, 495 F.3d 695 (D.C. Cir 2007) (en banc).

51 *Cruzan v. Dir., Miss. Dept. of Health*, 497 U.S. 261 (1990). In Romano, L. V., Jacobson, P. D. Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine and law. *Journal of Health & Life Sciences Law* [interaktyvus]. 2009, 2(2): 52 [žiūrėta 2010-02-28]. <http://www.hallrender.com/library/articles/497/1226_001a.pdf>

52 Hill, J. The constitutional right to make medical treatment decisions: a tale of two doctrines. *Texas Law Review*. 2007, 86(2): 280.

Tačiau bylą persvarstęs apeliacinis teismas 2008-aisiais priėmė visiškai kitokią sprendimą, pareikšdamas, jog nepagydomai sergantys pacientai, išbandę visus leidžiamus gydymo metodus, neturi fundamentalios teisės į tiriamųjų vaistų po I klinikinių tyrimų fazės prieinamumą, nes jų gydomasis poveikis kol kas nėra įrodytas⁵³. Trumpai tariant, pagrindinis argumentas, kuriuo baigta *Abigail* byla, yra tas, kad I klinikinių tyrimų fazės metu ištiriamas tik vaisto toksiškumas ir farmakokinetika, taigi nėra informacijos apie vaisto saugumą ir veiksmingumą, todėl pacientai tokių vaistų įsigyti ir naudoti negali.

Toks aukščiausios instancijos teismo sprendimas aiškiai parodė asmens autonomijos principo koreliaciją su paciento sveikatos saugos, užtikrinamos valstybinio regulavimo priemonėmis, prioritetu. Kaip matyti, šiuo atveju asmens autonomija jau nebuvo traktuota kaip asmens valios išreiškimas, savanoriškas gydytojo ir paciento rizikos prisiėmimas, o greičiau kaip gynyba (gydytojo; farmacijos įmonės; kompetentingos institucijos, išdavusios leidimą naudoti tiriamąjį vaistą) nuo galimo kaltinimo deliktu.

Abigailės aljanso propaguojamos idėjos šalininkai (terminalinių būklių pacientai, jų artimieji, kai kurie gydytojai) nusivylė tokiu teismo sprendimu tvirtindami, kad tiriamąjo vaisto saugumo, jo ilgalaikio šalutinio poveikio argumentai yra niekiniai. Pasak jų, „negaunant jokio gydymo, vienintelis ilgalaikis nepalankus poveikis, kuris laukia, yra mirtis“⁵⁴. Atsirado ir teisininkų, gana aštriai kritikuojančių *Abigail* byloje priimtą galutinį sprendimą⁵⁵. Ir nors neskundžiama teismo nutartis, nepripažįstanti pacientų interesų bandyti gydymą vaistais po I klinikinių tyrimų fazės, buvo priimta, ir medicinos etikos žinovai, ir teisės specialistai tebediskutuoja, kuris pasirinkimas teisingesnis: terminalinės būklės pacientui drausti galimybę gauti ankstyvoje tyrimų fazėje esantį galimai veiksmingą gydymą, ar leisti jam rizikuoti ir vartoti nežinomo saugumo vaistą? Beje, ieškantieji argumentų, neigiančių tokios išimties reikalingumą, mini ir problemas, galinčias kilti įteisinus vaistų po I klinikinių tyrimų fazės prieinamumą: pavyzdžiui, klinikinių tyrimų dalyvių trūkumą vėlesnėse to vaisto tyrimų fazėse; įmonių intereso vykdyti brangius klinikinius tyrimus smukimą; neigiamą įtaką mokslinių tyrimų procesui ir tūkstančiams pacientų, laukiantiems, kol bus patvirtintas moksliskai pagrįstas gydymo metodas. Jie priduria, jog nederėtų pamiršti ir vartojant tiriamuosius vaistus dažnai pasitaikančio klaidingo vaisto gydomąjo poveikio supratimo (angl. *therapeutic misconception*) arba didelės šio psichologinio reiškimo, galinčio ištikti ir pacientą, ir jo artimuosius, tikimybės, o tai savo ruožtu galėtų suklaidinti ne tik gydytoją, bet ir vaisto kūrėjus⁵⁶. Šie papildomi argumentai, be abejo, taip pat konkuruoja su paciento laisvo

53 *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 495 F.3d 695, 697 (D.C. Cir. 2007) (en banc), cert. denied, 128 S. Ct. 1069 (2008); Plačiau apie šią bylą: Chin, B. R. One last chance: *Abigail Alliance v. von Eschenbach* and the right to access experimental drugs. Note. University of California, Davis [interaktyvus]. 2008, 41: 1969–2000 [žiūrėta 2010-02-23]. <http://lawreview.law.ucdavis.edu/issues/41-5_Chin.pdf>.

54 Wagstaff, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/ December, 2007, p. 23 [žiūrėta 2009-02-15]. <http://www.cancerworld.org/Cancer_World/getStatic_ModFile.aspx?id=1955>.

55 Chin, B. R., op. cit., p. 1969–2000.

56 Caplan, A. Is it sound public policy to let the terminally ill access experimental medical innovations? *The American Journal of Bioethics*. 2007, 7: 1–3; Bender, S.; Flicker, L.; Rhodes, R. Access for the terminally ill to experimental medical innovations: a three-pronged threat. *The American Journal of Bioethics*. 2007, 7: 3–6.

apsisprendimo teise gydymui rinktis tiriamuosius vaistus ir rodo ne tik nagrinėjamos situacijos įvairiapusiškumą, bet ir prieštaringumą.

Vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo reglamentavimo srityje ES jau tris dešimtmečius žengia Jungtinėms Valstijoms pavymui, todėl ir problemos, kylančios čia dėl tiriamųjų vaistų prieinamumo, ir jų sprendimai neabejotinai yra svarbūs ES valstybių narių sveikatos ir teisės sistemoms. *Abigail* byla, kurioje, galima teigti, nubrėžta tam tikra paciento autonomijos riba renkantis gydymą, galėtų tapti argumentu, jei panaši dilema kiltų kurioje nors iš ES valstybių narių. Negalima atmesti tikimybės, jog nevie-nodos teisės normos ES šalyse, tiriamųjų vaistų prieinamumo sunkiai sergantiems pa-cientams srityje ir retoms ligoms gydyti skirtų tiriamųjų vaistų prieinamumo po II ar III klinikinių tyrimų fazės reglamentavimo spragos atskirose valstybėse narėse gali sukelti pacientų ir gydytojų nepasitenkinimą, kaip kad neseniai buvo nutikę JAV. Manytina, jog pacientų skundai, atsižvelgiant į konkrečias bylos aplinkybes, galėtų būti tiriami net-gi pagal Europos žmogaus teisių ir pagrindinių laisvių konvencijos 8 str. dėl privataus gyvenimo gerbimo ar 3 str. dėl žiauraus ar žeminančio orumą elgesio draudimo⁵⁷. Todėl ES valstybės narės, kurios dar nėra įteisinusios tokių išimčių, tarp jų ir Lietuva, galėtų ir turėtų pasinaudoti ne tik kitų valstybių ES narių, bet ir JAV patirtimi, kurioje nuo 2009 m. spalio 13 d., priėmus atitinkamas pataisas, galioja šiuo metu pažangiausia tira-mųjų vaistų prieinamumo retomis ligomis sergantiems pacientams sistema⁵⁸.

57 Europos žmogaus teisių ir pagrindinių laisvių apsaugos konvencija. *Valstybės žinios*. 1995, Nr. 40-987.

58 2009 m. rugpjūtį Maisto ir vaistų administracijos priimtos pataisos aiškiau nei 1987 m. versija nusako procedūrą ir kriterijus, kuriais reikia vadovautis, jei pacientams reikalingi tiriamieji vaistai. Nurodyta, kad tokių vaistų nauda pacientams turi būti didesnė nei rizika, galinti kilti dėl jų ligos ar būklės (pvz., ilgesnės gyvenimo trukmės sergant atitinkama sunkia, reta liga ar būkle tikimybė); pavieniai pacientai turi neturėti galimybės gauti tokių vaistų dalyvaudami klinikiniame tyrime ar labdaringose to vaisto prieinamumo programose; išplėstas vaistų prieinamumas neturi trikdyti tolesnių to vaisto tyrimų, t. y. ir toliau turi būti vykdomi to vaisto klinikiniai tyrimai, siekiant įrodyti jo saugumą, veiksmingumą.

Paraišką dėl pavienio paciento gydymo nauju tiriamuoju vaistu reikalingumo suteikta teisė pateikti arba vaisto rėmėjui, arba gydytojui. Kaip „saugikliai“ priimtos nuostatos: kad pavienio paciento gydymas nauju tiriamuoju vaistu apribojamas vienu gydymo kursu nustatytam laikotarpiui, iki tol, kol JAV Maisto ir vaistų administracija suteiks leidimą didesniam gydymo kursų skaičiui ar ilgalaikiam gydymui; kad baigus gydymą JAV Maisto ir vaistų administracijai reikia pateikti išvadas apie gydymo rezultatus bei šalutinį vaisto poveikį; kad vaisto rėmėjas gali būti paprašytas stebėti pavienio paciento gydymo eigą, jei gydymas trunka ilgesnį laiką.

JAV Maisto ir vaistų administracija numatė ir aplinkybes, kurioms esant vaisto gamintojas gali imti mokesčių iš paciento už tiriamąjį vaistą pacientui dalyvaujant klinikiniame tyrime ar išplėsto prieinamumo programoje, ir nurodė, kad vaisto gamintojas gali prašyti, kad pacientas apmokėtų vaisto gamybos išlaidas ir išplėsto prieinamumo programos administravimo išlaidas. Šiomis nuostatomis farmacijos įmonėms kartu užkirstas kelias pasipelnyti iš eksperimentinių vaistų pardavimo. [Expanded access investigational drugs for treatment use. *Final Rules. Federal Register*. 2009, 74(155); Charging for investigational drugs under and investigational new drug application; *Final Rules. Federal Register* [interaktyvus]. 2009, 74(155) [žiūrėta 2010-04-04]. <<http://edocket.access.gpo.gov/2009/pdf/E9-19004.pdf>>; FDA expands access to investigational drugs. *FDA Consumer Health Information* [interaktyvus]. Agust 2009 [žiūrėta 2010-04-13]. <<http://www.fda.gov/downloads/ForConsumers/ConsumerUpdates/UCM177001.pdf>>].

Išvados

1. Pacientai, kenčiantys nuo retos, sunkios ar (ir) gyvybei gresiančios ligos, kuriai gydyti nėra tinkamų registruotų vaistų, teoriškai gali tikėtis gydymo galimai veiksmingu tiriamuoju vaistu (jei toks atitinkamai ligai jau kuriamas) pasibaigus jo II arba III klinikinių tyrimų fazei. Galimi du būdai: a) pavieniam pacientui, kuris negali dalyvauti tokio vaistinio preparato klinikiniame tyrime, individuali gydymo juo programa skiriama pacientą gydančio gydytojo iniciatyva; b) pacientų grupėms taikomos „paskutinės vilties/labdaringos“ programos farmacijos įmonių iniciatyva. ES teisėje šios galimybės reglamentuotos atitinkamai 2001/83/EB direktyvos 5 str. 1 dalimi (netiesiogiai) ir 726/2004/EB reglamento 83 straipsniu. Viena iš esminių sąlygų, kad pacientai realiai galėtų šiais būdais pasinaudoti, yra ta, kad atitinkamos normos būtų įdiegtos paciento gyvenamosios šalies nacionalinėje teisėje. Kol kas tiriamųjų vaistų prieinamumą įteisinančias nuostatas yra priėmusios ne visos ES šalys, todėl retomis ligomis sergančių pacientų galimybės pasinaudoti „paskutinės vilties“ vaistais yra nevienodos.

2. Lietuvoje įteisinta galimybė išgyti tik šalyje neregistruotų (vardinių) vaistų. Tiriamųjų vaistų prieinamumas ne klinikinių tyrimų tikslais nereglamentuotas. Tai, atsižvelgiant į pacientų lūkesčius bei interesus dėl vaistų retoms ligoms gydyti prieinamumo, reikėtų padaryti, priimant atitinkamas pataisas LR farmacijos įstatyme ir įstatymo įgyvendinamaisiais teisės aktais nustatant gydymo neregistruotais vaistais sąlygas bei kriterijus.

3. Išimčių dėl tiriamųjų vaistų prieinamumo (ne klinikinių tyrimų metu) retų ligų atvejais įteisinimas reiškia ir tam tikrų asmens autonomijos principo ribų persvarstymą. *Abigail* bylos eiga parodė, jog asmens autonomijos sveikatos priežiūroje principas teoriškai nėra iki galo apibrėžtas: jis gali būti suvokiamas kaip asmens valios manifestacija, informuotam pacientui suteikiant laisvę priimti riziką vartoti vaistą po II ir (arba) III klinikinių tyrimų fazės, kita vertus, kaip gynyba (gydytojo; farmacijos įmonės; kompetentingos institucijos, išdavusios leidimą gydytis tiriamuoju vaistu) nuo kaltinimo deliktu – vienos iš priežasčių, kodėl terminalinės būklės pacientams neleidžiama teisėtai išgyti vaistų po I klinikinių tyrimų fazės. *Abigail* bylos baigtis suteikė ir tam tikro aiškumo – net ribinėje sveikatai situacijoje vaistų po I klinikinių tyrimų fazės legalus įsigijimas asmens autonomijos principu negali būti pagrįžiamas.

4. ES narėse pastebimi skirtumai reglamentuojant neregistruotų vaistų prieinamumą taip pat aiškintini asmens autonomijos principo sveikatos priežiūroje ribų neapibrėžtumu. Dėl nevienodo tiriamųjų vaistų prieinamumo retomis ligomis sergantiems pacientams ES narių sveikatos ir teisės sistemos gali susidurti su iššūkiais. Vieninga valstybių ES narių pozicija ir priemonės dėl tiriamųjų vaistų prieinamumo retų ligų atvejais sudarytų lygesnes skirtingose valstybėse gyvenančių retomis ligomis sergančių pacientų galimybes gydytis tokiais vaistais ir padėtų geriau užtikrinti šių pacientų teisę į sveikatos priežiūrą.

Literatūra

- Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 445 F.3d 470 (D.C. Cir. 2006), *rev'd*, 495 F.3d 695 (D.C. Cir 2007) (en banc); 495 F.3d 695, 697 (D.C. Cir. 2007) (en banc), *cert. denied*, 128 S. Ct. 1069 (2008).
- Bedell, E. Global access to medicinal products: compassionate use procedures. *Regulatory Focus*. January 2010.
- Bender, S.; Flicker, L.; Rhodes, R. Access for the terminally ill to experimental medical innovations: a three-pronged threat. *The American Journal of Bioethics*. 2007, 7: 3–6.
- Caplan, A. Is it sound public policy to let the terminally ill access experimental medical innovations? *The American Journal of Bioethics*. 2007, 7: 1–3.
- Chin, B. R. One last chance: *Abigail Alliance v. von Eschenbach* and the right to access experimental drugs. Note. University of California, Davis. 2008, 41: 1969–2000.
- Compassionate use permit for experimental treatment with medicinal products [interaktyvus] [žiūrėta 2010-03-05]. <<http://www.dkma.dk/1024/visUKLSArtikel.asp?artikelID=4619>>.
- Costille, M. B. Les Medicaments Orphelins a l'heure de l'Europe: une longue histoire: these pour le diplome d'etat docteur en pharmacie. Lyon: Universite Claude Bernard – Lyon I, Faculte de pharmacie, Institut des sciences pharmaceutiques et biologiques, 2000.
- Council Directive 89/341/EEC of 3 May 1989 amending Directives 65/65/EEC, 75/318/EEC and 75/319/EEC on the approximation of provisions laid down by law, regulation or administrative action relating to proprietary medicinal products. [1989] OJ L 142.
- De Varax, A.; Letellier, M.; Börtlein, G. Overview of the conditions for marketing orphan drugs in Europe. Paris: Alcimed, 2005.
- Di Masi, J.; Hansen, R. W.; Grabowski, H. G. The price of innovation: new estimates of drug development costs. *Journal of Health Economics*. 2003, 22: 151–185.
- 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. [2001] OJ L 311.
- Directive 2001/20/EC of the European Parliament and of the Council of 4 April 2001 on the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use. [2001] OJ L 121.
- 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. [2004] OJ L 136.
- Expanded access investigational drugs for treatment use; Final Rules. *Federal Register*. 2009, 74(155): 40944 [žiūrėta 2010-03-04]. <<http://edocket.access.gpo.gov/2009/pdf/E9-19005.pdf>>.
- Europos žmogaus teisių ir pagrindinių laisvių apsaugos konvencija. *Valstybės žinios*. 1995, Nr.40-987.
- Europos Parlamento ir Tarybos (EB) 1999 m. gruodžio 16 d. reglamentas Nr. 141/2000 „Dėl retųjų vaistų“. [2000] OL L 18/1.
- FDA expands access to investigational drugs. *FDA Consumer Health Information* [interaktyvus]. August 2009 [žiūrėta 2010-04-13]. <<http://www.fda.gov/downloads/ForConsumers/ConsumerUpdates/UCM177001.pdf>>.
- Griffin, J. P. *The textbook of pharmaceutical medicine*. 6th ed. London: Wiley-Blackwell, 2009.
- Guideline on compassionate use of medicinal products, pursuant to article 83 of regulation (EC) No 726/2004. London: EMEA, 19 July 2007 [interaktyvus] [žiūrėta 2010-03-05].

- <<http://www.emea.europa.eu/pdfs/human/euleg/2717006enfin.pdf>>.
- Hill, J. The constitutional right to make medical treatment decisions: a tale of two doctrines. *Texas Law Review*. 2007, 86(2): 277–345.
- Investigational New Drug Application, 21 C.F.R. § 312.34(b)(1)(i)-(iv); Expanded access investigational drugs for treatment use; Final Rules. *Federal Register* [interaktyvus]. 2009, 74(155) [žiūrėta 2010-02-14]. <<http://edocket.access.gpo.gov/2009/pdf/E9-19005.pdf>>.
- Juškevičius, J. Teisės principų taikymas norminant sveikatos priežiūros sritį. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 7–17.
- Kutkauskienė, J.; Rudzinskas, A. Informuoto paciento sutikimas: pacientui teikiamos informacijos teisinio įvertinimo problemos. *Socialinių mokslų studijos*. 2009, 2(2): 321–338.
- Lietuvos Respublikos sveikatos sistemos įstatymas. *Valstybės žinios*. 1994, Nr. 63-1231; 1998, Nr. 112-3099; 2000, Nr. 92-2876; 2004, Nr. 68-2367, 2372; Nr. 171-6309; 2007, Nr. 64-2456; 2008, Nr. 50-1850.
- Lietuvos Respublikos farmacijos įstatymas. *Valstybės žinios*. 2006, Nr. 78-3056.
- Lietuvos Respublikos 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 išsigijimo taisyklių patvirtinimo pakeitimo“. *Valstybės žinios*. 2007, Nr. 42-1598.
- Lietuvos Respublikos sveikatos apsaugos ministro 2007 m. gruodžio 29 d. įsakymas Nr. V-1080 „Dėl Neregistruotų būtinųjų vaistinių preparatų tiekimo rinkai taisyklių patvirtinimo“. *Valstybės žinios*. 2008, Nr. 4-140.
- Notice to applicants for Temporary Authorisation for Use (ATU). Afssaps, November 2007 [interaktyvus]. [žiūrėta 2010-02-28]. <http://www.afssaps.fr/var/afssaps_site/storage/original/application/a211ad98e4e616212ae2d622f8f05488.pdf>.
- Orphan Drug Act of 1983. *Pub. L.* 1983, No. 97-414, 96 Stat. 2094.
- 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. [2004] OJ L 136.
- Romano, L. V.; Jacobson, P. D. Patient access to unapproved therapies: the leading edge of medicine and law. *Journal of Health & Life Sciences Law* [interaktyvus]. 2009, 2(2): 47–72 [žiūrėta 2010-02-28]. <http://www.hallrender.com/library/articles/497/1226_001a.pdf>.
- Stakišaitis, D.; Špokienė, I.; Juškevičius, J.; Valuckas, K. V.; Baiardi, P. Access to information supporting availability of medicines for patients suffering from rare diseases looking for possible treatments: the EuOrphan Service]. *Medicina*. 2007, 43(6): 441–446.
- Špokienė, I. Retųjų vaistų prieinamumo problema įgyvendinant teisę į sveikatos priežiūrą. *Jurisprudencija*. 2008, 12(114): 64–72.
- Tarybos išvados dėl Europos Sąjungos sveikatos sistemų bendrų vertybių ir principų. [2006] OL C 146/1.
- Tumienė, B.; Kučinskas, V. Retosios ligos Lietuvoje ir Europoje. *Gydymo menas*. 2008, 11/12: 25–27.
- Wagstaff, A. Dying for a lack of compassion? *Cancer World* [interaktyvus]. November/December, 2007.
- Vale, J. Expanding expanded access: how the Food and Drug Administration can achieve better access to experimental drugs for seriously ill patients. *The Georgetown Law Journal* 2008, 96: 2143–2175.
- Valentas, A. Rusiškoji ruletė farmakoterapijoje. *Lietuvos sveikata*. 2008-12-05.

LEGAL REGULATION OF ACCESS TO UNAUTHORISED MEDICINES FOR PATIENTS SUFFERING FROM RARE DISEASES

Indrė Špokienė

Mykolas Romeris University, Lithuania

Summary. *In the European Union (EU), medicines can be marketed only after they have been authorised. However, some medicines need to be accessible before they have been authorised. This especially applies to medicines, which are expected to benefit severely ill patients who cannot be treated with authorised medicines or who have a disease for which no medicine has been authorised yet. The treatment with unauthorised medicines may be the last chance for patients who suffer from rare diseases and cannot enrol in an ongoing clinical trial or be treated with a potentially life-saving medicine.*

The aim of this article is to analyse the aspects of the legal regulation of access to unauthorised medicines for such patients. The fact that 27–36 million patients with rare diseases live in the EU and there are approximately 200,000–240,000 of such patients in Lithuania underlines the relevance of the study.

The first part of the article analyses the EU legal provisions, which govern the so called “named patient” programmes for single patient use under the Article 5 of Directive 2001/83/EC (ex Article 3.1 of Directive 1989/341/EEC) and “compassionate use” programmes for a group of patients set out in the Article 83 of Regulation (EC) No 726/2004. Upon the introduction of these legal exceptions into the national law, medicines intended for the treatment of rare diseases can reach patients more quickly and easily. The national legal regulation of patient access to unauthorised medicines differs by country, because EC regulations define only the general principles. Therefore, access to new investigational medicines depends on the country where the patient resides. This means that patients are not always able to access medicines that would be of benefit to them. As a consequence, their lives can be endangered. Such a situation is inequitable.

The second part of the article reviews the legal framework of access to unauthorised medicines in Lithuania. Patients are able to access medicines approved in other countries for a genuine, unmet medical need before the drugs are licensed in Lithuania. The treatment, however, with investigational drugs for individual patients and for groups of patients who are unable to participate in clinical trials and suffer from rare, life-threatening diseases is not regulated. According to the author, the Law on Pharmacy of the Republic of Lithuania must be supplemented with such important exceptions.

The third part of the article addresses the question why patients have no access to potentially life saving post-Phase I investigational new drugs. The article considers the margins of personal autonomy principle in the light of the problem of accessibility to unapproved medicinal products intended for treatment of rare diseases. In the summary of the findings of the article, the author emphasize the need for joint approach of EU Member States to availability of unauthorised medicinal products for orphan patients.

Keywords: *legal regulation of unauthorised medicines, investigational drugs, access to medicines, patients suffering from rare diseases, “compassionate use” programmes.*

Indrė Špokienė, Mykolo Romerio universiteto Teisės fakulteto Bioteisės katedros lektorė, daktarė. Mokslinių tyrimų kryptis: sveikatos teisės teorinės ir praktinės problemos.

Indrė Špokienė, Mykolas Romeris University, Faculty of Law, Department of Biolaw, lecturer, doctor. Research interests: theoretical and practical problems of health law.