

Μελέτη Αποτυπώματος Άρθρου 12 (Σ.Η.Π.), Επιπτώσεις στις Σπάνιες Παθήσεις, και Προτάσεις Βελτιώσεων

Εκτελεστική Σύνοψη

Η Ένωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος (Ε.Σ.Α.Ε.) αποτελεί την εθνική ομπρέλα των Οργανώσεων Ασθενών με Σπάνια Νοσήματα στην Ελλάδα, ως Σωματείο μη κερδοσκοπικού χαρακτήρα, με πανελλαδική εμβέλεια και έδρα την Αθήνα.

Σήμερα, συγκεντρώνει 40 Συλλόγους, Σωματεία και ΑΜΚΕ, εκπροσωπώντας συλλογικά περισσότερους από 500.000 ασθενείς και τις οικογένειές τους.

Ως ο μεγαλύτερος θεσμικός φορέας εκπροσώπησης των Σπανίων Ασθενών στη χώρα, η Ε.Σ.Α.Ε. συμμετέχει ενεργά στη διαμόρφωση πολιτικών υγείας, μέσω της παρουσίας της σε κρίσιμες Επιτροπές και Ομάδες Εργασίας του Υπουργείου Υγείας, όπως η Επιτροπή Σπανίων Νοσημάτων, η Ομάδα Εργασίας Μητρών και η Επιτροπή Φαρμακευτικής Δαπάνης, Θεραπευτικών Πρωτοκόλλων και Μητρών.

Παράλληλα, αποτελεί τον επίσημο εκπρόσωπο της Ελλάδας στο ευρωπαϊκό και διεθνές οικοσύστημα Σπανίων Παθήσεων, ως μέλος του Παγκόσμιου Οργανισμού Σπανίων Παθήσεων (RDI) και του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Σπανίων Παθήσεων (EURORDIS).

Τα Σπάνια Νοσήματα σε αριθμούς

Πάνω από 500.000 Ασθενείς στην Ελλάδα ζουν με κάποιο από τα περισσότερα από 6.000 Σπάνια Νοσήματα που έχουν καταγραφεί διεθνώς έως σήμερα, με το 50% εξ αυτών να παραμένουν αδιάγνωστοι.

Ενώ μόνο το 5% των Σπανίων Νοσημάτων διαθέτει εγκεκριμένη θεραπεία,

Το 50% των Ασθενών είναι παιδιά.

Το 30% εξ αυτών των παιδιών δεν φτάνει στην ηλικία των 5 ετών.

Το 35% των θανάτων σε βρεφική ηλικία σχετίζεται με Σπάνιες Παθήσεις.

με αποτέλεσμα να χάνονται 1.000 παιδιά τον χρόνο από Σπάνια Νοσήματα.

Η παρούσα ανάλυση συνθέτει τα βασικά σημεία του Ερευνητικού Υπομνήματος της Ένωσης Σπανίων Ασθενών Ελλάδος, όπως κατατέθηκαν στη δημόσια διαβούλευση, με στόχο τη διαμόρφωση ενός τεκμηριωμένου και θεσμικά συνεκτικού κειμένου προς το Υπουργείο Υγείας και τους Βουλευτές.

Αφετηρία της προσέγγισης αποτελεί η συμβολή σε έναν εποικοδομητικό διάλογο, βασισμένο σε δεδομένα και στοιχεία πεδίου, με ταυτόχρονη αναγνώριση της ευαισθησίας και των πρωτοβουλιών του Υπουργείου για τα Σπάνια Νοσήματα, καθώς και της ευρύτερης προσπάθειας εκσυγχρονισμού του Συστήματος Υγείας, ενίσχυσης της διαφάνειας και θέσπισης σαφών κανόνων στη φαρμακευτική πρόσβαση.

Ωστόσο, ακριβώς επειδή ο στόχος είναι ένα σύγχρονο και δίκαιο σύστημα, το Άρθρο 12 δεν μπορεί να στηρίζεται σε ένα εξωτερικό, οριζόντιο κριτήριο που λειτουργεί ως απόλυτο φίλτρο για τις πιο ευαίσθητες κατηγορίες ασθενών.

Το βασικό επιστημονικό συμπέρασμα είναι σαφές: στα Σπάνια Νοσήματα, η «εξαίρεση» δεν αποτελεί παρέκκλιση από τον κανόνα· συχνά συνιστά την ίδια την κλινική πραγματικότητα.

Η τελική εκδοχή του Άρθρου 12 εισάγει νέες εξαιρέσεις (γεωγραφική συγκέντρωση νόσων, παιδιατρικές επιθετικές νόσοι, πολύ σπάνιες παθήσεις) και μια μεταβατική διάταξη (Άρθρο 90), ενισχύοντας την προστασία ορισμένων ομάδων ασθενών. Ωστόσο, το βασικό κριτήριο 5/11 (δύο ομάδες φαρμάκων πρέπει να αποζημιώνονται σε τουλάχιστον 5 από τις 11 χώρες αναφοράς) παραμένει αμετάβλητο. Αυτό σημαίνει ότι ασθενείς με νόσους που αφορούν μοριακά καθορισμένους υποπληθυσμούς, πολύ σπάνιες μεταλλάξεις ή επιθετικές ενήλικες μορφές νόσων παραμένουν εκτός πρόσβασης, εκτός εάν ενεργοποιηθεί η **έκτακτη διαδικασία**.

Αναλυτικά:

- **Κύριες αλλαγές:** Προστέθηκαν εξαιρέσεις για ασθένειες με τοπική ή υψηλή συχνότητα στην Ελλάδα, παιδιατρικές απειλητικές νόσους και παθήσεις με επίπτωση <1/50.000. Εισάγεται πλέον η δυνατότητα αιτιολογημένης «έκτακτης έγκρισης» από τον Υπουργό, με σύμφωνη γνώμη επιτροπής (π.χ. για A.M.K.A. εκτός E.O.Π.Υ.Υ.).
- **Επικίνδυνες κατηγορίες:** Παρά την αποτελεσματική εξαίρεση ορισμένων κατηγοριών, όπως οι πολύ σπάνιες παθήσεις και οι παιδιατρικές απειλητικές νόσοι, πολλά σενάρια εξακολουθούν να παραμένουν αποκλεισμένα. Ενδεικτικά, εξακολουθούν να αποκλείονται υποπληθυσμοί ανήλικων και ενήλικων σπάνιων νόσων (που δεν καλύπτονται από την εξαίρεση 1/50.000), καθώς συγκεκριμένες μεταλλάξεις που εντοπίζονται σε σπάνιες νόσους απαιτούν εξειδικευμένες

θεραπείες μόνο για αυτούς τους υποπληθυσμούς (**θεραπεύσιμο υποπληθυσμό**). Το ίδιο ισχύει και για φάρμακα μικρών εταιρειών χωρίς ευρεία ευρωπαϊκή παρουσία, καθώς και για φάρμακα που ήδη χορηγούνται μέσω των προγραμμάτων compassionate use σε άλλες χώρες κ.ά. (βλ. πίνακα παρακάτω).

- **Ευρωπαϊκή εμπειρία:** Το κριτήριο «αποζημιώνονται σε ≥ 5 χώρες» βασίζεται στις μεγαλύτερες αγορές της Δυτικής Ευρώπης (π.χ. Γερμανία, Ιταλία), οι οποίες παρέχουν γρήγορη πρόσβαση. Η αντικατάστασή τους με Πολωνία, Τσεχία ή Σλοβενία επιβραδύνει σημαντικά την εκτίμηση πρόσβασης. Για παράδειγμα, ο μέσος χρόνος έως δημόσια διαθεσιμότητα όλων των φαρμάκων είναι περίπου 128 ημέρες στη Γερμανία, ενώ στην Πολωνία φτάνει τις 723 ημέρες. Αντίστοιχα, η διαθεσιμότητα ορφανών φαρμάκων πλήρους αποζημίωσης στην Πολωνία (~39%) και στην Τσεχία (~61%) είναι πολύ χαμηλότερη σε σύγκριση με την Ιταλία (~83%) ή την Αυστρία (~82%).
- **Κενά σε ευρωπαϊκά συστήματα πρόσβασης:** Οι μηχανισμοί compassionate use/named patient (π.χ. στη Γερμανία, Ολλανδία) ή early access παρέχουν προηγμένη πρόσβαση πριν από τη συνήθη αποζημίωση, αλλά δεν μετρούν στο ελληνικό κριτήριο. Στη Γαλλία, για παράδειγμα, το French Early Access Program (AAP) επιτρέπει τη χορήγηση φαρμάκων, πριν από την τιμολόγηση με πλήρη κάλυψη, ωστόσο, αυτή η «πρώρη πρόσβαση» δεν αναγνωρίζεται στα 5/11. Κατά συνέπεια, φάρμακα που ήδη διατίθενται μέσω ειδικών προγραμμάτων σε άλλες χώρες (π.χ. Γαλλία, Ισπανία) παραμένουν «αόρατα» ως προς το κριτήριο.
- **Προτεινόμενες παρεμβάσεις:** Απαιτούνται διορθώσεις για να μην αποκλείονται ασθενείς: (α) αναγνώριση compassionate/named patient/πρώιμης πρόσβασης ως αποζημίωση για το 5/11, (β) μέτρηση επίπτωσης στο θεραπεύσιμο υποπληθυσμό (γονιδιακά/μοριακά καθορισμένο), (γ) προστασία μεταβατικά των ενηλικιών και για σοβαρές ενήλικες μορφές. Επίσης, η λίστα αναφοράς χωρών πρέπει να επανεξεταστεί – αντί εκ βιασμού (με χαρακτηριστικά οικονομοτεχνικά) να εισαχθούν αντικειμενικοί δείκτες επιλογής.
- **Χρονοδιάγραμμα καθυστερήσεων:** Αν αντικαθιστώντας τις Γερμανία/Ιταλία/Αυστρία (μέσοι χρόνοι ~128, 439, 309 ημέρες) με Πολωνία/Τσεχία/Σλοβενία (~723, 581, 610 μέσοι) το ελληνικό κριτήριο επιβάλλονταν, ο μέσος χρόνος έως τυπική αποζημίωση θα αυξάνονταν περίπου κατά **300–400 ημέρες** (βλ. διάγραμμα). Με άλλα λόγια, υιοθέτηση των «βραδύτερων» αγορών έχει σημαντική επίπτωση στην πρόσβαση. Αυτά τα στοιχεία προέρχονται από τον ευρωπαϊκό δείκτη Patients W.A.I.T. (μεθοδολογία: εμφάνιση προϊόντων στις εθνικές θετικές λίστες).

Οι εν λόγω επισημάνσεις βασίζονται στο τελικό κείμενο νομοσχεδίου (Άρθρο 12 ν.4512/2018 όπως τροποποιήθηκε) και στις δημόσιες συμβολές (διαβούλευση Υπ.Υγ. και Ε.Σ.Α.Ε.). Η αναφορά σε στατιστικές EFPIA (Patients W.A.I.T.) και ευρωπαϊκές πρακτικές καθιστά σαφές ότι η απόδοση και η ταχύτητα πρόσβασης διαφέρουν πολύ μεταξύ των χωρών, επηρεάζοντας ουσιαστικά το αποτέλεσμα του κριτηρίου 5/11.

1. Νομοτεχνική σύγκριση «παλιού» vs «νέου» Άρθρου 12

Τα δημόσια διαθέσιμα κείμενα αναφοράς περιλαμβάνουν το πρώτο σχέδιο νόμου στη διαβούλευση (με 5 από 11 χώρες: Αυστρία, Γερμανία, Ιταλία) καθώς και τα τελικά κείμενα όπως ψηφίστηκαν. Ακολουθεί συνοπτικός πίνακας με τις κυριότερες αλλαγές:

Ρήτρα / παράγραφος	Προηγούμενο κείμενο (Διαβούλευση)	Νέα διατύπωση (κατατεθέν)	Πρακτικές επιπτώσεις	Προτεινόμενο κείμενο διόρθωσης
Δείκτης 5/11 φαρμάκων μη αποζημιούμενων εγκεκριμένων ενδείξεων, με υποχρέωση αποζημίωσης σε 5 χώρες (παρ.1β).	5 κράτη: Αυστρία, Βέλγιο, Γαλλία, Γερμανία, Δανία , Ισπανία, Ολλανδία, Ιταλία , Πορτογαλία, Σουηδία, Φινλανδία. («5/11»)	Προστέθηκαν χώρες Πολωνία, Σλοβενία, Τσεχία , αφαιρέθηκαν Αυστρία, Γερμανία, Ιταλία.	Αποδυνάμωση κριτηρίου: Οι εισαγόμενες χώρες έχουν πολύ μεγαλύτερους χρόνους αναμονής (μέσοι χρόνοι ~723,581,610 ημέρες) και χαμηλότερη διαθεσιμότητα ορφανών, καθυστερώντας τεχνητά πρόσβαση. Ασθενείς σε γρήγορες αγορές μένουν βέβαιο εκτός «5/11»	Ιδεατή διόρθωση: Επαναφορά Γερμανίας/Αυστρίας/Ιταλίας στη λίστα αναφοράς ή αντικατάσταση με κριτήρια (π.χ. χρόνος μέσης διάθεσης, τεχνολογική ωριμότητα) αντί αμετάβλητης λίστας.
Εξαίρεση γεωγραφικής συγκέντρωσης/υψηλής επίπτωσης στον ελληνικό πληθυσμό. (νέο)	–	Προστέθηκε ότι φάρμακα για δείκτες νόσων με αποδεδειγμένη γεωγραφική/γενετική συγκέντρωση στην Ελλάδα (με επίσημα	Θεμελιώνει εξαιρέσεις π.χ. για μεσογειακές αναιμίες ή άλλες ενδημικές νόσους. Απαιτεί όμως αυστηρές αποδείξεις (εθνικά μητρώα, δημοσιευμένα	Καθώς νόμος περί 5/11 δεν όριζε τέτοιο κριτήριο: Σαφέστερη γλώσσα ώστε να μετρά η εγχώρια ύπαρξη νοσημάτων/μεταλλάξεων. (π.χ. «και ιδίως στις προαναφερθείσες χώρες περιλαμβάνονται και οι ασθενείς που φέρουν τις αντίστοιχες συχνές ελληνικές

		επιδημιολογικά στοιχεία ή επιστ. δημοσιεύσεις) εξαιρούνται από κριτήριο 5/11.	στοιχεία, γνώμη εταιρειών), που πιθανώς καθυστερούν την εφαρμογή.	γονιδιακές/γεωγραφικές μεταλλάξεις».) Επέκταση: Ο όρος «παιδιατρική νόσος» να θεωρείται εφαρμοστέος και κατά την έναρξη θεραπείας (π.χ. ασθενής ξεκίνησε ως παιδί) ή «ετεροχρονικά». Επίσης, ίσως ορισμός «σοβαρή επιθετική νόσος οποιασδήποτε ηλικίας» (βλ. πιο κάτω).
Ρήτρα / παράγραφος	Προηγούμενο κείμενο (Διαβούλευση)	Νέα διατύπωση (κατατεθέν)	Πρακτικές επιπτώσεις	Προτεινόμενο κείμενο διόρθωσης
Εξαίρεση παιδιατρικών απειλητικών νόσων. (νέο)	–	Προστέθηκε ειδική εξαίρεση για φάρμακα σε παιδιατρικές νόσους ζωής απειλητικές ή με κινδύνους σοβαρής βλάβης.	Μερική προστασία: Καλύπτει βαριά αρρώστιες σε παιδιά που συνήθως χρειάζονται «έκτακτη» πρόσβαση. Δεν καλύπτει <i>ενήλικες</i> με αντίστοιχα σοβαρά σύνδρομα. Ασθενείς με ενηλίκους ή παρυπτατικές ενδείξεις μένουν εκτός.	<i>Επέκταση:</i> Ο όρος «παιδιατρική νόσος» να θεωρείται εφαρμοστέος και κατά την έναρξη θεραπείας (π.χ. ασθενής ξεκίνησε ως παιδί) ή «ετεροχρονικά». Επίσης, ίσως ορισμός «σοβαρή επιθετική νόσος οποιασδήποτε ηλικίας» (βλ. πιο κάτω).
Όριο επίπτωσης 1/50.000. (νέο)	–	Προστέθηκε ότι φάρμακα για πάθηση με επίπτωση <1/50.000 (πολύ-υπερσπία) εξαιρούνται από 5/11.	Προστασία ορισμένη: Αν λογίζεται νόσος <1/50.000, όλο το φάρμακο εξαιρείται. Ωστόσο, στην πράξη «νόσος» ορίζεται ευρέως. Εάν π.χ.	<i>Διόρθωση:</i> Να λογίζεται επίπτωση όχι σε όλη τη νόσο αλλά στον θεραπεύσιμο υποπληθυσμό (π.χ. με συγκεκριμένη μετάλλαξη ή δείκτη). Προτεινόμενο: «Ως επίπτωση λαμβάνεται ο αριθμός ασθενών που αντιστοιχούν στην ένδειξη ή στο υποομάδα βάσει

			ολόκληρη νόσος έχει μεγαλύτερη επίπτωση αλλά μικρός υποπληθυσμός θεραπεύεται με το φάρμακο, κανένα κέρδος – θα μετράει η συνολική επίπτωση της νόσου.	βιοδείκτη, όχι γενικά ο πληθυσμός όλης της νόσου.»
Ρήτρα / παράγραφος	Προηγούμενο κείμενο (Διαβούλευση)	Νέα διατύπωση (κατατεθέν)	Πρακτικές επιπτώσεις	Προτεινόμενο κείμενο διόρθωσης
Κατεπείγουσα προσφυγή Υπουργού. (νέο)	–	Πλέον επιτρέπεται στον ιατρό να ζητήσει “αιτιολογημένη αίτηση στον Υπουργό” για φάρμακο που δεν πληροί τα κριτήρια αλλά αφορά απειλητική παιδιατρική ή σοβαρή βλάβη· με γνώμη επιτροπής (άρθρο 265Α).	Επείγον μηχανισμός: Θέσπιση ρητού δρόμου παράκαμψης (ministerial override). Ωστόσο, πρόκειται για εξαίρεση <i>κατόπιν αιτήματος</i> και κρίσης Υπουργού, όχι αυτόματη. Δεν εγγυάται αμεσότητα – η απόφαση εξαρτάται από γραφειοκρατικές διαδικασίες.	Ενίσχυση: Προδιαγραφή διαδικασίας και προθεσμίας (π.χ. ελάχιστο δείγμα, 48ώρη ειδοποίηση, υποχρέωση απάντησης εντός 5 εργάσιμων ημερών από Γνωμοδότηση) ώστε ο Χρόνος απόκρισης να είναι σαφής.
Κατάλογος Μη Φαρμάκων για μη-εγκεκριμένες ενδείξεις (παρ.1γ).	Δεν υπήρχε παρόμοια ρύθμιση.	Νέος όρος: περιλαμβάνονται φάρμακα από θετικό κατάλογο για μη-εγκεκριμένες ενδείξεις, μη	Διεύρυνση ωφέλειας: Αναγνωρίζεται ρητά πρόσβαση για off-label ενδείξεις υψηλού κινδύνου. Χωρίς	– (Δεν απαιτείται διόρθωση: θετική εισήγηση.)

		αποζημιούμενες, ζητούμενα εξαίρεση για ζωής απειλή ή ανίατη βλάβη.	αυτό οι ασθενείς ογκολογίας/σπά νιων νόσων εκτός ένδειξης (π.χ. παιδιατρικοί όγκοι) θα έχαναν δικαίωμα ΣΗΠ.	
Ρήτρα / παράγραφος	Προηγούμενο κείμενο (Διαβούλευση)	Νέα διατύπωση (κατατεθέν)	Πρακτικές επιπτώσεις	Προτεινόμενο κείμενο διόρθωσης
Κατάλογος Μη Φαρμάκων για μη-αποζημιούμενες ενδείξεις (παρ.1δ).	Υπήρχε μόνο θετικό κατάλογο, δεν περιλαμβάνονταν ρητά.	Προστέθηκε: «φαρμακα στο θετικό κατάλογο, για μη-αποζημιούμενες εγκεκριμένες ενδείξεις, ζητούμενα ως εξαίρεση σε ζωής απειλή ή ανίατη βλάβη.».	Καλύπτει φάρμακα που έχουν ένδειξη στο φύλλο οδηγιών αλλά δεν αποζημιώνονται συνήθως, αν ζητούνται για απειλητικές καταστάσεις. Φορτίζει διοικητική βεβαιότητα (άρα είναι προστασία).	– (Καλός ορισμός, χωρίς διορθώσεις.)
Φάρμακα πρώιμης πρόσβασης (παρ.1ε).	–	Προστέθηκε: «φαρμακα πρώιμης πρόσβασης που δεν χορηγούνται δωρεάν και ζητείται προσωρινή ατομική άδεια ΕΟΦ».	Διευκρίνιση: Αναγνώριση προσωρινής άδειας ΕΟΦ (compassionate use) ως περίπτωση ΣΗΠ. Δεν προβλέπεται όμως πότε και πώς εισάγονται αυτά στη λίστα, ούτε πώς αθροίζονται στον δείκτη 5/11. Ουσιαστικά, συνεχίζεται η	<i>Βελτίωση:</i> Προσθέστε ρητή αναγνώριση αυτών ως «αποζημίωση» για το 5/11 (βλ. παρακάτω).

			πρακτική: προγράμματα πρώιμης πρόσβασης τρέχουν ανεξάρτητα και δεν επηρεάζουν το κριτήριο.	
--	--	--	---	--

Πίνακας 1: **Κύριες νομοτεχνικές αλλαγές (παλιό δημόσιο σχέδιο vs νέο Άρθρο 12)**. Οι «προηγούμενες φράσεις» βασίζονται στο κείμενο διαβούλευσης και δημόσιων σχολίων (όπως της Ε.Σ.Α.Ε.), ενώ οι «νέες» βασίζονται στο κατατεθέν κείμενο του νόμου (χρησιμοποιήθηκε το κείμενο που παρασχέθηκε στην ερώτηση). Οι στήλες «Πρακτικά αποτελέσματα» και «Προτεινόμενα κείμενα» περιλαμβάνουν συμπεράσματα/προτάσεις ανεξάρτητα.

Συμπερασματικά, οι κύριες βελτιώσεις περιλαμβάνουν τις εξαιρέσεις (γεωγραφικές, παιδιατρικές, υπερ-σπάνιες) και τη μεταβατική προστασία. Ωστόσο, παραμένουν σημαντικά προβλήματα που **δεν έχουν διορθωθεί**:

- Δεν αναγνωρίζεται ρητά το «named patient» ή το «early access», ή η «συμπονετική χρήση» ως πλήρης πρόσβαση σύμφωνα με το κριτήριο 5/11.
- Δεν εισάγεται διάταξη για ενήλικες με παρόμοιες σοβαρές επιπτώσεις (π.χ. σοβαρές γενετικές νόσους ενηλίκων).
- Η έννοια της «νόσου» για το 1/50.000 είναι γενική και αδικεί υποομάδες, αγνοώντας τους θεραπεύσιμους υποπληθυσμούς.
- Η χώρα-αναφορά παραμένει σταθερή χωρίς δημόσια αιτιολόγηση (βλ. επόμενη ενότητα).
- Η ρήτρα επιτάχυνσης (αιτούμενη υπουργική) είναι μια ανοιχτή διαδικασία χωρίς καθορισμένο χρόνο, και απαιτείται ένας χρονικός περιορισμός για τις επείγουσες περιπτώσεις (π.χ. 2 ημέρες).

2. Ευρωπαϊκές οδοί πρόσβασης και επιπτώσεις στο κριτήριο 5/11

Οι μηχανισμοί **compassionate use / early access** διαφέρουν ανά χώρα:

- **Γερμανία:** Υπάρχει σχέδιο «Härtefall» (συμπαράστασης) σε επίπεδο κράτους (AMHV) για ασθενείς χωρίς άλλη επιλογή, αλλά μόνο με εγκεκριμένη αίτηση από φαρμακοποιό ή ιατρό. Για ατομικές εισαγωγές, ο νόμος φαρμάκων (AMG §73(3)) επιτρέπει τη διαδικασία *named patient*. Όσον αφορά την αποζημίωση, με την ισχύ του AMNOG, **κάθε νέο φάρμακο** λαμβάνει τιμή και αποζημιώνεται από την πρώτη ημέρα λανσαρίσματος στην αγορά. Δηλαδή, τυπικά μετά την κοινοτική άδεια, εντός 6 μηνών έχει τελικό πόρισμα ωφέλειας και μετά από 6 μήνες τιμολόγηση. Συνεπώς, οι μηχανισμοί CUP/*named-patient* **δεν ισοδυναμούν** με συνήθη αποζημίωση, καθώς είναι ανεξάρτητοι από την τιμολόγηση και την εγγραφή σε λίστα.
- **Γαλλία:** Το 2012 θεσπίστηκε το σύστημα *ACCÈS PRÉCOCE (AAP)* για φάρμακα πριν την ολοκλήρωση της διαδικασίας τιμολόγησης. Για ασθενείς με σοβαρές νόσους, επιτρέπει τη χορήγηση **με άμεση έγκριση και πλήρη κάλυψη 100%** από το Εθνικό Ταμείο (CNAM). Επιπλέον, υπάρχουν *accès compassionnel* (ατομικές εγκρίσεις) και πρόγραμμα CPC (συλλογικής πρόσβασης) ακόμα και για *off-label* ενδείξεις. Σύμφωνα με το Υπουργείο Υγείας, η απόφαση AAP πρέπει να εκδοθεί **εντός 3 μηνών** από την υποβολή (πρακτικά ~15 ημέρες μετά την ολοκλήρωση του φακέλου). Ωστόσο, επίσημα, μόνο όταν ολοκληρωθεί η διαδικασία, το φάρμακο προστίθεται στον κατάλογο (TLV). Σημαντική παρατήρηση: σύμφωνα με τον δείκτη **W.A.I.T.**, στη Γαλλία οι χρόνοι «έγκρισης/τιμολόγησης» εμφανίζονται στις 597 ημέρες (μέσος όρος), αλλά αυτό περιλαμβάνει και την πρόωρη πρόσβαση. Αν θεωρήσουμε ότι τα προϊόντα AAP «διατίθενται» από την άδεια, ο μέσος χρόνος μειώνεται περίπου στις 570 ημέρες. Το κρίσιμο, όμως, είναι ότι το *AAP/AAC* **παρέχει πραγματική πρόσβαση πριν την επίσημη τιμολόγηση**, παρότι ο δείκτης 5/11 δεν το αναγνωρίζει.
- **Ιταλία:** Υπάρχει ο νόμος 648/96 (μαζική πρόωρη πρόσβαση χρηματοδοτούμενη από το Δημόσιο) για ορισμένες θεραπείες πριν την εμπορική κυκλοφορία, καθώς και το πρόγραμμα **Compassionate use** (Υπ. Απ. 7/9/2017), όπου ο φαρμακοποιός επιτρέπει εξαιρετική χορήγηση, αλλά **με δωρεάν διάθεση** (το κόστος αναλαμβάνεται από τη φαρμακευτική εταιρεία). Ο νόμος 648/96 ουσιαστικά αποζημιώνει φάρμακα που θεωρούνται σημαντικά (με βάση αξιολόγηση), οπότε λειτουργεί ως πρόωρη αποζημίωση. Συμπέρασμα: ο ένας μηχανισμός (648) παρέχει καθεστώς **επίσημης αποζημίωσης**, ενώ το **compassionate use** προσφέρει δωρεάν διάθεση.
- **Αυστρία:** Η Ομοσπονδιακή Υπηρεσία για την Ασφάλεια στην Υγειονομική Περίθαλψη (BASG) επιτρέπει **compassionate/named-patient** για φάρμακα που «υπόσχονται ότι σώζουν ζωές». Δεν υπάρχει σαφής δημόσια προθεσμία απόκρισης. Σημειωτέον, μετά την έγκριση από τον EMA, ο παραγωγός πρέπει να συζητήσει την τιμή. Συνεπώς, και σε αυτή την περίπτωση, τέτοια προγράμματα δεν ταυτίζονται με αποζημίωση, καθώς αποτελούν ρυθμιστική διευκόλυνση.
- **Βέλγιο:** Υφίσταται το *Medical Need Program (MNP)*, το οποίο περιλαμβάνει τη διαδικασία *compassionate use* (συλλογικά προγράμματα) ή *named patient* (ατομικά αιτήματα) ή πρόωμη πρόσβαση σε ονομαστική βάση. Σύμφωνα με επίσημες οδηγίες, οι εταιρείες χορηγούν ελεύθερα τα φάρμακα, με υποχρέωση

ότι οι ασθενείς εξακολουθούν να τα λαμβάνουν έως ότου υπάρξει **έγκριση τιμής και εγγραφή στο σύστημα**. Επίσης, υπάρχει η διαδικασία *Early Temporary Reimbursement* μετά από μερική ένταξη. Συνεπώς, τα προγράμματα αυτά δεν είναι κανονική αποζημίωση (η κανονική αποζημίωση από τα δημόσια ταμεία ξεκινάει μετά από διαπραγμάτευση), όμως *παρέχουν* ουσιαστική κάλυψη πριν από την οριστική τιμολόγηση.

- **Ολλανδία:** Το κύριο όχημα είναι το *Compassionate Use Program (CUP)* από το υπουργείο υγείας (CBG). Στο FAQ του CBG αναφέρεται ρητά ότι οι ασθενείς σε CUP “συνεχίζουν να έχουν πρόσβαση έως ότου υπάρξει θετική έκβαση αποζημίωσης και διάθεση στην αγορά”. Δηλαδή οι γιατροί μπορούν να χορηγούν πειραματικό φάρμακο με τρέχουσα χρηματοδότηση, *προτού τελειώσει η διαδικασία ένταξης*. Η αποζημίωση (GVS) αποφασίζεται μετά από τυπική αξιολόγηση (μέθοδοι ZiN). Συμπέρασμα: CUP/Named-patient **δεν είναι άμεση αποζημίωση**, αλλά ο ασθενής τελικά λαμβάνει κάλυψη κατά συνέπεια (μέσος χρόνος ένταξης ~459 ημέρες).
- **Δανία:** Ο Φαρμακευτικός Οργανισμός χορηγεί κατεπείγουσες άδειες (special permit) για μη εγκεκριμένα φάρμακα. Δεν υπάρχει επίσημο SLA, αλλά προτείνεται ταχεία εξέταση, ιδίως σε περιπτώσεις που απειλούν τη ζωή. Για νοσοκομειακά φάρμακα, η Κεντρική Επιτροπή Τιμολόγησης (Medicinrådet) συνήθως αποφασίζει εντός **≤16 εβδομάδων** μετά από πλήρη υποβολή φακέλου. Γενικά, οι κάτοχοι άδειας επιτρέπεται να τα χρησιμοποιούν, αλλά η συστηματική αποζημίωση ακολουθεί τη συνήθη διαδικασία.
- **Σουηδία:** Εκδίδονται **special permits** ή καρτέλες ρύθμισης χορήγησης από την αρμόδια Υπηρεσία (**Läkemedelsverket**). Η διαδικασία τιμολόγησης/αποζημίωσης γίνεται από τον **TLV** (Dental & Pharma Benefits Agency). Ο χρόνος απόφασης του TLV είναι **≤180** ημέρες για πλήρη υποβολή (όπως αναφέρεται επίσημα). Οι θεράποντες ιατροί μπορούν να συνταγογραφούν ακόμα και χωρίς δημόσια αποζημίωση (με επιβάρυνση ασθενούς ή νοσοκομείου), εφόσον έχουν άδεια από τον Ε.Ο.Φ. Σουηδίας.
- **Φινλανδία:** Ισχύει σύστημα *special permits* για εξαιρετικές περιπτώσεις από την Υπηρεσία Φαρμάκων της Φινλανδίας (**Fimea**). Ο χρόνος επεξεργασίας είναι συνήθως **≤30 ημέρες** ή και λιγότερο με επείγουσα διαδικασία. Στη συνέχεια, για μόνιμη κάλυψη, απαιτείται αξιολόγηση από το **Φαρμακο-Διοικητικό Συμβούλιο (HILA)**, με εφαρμογή εθνικών οδηγιών και επίσημη απόφαση (έναρξη από τον 2ο μήνα).
- **Σλοβενία:** Ισχύει νόμος (ZZdr-2 άρθρο 41) για special permits και compassionate use (απαραίτητο αίτημα νοσοκομείου και έγκριση από τον Ε.Ο.Φ. Σλοβενίας). Επίσημα χρονοδιαγράμματα δεν εντοπίστηκαν, αλλά πρόκειται για καθαρά εθνικό καθεστώς που δεν προσμετράται στην «κανονική» αποζημίωση.
- **Ισπανία:** Το Βασιλικό Διάταγμα 1015/2009 προβλέπει ειδική πρόσβαση για φάρμακα που είναι εγκεκριμένα σε άλλες χώρες, εκτός του SMPC. Η Ισπανική Υπηρεσία Φαρμάκων και Ιατροτεχνολογικών Προϊόντων (AEMPS) έχει διαδικασία τηλεματικής έγκρισης χωρίς καθορισμένο χρόνο SLA, με έμφαση στην εξασφάλιση ίσης πρόσβασης. Σημειώνεται ότι η μέτρηση του W.A.I.T. **δεν**

καταγράφει αυτές τις πρόωρες προσβάσεις (π.χ. προϊόντα σύμφωνα με το RD 1015/2009).

- **Πορτογαλία:** Υπάρχει νομικό πλαίσιο για *Autorização de Utilização Excepcional (Εξαιρετική Χρήση)* και εισαγωγές στόχου για ασθενείς. Δεν βρέθηκε SLA σε δημοσίως διαθέσιμο έγγραφο, αλλά μετά την έγκριση, απαιτείται κανονική αίτηση για ένταξη στο Σύστημα Αποζημίωσης.
- **Πολωνία:** Ισχύει το σύστημα «ευρείας περίθαλψης/σε ατομική βάση» (νόμος 2017): ο ασθενής μπορεί να αιτηθεί στον Ε.Ο.Φ. της Πολωνίας ειδική άδεια (μέσω γονέα ή ιατρού). Η απόφαση εκδίδεται εντός 30 ημερών. Αν κρίνεται αναγκαίο, ο Υπουργός εγκρίνει την εισαγωγή, και ο οργανισμός αποζημιώνει προσωρινά. Επίσης, ισχύει ρύθμιση έκτακτης ανάγκης (RDTL), που χρηματοδοτεί ιδιωτικές θεραπείες σε σπάνιες σοβαρές περιπτώσεις. Συνεπώς, παρά τη γραφειοκρατία, και στην Πολωνία παρέχεται πρόσβαση πριν από την «τυπική» τιμολόγηση – κάποια ρυθμιστικά μέσα εδώ **αντιστοιχούν** σε αποζημιώσεις, υπό την επιφύλαξη υπουργικής συμφωνίας.
- **Τσεχία:** Υφίσταται το «Συγκεκριμένο Θεραπευτικό Πρόγραμμα» (STP) για μη εγκεκριμένα φάρμακα (Υπουργείο Υγείας) και εξαίρεση αποζημίωσης κατά την §16 του νόμου 48/1997 (η ισχύς του απαιτεί έγκριση από τον Υπουργό μετά από γνώμη του Ε.Ο.Φ. της Τσεχίας). Η ένταξη υπό το STP παρέχει ρυθμιστική πρόσβαση, ενώ η παράλληλη «εξαιρετική αποζημίωση» της §16 μπορεί να προσφέρει αποζημίωση σε ορισμένες περιπτώσεις. Στην πράξη, παρόλο που κάποιες θεραπείες μπορεί να εγκριθούν για συγκεκριμένους ασθενείς, ο μέσος χρόνος συνήθους αποζημίωσης (W.A.I.T.) είναι υψηλός (581 ημέρες, <61% διαθεσιμότητα).

Χώρα	Εθνικοί μηχανισμοί πρόσβασης	Τυπικά χρονοδιαγράμματα	Σύγκριση με αποζημίωση	Κατάσταση πρόσβασης 5/11
Γερμανία	AMHV (<i>compassionate use</i>) & named patient (εισαγωγές). AMNOG: άμεση αποζημίωση από ημέρα κυκλοφορίας	CUP: όχι επίσημος χρόνος. AMNOG: 6+6 μήνες από EMAapproval.	Δεν είναι συνήθης αποζημίωση (εξαιρούνται από 5/11).	Όχι , το ΣΗΠ δεν αναγνωρίζει εναλλακτικές οδούς (CUP).
Γαλλία	AAP (<i>πρόωρη αμελώς χρηματοδοτούμενη πρόσβαση</i>), AAC (<i>ονομαστική</i>). Μετά, κανονική ένταξη από HAS/TLV.	AAP: έγκριση εντός ~3 μηνών , πρόσβαση πριν τιμολόγηση (100% κάλυψη). TLV: ≤180 ημέρες after full application.	AAP παρέχει πρόσβαση προ-αποζημίωση (II): δεν μετράει ως αποζημίωση για 5/11.	Όχι (AAP/AAC δεν μετράνε για 5/11, αν και χορηγείται κάλυψη).

Ιταλία	v.648/96 (αποζημίωση «πρόωρη»), <i>Compassionate use</i> (ειδική άδεια).	Δεν ορίζεται σταθερό SLA: αξιολόγηση 648 γίνεται ~4-6 μήνες.	648: ναι (επίσημη πληρωμή). Compassion: όχι (δωρεάν διευκόλυνση).	648/96: Κατ' εξαίρεση, ναι (ως αντίστοιχη πρόωρη αποζημίωση).
Αυστρία	BASG: Άδειες CUP/Named patient (no public SLA).	–	Δεν ισοδυναμεί με αποζημίωση (δωρεάν διάθεση).	Όχι (μόνο συγκεντρωτικά κοινοποιούνται).
Βέλγιο	FAMHP: MNP & named patient. Until reimbursement patients get κλειστή κάλυψη, ETR μετά εμπορική έγκριση.	Μεγάλος όγκος διαδικασιών (ETR 6+ μήνες μετά υποβολή).	CUP/MNP: δεν είναι πλήρης αποζημίωση (free supply). ETR: ναι (μετά φακελλο).	Όχι (MNP δεν μετρά πριν ETR).
Ολλανδία	CBG: Compassionate Use (CUP), Named patient. Ζητάτε CBG, δίνεται ατομική άδεια.	CUP : διάρκεια έως θετική απόφαση ZiN (αποζημίωση ~459 d).	CUP: ασθενείς προσπερνούν αναμονή για αναγραφή (οι ασθενείς λαμβάνουν μετά «δέσμευση» χορήγησης). Δεν είναι προ-κανονική αποζημίωση.	Όχι (CUP ≠ τυπική αποζημίωση, παρά άμεση πρόσβαση).
Χώρα	Εθνικοί μηχανισμοί πρόσβασης	Τυπικά χρονοδιαγράμματα	Σύγκριση με αποζημίωση	Κατάσταση πρόσβασης 5/11
Δανία	Danish Med. Agency: ατομικές άδειες. Danish Med. Council: αξιολόγηση νέων φαρμάκων (16εβ).	Permits: 30 ημέρες (όχι επίσημο, general rule). Council: 16εβ (Day 0→final rec).	Συνήθως, η πρόσβαση δίνεται σε νοσοκομειακή βάση μέσω επιτροπών ακόμα και προ-Council. Η τελική κεντρική απόφαση σε 4 μήνες. Εφ' όσον η Δανία δεν προσμετράται στην 5/11, η μικρή μετατροπή στη λίστα μας δεν την επηρεάζει.	– (ορθώς διαχωρισμένο).

Σουηδία	Τελική ένταξη μέσω TLV. Special permits/συσκευασίες από MPA (Läkemedelsverket).	TLV decisions: ≤180 ημέρες (από υποβολή).	Special permits επιτρέπουν χρήση εκτός αποζημίωσης. Εάν TLV αποφασίσει θετικά, τότε δίνεται αποζημίωση.	– (policy όπως Δανία).
Φινλανδία	Fimea: special permits (pharmacy); HILA: αξιολόγηση αποζημίωσης.	Permits: 30 ημέρες . HILA decisions: ισχύ από 2ο μήνα μετά απόφαση.	Άδειες Fimea: υποκαθιστούν άμεση πρόσβαση (χρηματοδοτούνται ιδιωτικώς μέχρι HILA). Μετά, HILA αποφασίζει επίσημα.	– (system parallels Sweden).
Σλοβενία	JAZMP: άδειες compassionate use (άρθρ.41 ZZdr-2).	–	Δεδομένα μη διαθέσιμα. Θεωρείται μη δημοφ. διαδικασία.	–
Ισπανία	RD 1015/2009 για special access (investigational, off-label).	–	Εθνική διαδικασία χωρίς επίσημο SLA. WAIT δεν καταγράφει τέτοια πρόσβαση (διακρίνεται από συμφράζομενα).	–
Χώρα	Εθνικοί μηχανισμοί πρόσβασης	Τυπικά χρονοδιαγράμματα	Σύγκριση με αποζημίωση	Κατάσταση πρόσβασης 5/11
Πορτογαλία	INFARMED: AUE (προσωρινή ατομική άδεια) ή αιτήσεις ομάδων/ασθενών.	–	Η AUE επιτρέπει χρήση (με κάλυψη από δημόσιο όταν υπάρχει MA). Κατά τα άλλα, κανονική ένταξη post-entry.	–
Πολωνία	Πολωνική Υγεία: «Targeted Import» με έγκριση Υπουργού, Ατομικά σχήματα (RTDL χρηματοδότηση).	Προϊόντα Υπουργού: απόφαση εντός 30 ημέρες . RTDL: 10-30 ημέρες (πρακτικό διάστημα).	Targeted import: παράγεται «πρόωρη αποζημίωση» υπό KYAT (άρα ισοδυναμεί με reimburse).	Ναι (με περιορισμούς KYAT).

Τσεχία	STP για μη-εγκεκριμένα (υπουργική έγκριση). Εξαιρετική αποζημίωση §16 (Ασφαλιστικό).	–	Εξαιρετικές εντάξεις (§16) προσφέρουν αποζημίωση σε έκτακτες περιπτώσεις.	Τυπικά, όχι (διατίθεται μόνο κατόπιν θεσπισμένων προγραμμάτων).
--------	--	---	---	---

Πίνακας 2: **Μηχανισμοί πρόσβασης εκτός λίστας/αποζημίωσης ανά χώρα.** Η στήλη «Σύγκριση με αποζημίωση» συνοψίζει αν οι εναλλακτικοί δρόμοι οδηγούν σε πλήρη κάλυψη από δημόσιο φορέα (άρα, ισοδυναμούν με αποζημίωση). Σε γενικές γραμμές, κανένας από τους παραπάνω μηχανισμούς δεν καταμετράται ως «κρίσιμος» για το 5/11: κάθε χώρα απαιτεί δική της αίτηση για αποζημίωση, και αυτά τα κανάλια προσφέρουν προσωρινές λύσεις προτού ολοκληρωθεί η κανονική διαδικασία.

3. Επίδραση αλλαγής χωρών αναφοράς (Γερμανία / Αυστρία / Ιταλία → Πολωνία / Τσεχία / Σλοβενία)

Οι χώρες που αφαιρέθηκαν (Γερμανία, Αυστρία, Ιταλία) περιλαμβάνουν τις **ταχύτερες αγορές** ως προς την έγκριση και αποζημίωση, ενώ οι προστιθέμενες (Πολωνία, Τσεχία, Σλοβενία) έχουν σημαντικά **μεγαλύτερη καθυστέρηση** και χαμηλότερη διαθεσιμότητα φαρμάκων. Σύμφωνα με τον ευρωπαϊκό δείκτη *Patients W.A.I.T. 2024*, οι μέσοι χρόνοι «Μέχρι αποζημίωση» για όλα τα φάρμακα στις εν λόγω χώρες είναι οι εξής:

- Γερμανία: 128 ημέρες
- Αυστρία: 309 ημέρες
- Ιταλία: 439 ημέρες
- Πολωνία: 723 ημέρες
- Τσεχία: 581 ημέρες
- Σλοβενία: 610 ημέρες

Για ορφανά:

- Γερμανία: 97 ημέρες
- Αυστρία: 259 ημέρες
- Ιταλία: 466 ημέρες
- Πολωνία: 743 ημέρες
- Τσεχία: 696 ημέρες
- Σλοβενία: 704 ημέρες

Συνολικά: Από 439 → 723 στην Ιταλία έναντι Πολωνίας (+284 ημέρες), 128 → 581 στη

Γερμανία έναντι Τσεχίας (+453 ημέρες), **309 → 610** στην Αυστρία έναντι Σλοβενίας (+301 ημέρες). Ο μέσος όρος (όλων των φαρμάκων) για τις τρεις αφαιρεθείσες χώρες είναι ~292 ημέρες, ενώ για τις τρεις προστιθέμενες χώρες είναι ~638 ημέρες, δηλαδή αύξηση περίπου **346 ημέρες**.

Στις διάφορες συνθήκες, η Ιταλία, η Γερμανία και η Αυστρία βρίσκονται συστηματικά μεταξύ των πρώτων (αν όχι οι πρώτες) σε ευρωπαϊκή διαθεσιμότητα, ενώ η Πολωνία, η Τσεχία και η Σλοβενία είναι χαμηλότερα στη διαθεσιμότητα, με ποσοστά αποζημίωσης ορφανών φαρμάκων μόλις **39-61%**.

Το διάγραμμα δείχνει γραφικά το χάσμα. Προσθέτοντας Πολωνία, Τσεχία και Σλοβενία, και αφαιρώντας τις χώρες Γερμανία, Ιταλία και Αυστρία, ο αναμενόμενος χρόνος μέχρι την έγκριση του Σ.Η.Π. θα αυξανόταν σημαντικά. Δηλαδή, με τα νέα δεδομένα, ουσιαστικά **θα μετέθεταν την πρόσβαση κατά 8–15 μήνες**.

Επιπλέον, η μείωση της διαθεσιμότητας (π.χ. Πολωνία ~39% vs Ιταλία 83%) δείχνει ότι **πολλά ορφανά που είχαν ένταξη στην Ιταλία παύουν να προσμετρώνται**.

Αυτό επιβεβαιώνεται και από πρόσφατη έκθεση των EFPIA/EURORDIS: Οι χώρες της Κεντρικής και Ανατολικής Ευρώπης (CEE) παρουσιάζουν μεγαλύτερο μεσοσταθμικό χρόνο από την έγκριση EMA έως την πληρωμή σε σχέση με τις Δυτικές χώρες. Ειδικότερα, το 2024, οι CEE χώρες είχαν μέσο χρόνο 356 ημέρες από την αίτηση έως την απόφαση (ψηλότερος από τις 292 ημέρες στις «Big5»), ενώ το 69% της καθυστέρησης οφειλόταν σε αργές εθνικές αποφάσεις (και όχι σε καθυστερήσεις των εταιρειών). Έτσι, ο αποκλεισμός των «γρήγορων» αγορών μεταφέρει το «βάρος» στις πιο αργές, επιδεινώνοντας την καθυστέρηση στο ελληνικό σύστημα.

Παράλληλα, πρέπει να τονίσουμε ότι πολλές χώρες εξαιρούνται από το κριτήριο 5/11, καθώς έχουν ειδικά πρωτόκολλα πρώιμης πρόσβασης:

- **Γαλλία:** Ο νόμος επιβάλλει άμεση χρηματοδότηση μέσω των προγραμμάτων AAP/AAC.
- **Ισπανία:** Το RD 1015/2009 επιτρέπει τη χρήση π.χ. πειραματικών θεραπειών, αλλά αυτή η πρόσβαση δεν καταγράφεται στο W.A.I.T..
- **Κάτω Χώρες/Βέλγιο:** Τα προγράμματα **CUP/MNP** επιτρέπουν τη χρήση φαρμάκων με εκκρεμή τιμολόγηση.

Σε αυτές τις αγορές, ουσιαστικά, η πρόσβαση γίνεται διαφορετικά πριν από την επίσημη καταχώρηση.

Το νέο Άρθρο 12, όμως, αγνοεί τελείως τέτοιες οδούς: Μετράει μόνο το τελικό «έχουμε συμβόλαιο με Κ.Α.Κ./Τιμολόγηση», ενώ τα πραγματικά κανάλια πρόσβασης συνεχίζουν να λειτουργούν παρασκηνιακά.

4. Κατηγορίες ασθενών σε κίνδυνο ή εξαιρούμενοι

Βάσει της μελέτης αποτυπώματος της Ε.Σ.Α.Ε., που έχει κατατεθεί στη δημόσια διαβούλευση, μπορούν να διακριθούν **10 αντιπροσωπευτικές κατηγορίες** ασθενών που διατρέχουν σοβαρό κίνδυνο αποκλεισμού από το νέο Σ.Η.Π. Ο κάθε αριθμός αντιστοιχεί σε ενδεικτική κατηγορία (βλ. κατωτέρω), με το αν προστατεύεται σήμερα ή θα μένει εκτός πρόσβασης μετά το νέο Άρθρο:

Κατηγορία ασθενών	Θεραπεία / Χαρακτηριστικά	Κάλυψη στο νέο Άρθρο	Ενδεικτικό Παράδειγμα
1. Ασθενείς με εξαιρετικά επείγουσα ανάγκη (άμεση απειλή ζωής, π.χ. αιμοδυναμική αστάθεια).	Κάθε φάρμακο που σώζει τη ζωή, όπου η καθυστέρηση <1 μήνα σκοτώνει.	Υψηλός κίνδυνος: Δεν προβλέπεται ρητά (παρά μόνο υποβοήθηση μέσω ανάκτησης πλεονάζουσας δαπάνης). Συνήθως καταφεύγουν σε EMA-accelerated/compassionate (εκτός ΣΗΠ).	Βρέφος με ανεπάρκεια ενζύμου AADC· πιθανή γονιδιακή θεραπεία (π.χ. PTC AAV9) πριν από όποια επίσημη ένταξη.
2. Φάρμακα μόνο με FDA άδεια (πριν EMA) για επιθετικές νόσους.	Παιδιατρικές ή σοβαρές νόσοι με γρήγορη πορεία, όπου περιμένουν FDA.	Εκτός: Δεν καλύπτεται το ότι στο FDA κάτι εγκρίθηκε. Θα χρειαστεί έκτακτη αίτηση/υπουργός ή άλλη προσφυγή.	Έφηβος με νευροβλάστωμα ανοσοθεραπεία (π.χ. γονιδιακή CAR-T εγκεκριμένη στην ΑΜΚΑ) διαθέσιμη στις ΗΠΑ, αλλά στην ΕΕ ακόμη σε κλινική δοκιμή.
3. Φάρμακα διαθέσιμα σε άλλα κράτη μέσω early-access/compassionate (χωρίς εγγραφή σε κανονική λίστα).	π.χ. cohort compassionate (Γαλλία AAP), named patient σε BE/NL, ατομική άδεια σε DE.	Εκτός: Δεν μετράνε για 5/11 γιατί <i>κανένα κράτος</i> τα «αποζημιώνει» κανονικά – προσπερνούν το σύστημα. Έτσι δεν «μετρούν».	Ενήλικος με προχωρημένο BRAF V600E σε μελάνωμα: οι Γάλλοι τον παίρνουν σε ACCORD για δευτερότευσοντα φάρμακα, αλλά στην Ελλάδα το φάρμακο δεν έχει ένταξη.
4. Φάρμακα για γεωγραφικά/γενετικά συσσωματώματα (π.χ. μετάλλαξη που συχνά βρίσκεται στην Κρήτη, ΑΜΘ, Ιόνιο).	Νοσήματα με περιορισμένη διανομή (π.χ. κληρονομικές ασθένειες Κρήτης), όπου άλλα κράτη μπορεί να μην τα έχουν καθόλου.	Μερικά καλυπτόμενα: Η νέα εξαίρεση δίνει ένα πλαίσιο απόδειξης, αλλά απαιτεί εκ των προτέρων επίσημα δείγματα. Χωρίς αυτά, σε εφαρμογή «5/11» όλες οι χώρες παγκοσμίως «μετρούν αρνητικά».	Νόσος των κοκκίων (κλασικό Chediak-Higashi) συγκεντρωμένη σε Κρήτη. Αν Ελλάδα το αναγνωρίσει, άλλες 4/11 χώρες δεν το αποζημιώνουν λόγω απουσίας περιστατικών.

Κατηγορία ασθενών	Θεραπεία Χαρακτηριστικά /	Κάλυψη στο νέο Άρθρο	Ενδεικτικό Παράδειγμα
5. Υπερ-σπάνιες γονιδιακές υποομάδες μέσα σε μεγαλύτερες νόσους (βιοδείκτες).	π.χ. συγκεκριμένη μετάλλαξη εντός πιο συχνής νόσου (στόχος συγκεκριμένης στοχευμένης θεραπείας).	Εκτός: Κριτήριο 1/50.000 δεν λαμβάνει υπόψη υποομάδες: μετράει η νόσος συνολικά. Εάν νόσος >1/50.000, καμία βοήθεια, παρότι υποομάδα <1/50.000.	Νόσος Πάρκινσον σε υπερ-σπάνια υποομάδα LRRK2 G2019S. Το φάρμακο LRRK2 inhibitor χορηγείται σε μεταλλάξεις (υπό ομάδες) αλλά όχι για όλους Πάρκινσον.
6. Φάρμακα μικρών βιο-εταιρειών χωρίς ευρεία κυκλοφορία.	Πολλοί ΚΑΚ σπάνιων φαρμάκων είναι μικρές ΑΜΚΑ/ΗΠΑ με περιορισμένη παρουσία σε 5 χώρες (κόστη).	Εκτός: Παρά την έγκριση, ενδέχεται να μην εξασφαλιστεί 5/11 επειδή η εταιρεία δεν έχει αναπτύξει πωλήσεις σε τόσο πολλές. (Δεν καλύπτεται από εξαιρέσεις).	Νεαρή γυναίκα με κληρονομικό μεσογειακό αναιμία σε μεταφορά σφαιρίνης πλάσματος (μοριακό φάρμακο); διαθέσιμο μόνο μέσω Compassionate Use στην ΑΜΚΑ.
7. Φάρμακα με επίσημη εθνική στρατηγική διάθεσης περιορισμένη (επιλογή χωρών).	π.χ. εταιρεία αποφασίζει να λανσάρει (έστω και για έσχατη ένδειξη) μόνο σε π.χ. Αγγλία–Ισπανία–Ιταλία, όχι παντού.	Εκτός: Αν η Ελλάδα δεν είναι στον προγραμματισμό, τότε 0/11 μετράει. Επίσης συνέπειες από 5/11: Απουσία αποζημίωσης σε όλα τα άλλα.	Σπάνια αντίδραση ανοσολογίας για την οποία φάρμακο αποσύρθηκε από πολλές ευρωπαϊκές αγορές αλλά χορηγείται μέσω πρόγραμμα καθαρά στη Γερμανία και Γαλλία.
8. Όγκοι με βιοδείκτες σε περιορισμένο πληθυσμό (εντός σπάνιων/συχνών καρκίνων).	π.χ. KRAS G12C σε NSCLC (μεγάλος πληθυσμός, αλλά όσοι έχουν συγκεκριμένη μετάλλαξη); NTRK κινήματα.	Εκτός: Κανένας σχετικός ειδικός κανόνας. Εάν η βασική νόσος θεωρείται >1/50.000, τότε δεν καλύπτεται η υποομάδα. Μόνο έκτακτα (compassionate/off-label).	NSCLC με rare NTRK fusion (θεραπεία larotrectinib-approved στις ΗΠΑ).
9. Αναπτυσσόμενες θεραπείες / αποκάλυψη horizon scanning:	Πολύ πρώιμες/υπό έγκριση θεραπείες.	Εκτός: Δεν υπάρχουν σε επίσημες λίστες ούτε σε στατιστικές 5/11. Μετρούνται ως 0/11 έως ότου υπάρξει κανένα κράτος που τις αποζημιώνει.	Φάρμακο για νευρολογική πάθηση σε φάση ανάδειξης θετικών δεδομένων (παρέχεται μόνο μέσω compassionate use σε προχωρημένες κλινικές).
10. Off-label χρήσεις (ασθενείς π.χ.	Θεραπείες εκτός εγκεκριμένων ενδείξεων,	Καλυπτόμενο: Πλέον υπάρχουν ρητά ως	Παιδί με υποτροπιάζοντα εγκεφαλικά νεοπλάσματα: χρησιμοποιούνται targeted

παιδιατρικής ογκολογίας).	συχνές στην παιδιατρική ογκολογία.	κατηγορία (παρ.1γ). Άρα βελτίωση.	φάρμακα off-label (π.χ. Mek-inhibitors για BRAF fusion).
---------------------------	------------------------------------	-----------------------------------	--

Πίνακας 3: **Κατηγορίες ασθενών που αποκλείονται ή κινδυνεύουν από το νέο Άρθρο 12.** Η στήλη «Κάλυψη» αναφέρει αν το νέο άρθρο παρέχει ήδη προστασία: «*Μερικώς*» ή «*Ναι*» σημαίνει ότι η νέα διάταξη καλύπτει την περίπτωση (π.χ. κατηγ.4 μέσω «εξαιρέσεων γεωγραφίας»), ενώ «*Όχι*» δείχνει ότι ο ασθενής παραμένει ουσιαστικά ακάλυπτος. (Οι *συμβολικές* παραδείγματα είναι υποθετικά για καλύτερη κατανόηση.)

Παραδείγματα ασθενών (12 σενάρια)

Ενδεικτικά υποδείγματα για τις παραπάνω κατηγορίες (όχι διδακτικά):

- **Νεογνό με ανεπάρκεια ενζύμου AADC** (παιδιατρική σοβαρή νόσος) σε κλινική μελέτη γονιδιακής θεραπείας (φερόμενη ως *ανακουφιστική* πρόσβαση).
- **Παιδί με μεταχρωματική λευκοδυστροφία** (παιδιατρική, απειλητική) σε πρόγραμμα γονιδιακής θεραπείας (σήμερα μέσω compassionate use ή trial).
- **Έφηβος με εξαιρετικά επιθετικό μυελωδισμό** (Gaucher τύπος 3) λαμβάνει πρωτεϊνική θεραπεία (ή έπρεπε) εκτός ένδειξης.
- **19χρονος με παιδικής έναρξης Νωτιαία Μυϊκή Ατροφία** σε συνέχεια χορήγησης nusinersen (παιδιατρική ένδειξη)· το νέο Άρθρο δεν προβλέπει ειδική μεταβατική προστασία.
- **Ενήλικας με κληρονομική αμυλοείδωση TTR** σε γεωγραφικό cluster (π.χ. Κρήτη)· πατέντες δηλαδή με θεραπεία φάρμακο siRNA.
- **Ενήλικας με μορφή ALS με μετάλλαξη SOD1** (υπο-πληθυσμός)· όλο το ALS δεν είναι <1/50k, οπότε το υποσύνολο χάνει εξαίρεση.
- **Ενήλικας με μεταστατικό χολαγγειοκαρκίνωμα FGFR2 fusion** (στοχευμένη θεραπεία σε μικρό υποπληθυσμό).
- **Ενήλικας με σπάνια νευρογενή νόσο** (π.χ. Μυϊκή Δυστροφία συγκεκριμένης μετάλλαξης), όπου ο κατασκευαστής δεν εισήγαγε το φάρμακο σε >5 χώρες.
- **Παιδί με όγκο** (π.χ. πνευμονοβλάστωμα ή μεσοδερμικό ρίσκο) που λαμβάνει off-label molecular target φάρμακο· πλέον καλύπτεται από **γ' κατηγορία** εκτός ένδειξης.
- **Ενήλικας με σπάνιο νόσημα** (π.χ. Νωτιαία Μυϊκή Ατροφία ενηλίκων) σε θεραπεία από δοκιμή Η.Π.Α. (FDA approval) που στην Ε.Ε. δεν έχει ακόμα πλήρη έγκριση/αποζημίωση.
- **Ασθενής άνω 18 με ρεαλιστική ανάγκη μετά από ιατρεία ή ΜΕΘ (κατηγ.1)**, π.χ. σοβαρή πνευμονική εμβολή, που θα χρειαζόταν έγκαιρη πρόσβαση σε νέο αντιπηκτικό (υπό έγκριση εντός Ε.Ε.).

- Γενετικό cluster στις Κυκλάδες: **ασθενής φέρει σπάνια μετάλλαξη σε γονίδιο κεντρικού νευρικού που συναντάται μόνο σε λίγα νησιά**. Το φάρμακο είναι διαθέσιμο μόνο σε (π.χ.) Γερμανία μέσω compassionate use.

Καμία από αυτές τις ομάδες δεν προστατεύεται επαρκώς από το νέο Άρθρο (π.χ. οι κατηγορίες 1-3, 5-9 μένουν «μέσα» στο 5/11 κριτήριο, επομένως αν δεν ικανοποιούν το 5/11, υποχρεούνται να καταφύγουν σε υπουργικό έκτακτο αίτημα). Αντίθετα, ο νόμος εξαιρεί μόνο τις κατηγορίες 4 και 10 (υπενθυμίζουμε: γεωγραφική συγκέντρωση και off-label σε απειλητικές καταστάσεις). Δηλαδή, **οκτώ στις δέκα** παραπάνω περιπτώσεις μένουν ανοιχτές στον αποκλεισμό, εκτός αν η πολιτική διορθώσει ρητά τους κανόνες.

5. Προτεινόμενες νομοτεχνικές βελτιώσεις

Για να αποφευχθούν τα παραπάνω κενά, προτείνουμε συγκεκριμένες προσθήκες/τροπολογίες:

- **Εισαγωγή «ισοδύναμης απόδειξης πρόσβασης»:** Στο άρθρο 265 ν.4512 (ή 12) να προστεθεί πρόβλεψη ότι οι μηχανισμοί compassionate use, named patient, early access, προσωρινή άδεια κ.ά. **υπό συνθήκες** θεωρούνται ως «αποζημίωση» για την εφαρμογή 5/11. Π.χ.:

«Για τον υπολογισμό των 5/11, ως ισοδύναμη αποζημίωση λογίζεται και η πραγματική δυνατότητα πρόσβασης μέσω νομίμων προγραμμάτων compassionate use, named patient, early access ή προσωρινής άδειας, ανεξαρτήτως του προσωρινού μοντέλου κάλυψης του κόστους, εφόσον αποδεικνύεται ότι τελικά ο ασθενής χρηματοδοτείται πλήρως ή μερικώς από δημόσιο φορέα ή δεσμευμένο πρόγραμμα.»

Αυτό θα αντιμετωπίσει το κενό όπου, για παράδειγμα, η **Γαλλία/Ισπανία** παρέχουν πρόσβαση μέσω αυτών των μηχανισμών, αλλά η Ελλάδα τις αγνοεί.

Ορισμός υπο-πληθυσμών: Στο όριο 1/50.000, να εξειδικευτεί ότι μετράται η **συχνότητα του υπο-πληθυσμού που πάσχει και υπάγεται στο θεραπευτικό πρωτόκολλο**, όχι της νόσου ευρύτερα. Π.χ.:

«Ως “πάθηση” λογίζεται ο υπο-πληθυσμός ασθενών που υπάγεται στο εγκεκριμένο θεραπευτικό πρωτόκολλο (π.χ. συγκεκριμένης μετάλλαξης, βιοδείκτη, γονότυπου).»

Έτσι, η υπερ-σπάνια μετάλλαξη εντός ευρύτερης νόσου θα υπάγεται αν η ίδια έχει incidence <1/50.000.

- **Εξειδίκευση «σοβαρά απειλητικών νόσων» σε ενήλικες:** Να συμπεριληφθούν οι ενήλικες με παρόμοιους κινδύνους (π.χ. σοβαρές ογκολογικές ασθένειες) σε άλλη πρόταση παρ. 1β:

«ή ανεξαρτήτως ηλικίας, με νόσο απειλητική για τη ζωή ή με πιθανότητα ανεπανόρθωτης αναπηρίας.»

Με αυτό, ασθενείς, π.χ. με παραπληγία ή θανατηφόρο σπάνιο σύνδρομο σε ενήλικη ηλικία, αποκτούν δικαίωμα πρόσβασης.

- **Αναθεώρηση λίστας χωρών:** Αντί απόλυτης σταθερής λίστας, προτείνεται είτε (α) η επαναφορά των χωρών **Αυστρίας, Γερμανίας και Ιταλίας** στο κείμενο είτε (β) η αντικατάστασή της με το κριτήριο «αποζημιώνονται 5/11 κράτη του **Ευρωπαϊκού Οικονομικού Χώρου**, με τουλάχιστον Χ% των EMA-approved φαρμάκων» (δηλαδή ένα δυναμικό τεστ). Αυτό θα εξαλείψει το πρόβλημα επιλογής «αργών» χωρών.

6. Επιχειρήματα & παρεμβάσεις πολιτικής

- **Αριθμός ασθενών:** Πολλοί σπάνιοι ασθενείς (άνω των 500.000 στην Ελλάδα), εκ των οποίων οι μισοί είναι αδιάγνωστοι, κινδυνεύουν από κακή εφαρμογή αυτού του Άρθρου. Οι φορείς (Ε.Σ.Α.Ε., ασθενείς) πρέπει να υπογραμμίσουν ότι *η Καινοτομία είναι ανθρώπινο δικαίωμα*, ειδικά σε απειλητικές καταστάσεις.
- **Παραδείγματα καθυστερήσεων:** Με βάση τον δείκτη **EFPIA W.A.I.T.**, η αντικατάσταση των χωρών Γερμανίας, Ιταλίας και Αυστρίας (όπου η Ελλάδα παίρνει βοήθεια) από Πολωνία, Τσεχία και Σλοβενία σημαίνει ότι πολλά φάρμακα θα περιμένουν **10–12 μήνες περισσότερο για έγκριση**. Αυτό πρέπει να αναδειχθεί στις συζητήσεις, π.χ. «Η Ελλάδα θα χρεωθεί 12 πρόσθετους μήνες για πρόσβαση στα ίδια φάρμακα αν εφαρμοστεί το νέο κριτήριο».
- **Οικονομικό όφελος:** Οι μηχανισμοί πρώιμης πρόσβασης συχνά ελαχιστοποιούν την τελική δαπάνη (καθώς τα φάρμακα λαμβάνονται στο στάδιο της τελικής αξιολόγησης). Η πλήρης αφαίρεσή τους (Γερμανία, Ιταλία, Αυστρία) πιθανολογεί όχι μόνο καθυστέρηση, αλλά και τελικά υψηλότερο κόστος αν εγκριθούν.
- **Κοινωνική και ηθική πίεση:** Υπάρχει ισχυρή διεθνής τάση να μη μετρούν για αποζημίωση τα προγράμματα compassionate use (το EMA το υποστηρίζει). Η Ελλάδα κινδυνεύει να μείνει εντελώς απομονωμένη, καθώς θα απαιτεί αποζημίωση από 5 χώρες, ενώ οι ανταγωνιστές της προσφέρουν ταχεία πρόσβαση με ειδικά κανάλια πρόσβασης. Ως αποτέλεσμα, οι Έλληνες ασθενείς θα μείνουν πίσω παρά το παρεχόμενο ευρωπαϊκό πλαίσιο ευελιξίας για ασθενείς με σπάνια νοσήματα και μεγάλη ακάλυπτη ανάγκη.
- **Τεχνική εφαρμογή:** Λειτουργικές λύσεις (βλ. επόμενη ενότητα) πρέπει να παρουσιαστούν μαζί με νομοθετικές τροπολογίες, ώστε να μην καθυστερεί η εφαρμογή τους (π.χ. καθορισμένα έντυπα και διαδικασίες, συνεργασία με Ευρωπαϊκά Δίκτυα Αναφοράς - ERNs).

Συμπέρασμα: Παρά την πολυπλοκότητα, όλα τα παραπάνω υποστηρίζουν την ανάγκη ουσιαστικής βελτίωσης του Άρθρου 12 πριν από την τελική έγκριση. Χωρίς παρεμβάσεις, η νέα διάταξη θα υπονομεύσει σοβαρά την πρόσβαση των σπάνιων ασθενών σε καινοτόμα φάρμακα.

7. Λειτουργικές παρατηρήσεις για το Σ.Η.Π.

Πέρα από νομικές βελτιώσεις, χρειάζονται και λειτουργικές ρυθμίσεις στο ίδιο το Σύστημα Ηλεκτρονικής Προέγκρισης (Σ.Η.Π.):

- **Τυποποιημένη φόρμα αίτησης:** Απαιτείται έντυπο που ζητά όλα τα κρίσιμα στοιχεία: κλινική ένδειξη, βάση χορήγησης (λ.χ. compassionate ή off-label), τεκμήρια αποτελεσματικότητας, μελέτες, γνώμη επιστημονικών εταιρειών, εκθέσεις Επιτροπής Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) και δεδομένα ERNs όταν πρόκειται για σπάνια.
- **Αποδεκτά αποδεικτικά:** Συνιστάται καθορισμός ποια στοιχεία θα γίνονται αποδεκτά, π.χ. θετικές εκθέσεις αξιολόγησης άλλων χωρών (ACCC, NICE, HAS κ.λπ.), αποτελέσματα κλινικών μελετών, real-world data ή ERN-opinion για σπάνιες νόσους.
- **Ταχεία διαδικασία ελέγχου:** Δημιουργία fast-track πορείας: π.χ. εντός 2 εργάσιμων ημερών ο υπάλληλος ελέγχει πληρότητα αιτήματος, εντός 7–10 ημερών επιστημονική επιτροπή παρέχει εισήγηση, και εντός 14–30 ημερών κοινή υπουργική απόφαση (ή διοικητική πράξη) φέρνει αποτέλεσμα.
- **Προειδοποιήσεις και προθεσμίες:** Να προβλέπεται ότι σε περίπτωση ελλιπών δικαιολογητικών, ο αιτών λαμβάνει γραπτή ειδοποίηση με εύλογη προθεσμία (π.χ. 10 ημέρες) για συμπλήρωση, και μόνο μετά την πάροδο μη ανταπόκρισης, να τίθεται θέμα απόρριψης.
- **Σύνδεση με ERN/ACC:** Να προβλεφθεί αξιοποίηση εκθέσεων Ευρωπαϊκών Δικτύων Αναφοράς (ERNs) και του νέου EU-HTA: τα συμπεράσματά τους μπορούν να επισυνάπτονται, ειδικά για πολύ σπάνιες παθήσεις.
- **Πρωτόκολλο έκτακτης ανάγκης:** Προσδιορισμός «συνθηκών έκτακτης ανάγκης» και ειδική διαδικασία: π.χ. υπουργική απόφαση αυτοδίκαια εντός 1 ημέρας σε απειλητικές περιπτώσεις, με υποχρέωση διοίκησης Ε.Ο.Π.Υ.Υ./Ε.Ο.Φ. να διασφαλίσει άμεση χορήγηση (π.χ. παρέμβαση μέσω Ε.Φ.Κ.Α./Γενικό Νοσοκομείο). Έτσι, ο γιατρός δεν περιμένει κοινή απόφαση μήνες.
- **Διάγραμμα ροής (Flow chart):** Μια αναλυτική «ροή» πρέπει να παρουσιαστεί στα νοσοκομεία: από αίτηση Σ.Η.Π. → εξέταση δικαιολογητικών → υγειονομική επιτροπή → υπουργική γνώμη → τελική έγκριση. Παρακάτω ένα παράδειγμα απλοποιημένου διαγράμματος (mermaid).

8. Προτεραιότητες & Οικονομική εφικτότητα

Οι προτεινόμενες νομικές βελτιώσεις κρίνονται ως εξής:

Προτεινόμενη τροποποίηση	Επίτευξη τώρα	Εφικτότητα (πολιτ/τεχνικά)	Αναμενόμενος αντίκτυπος
Αναγνώριση equivalent access (compassionate, named) ως αποζημίωση για 5/11	Επείγουσα (πλήθος εξαιρούμενων)	Μέτρια (θέμα κατανόησης, αλλά συμβατό με οδηγίες EMA)	Υψηλός – προστατεύει όλους όσους είναι ήδη σε προγράμματα!
Υπολογισμός 1/50.000 σε <i>υπο-πληθυσμό</i>	Επείγουσα (υπερ-σπάνια χάνονται)	Υψηλή (απλός ορισμός με ιατρικούς όρους)	Υψηλός – σώζει ασθενείς με πολύ-σπάνιες μεταλλάξεις.
Προστασία ενηλικίωσης/σοβαρών ενηλίκων (18→19)	Μεσαία (παρανοηθείσες ασφάλειες)	Υψηλή (συμπληρωματική παράγραφος)	Υψηλός – σταματά τα «κενά» κατά τη μετάβαση.
Αντικατάσταση ή διεύρυνση λίστας χωρών	Μεσαία (θέμα πολιτικής εμβέλειας)	Χαμηλή-Μέτρια (σύνθετο πολιτικά)	Μεσαίος προς υψηλό (βελτιώνει ουσιαστικά την επιτάχυνση)
Fast-track στο Σ.Η.Π. / SOP έκτακτης ανάγκης	Υψηλή (υποδομές)	Υψηλή (αναγκαίο διαδικαστικό)	Σημαντικός (επιτάχυνση στην πράξη).

Ανοικτά ζητήματα / περιορισμοί

Είναι ιδιαίτερα ανησυχητικό ότι η προτεινόμενη ρύθμιση δεν συνοδεύεται από καμία δημοσιευμένη ή τεκμηριωμένη μελέτη αξιολόγησης οικονομικού ή υγειονομικού αντικτύπου, ούτε από ανάλυση κόστους-αποτελεσματικότητας.

Αναφορικά με τις ρυθμίσεις που περιλαμβάνει το Σχέδιο Νόμου, ειδικά το Άρθρο 12 που αφορά το Σύστημα Ηλεκτρονικής Προέγκρισης (Σ.Η.Π.), είναι σημαντικό να εξετάσουμε την επιρροή των ορφανών φαρμάκων στη συνολική φαρμακευτική δαπάνη στη χώρα μας. Σύμφωνα με τα παρακάτω δεδομένα:

1. **Η Συνολική Δαπάνη του Ι.Φ.Ε.Τ.:** Για την περίοδο 2020-2024, η συνολική ετήσια δαπάνη του Ι.Φ.Ε.Τ. αντιπροσωπεύει κατά μέσο όρο το 3.12% της συνολικής

φαρμακευτικής δαπάνης της χώρας. Πρόκειται για ένα μικρό ποσοστό σε σχέση με τη συνολική δαπάνη.

2. **Η Δαπάνη για Ορφανά Φάρμακα μέσω Ι.Φ.Ε.Τ.:** Στην ίδια περίοδο, η δαπάνη του Ι.Φ.Ε.Τ. για ορφανά φάρμακα είναι ακόμα πιο περιορισμένη, καθώς **αντιπροσωπεύει κατά μέσο όρο το 1,6% της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης** της χώρας. Αυτό δείχνει ότι, παρά την αυξανόμενη ανάγκη για θεραπείες σπανίων νοσημάτων, τα ορφανά φάρμακα εξακολουθούν να αποτελούν ένα μικρό ποσοστό της συνολικής δαπάνης.
3. **Αύξηση της Συνολικής Φαρμακευτικής Δαπάνης:** Η αύξηση της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης για τα έτη 2023-2024 σε σχέση με τα έτη 2022-2023 ήταν περίπου €940 εκατομμύρια και €1.260 εκατομμύρια αντίστοιχα.
4. **Αύξηση της Δαπάνης για Ορφανά Φάρμακα μέσω Ι.Φ.Ε.Τ.:** Στο ίδιο χρονικό διάστημα, η αύξηση της δαπάνης των ορφανών φαρμάκων μέσω του Ι.Φ.Ε.Τ. ήταν €17 εκατομμύρια και €86 εκατομμύρια αντίστοιχα. Η αύξηση αυτή είναι σημαντικά μικρότερη σε σχέση με την αύξηση της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης, υποδεικνύοντας ότι τα ορφανά φάρμακα παραμένουν περιορισμένη κατηγορία δαπανών.

Συμπέρασμα

Η συνολική δαπάνη για ορφανά φάρμακα μέσω Ι.Φ.Ε.Τ., παρά την αύξηση που παρατηρείται, **συνεχίζει να αντιπροσωπεύει μόνο ένα πολύ μικρό ποσοστό (1,6%) της συνολικής φαρμακευτικής δαπάνης στη χώρα**. Αν και η αύξηση της δαπάνης για τα ορφανά φάρμακα είναι αισθητή, είναι σαφές ότι, σε σύγκριση με τη συνολική φαρμακευτική δαπάνη, η επίδραση των ορφανών φαρμάκων παραμένει περιορισμένη. Αυτό δείχνει ότι η πρόβλεψη για τα ορφανά φάρμακα, παρά την ανάγκη για μεγαλύτερη στήριξη, έχει μικρότερο οικονομικό αντίκτυπο σε σχέση με άλλες κατηγορίες φαρμάκων, επιβεβαιώνοντας την ανάγκη για διαρθρωτικές αλλαγές στην αξιολόγηση της φαρμακευτικής δαπάνης και της προσβασιμότητας στα ορφανά φάρμακα.

ΕΤΗΣΙΑ ΔΑΠΑΝΗ ΙΦΕΤ vs ΣΥΝΟΛΙΚΗΣ ΔΑΠΑΝΗΣ ΦΑΡΜΑΚΩΝ ΑΠΟΖΗΜΙΟΥΜΕΝΩΝ ΑΠΟ ΤΟ ΚΡΑΤΟΣ

Στον ακόλουθο πίνακα παραθέτουμε μία ανάλυση βάσει των επίσημως δημοσιευμένων στοιχείων σχετικά με τη φαρμακευτική δαπάνη στη χώρα μας, καθώς και τις συνολικές αξίες πωλήσεων (δαπάνη) του Ι.Φ.Ε.Τ. Τα δεδομένα αφορούν μέχρι και το 2024, διότι δεν υπάρχουν ακόμη επίσημα δημοσιευμένα στοιχεία για το έτος 2025.

	2020	2021	2022	2023	2024	AVERAGE
Συνολική Φαρμακευτική Δαπάνη (αποζημιούμενη) στην Ελλάδα, δισ €	5.25	5.65	6.25	7.51	8.45	
Αύξηση "Συνολική Φαρμακευτική Δαπάνη" vs Previous Year, δισ €	0.22	0.4	0.6	1.26	0.94	
Δαπάνη ΙΦΕΤ δισ € (από δημοσιευμένους Ετήσιες Οικονομικές Καταστάσεις ΙΦΕΤ)	0.126	0.197	0.180	0.266	0.279	
"Δαπάνη ΙΦΕΤ" vs "Συνολική Φαρμακευτική Δαπάνη", %	2.40%	3.49%	2.88%	3.54%	3.30%	3.12%
Δαπάνη ΙΦΕΤ για Ορφανά Φάρμακα, δισ €	0.049	0.0858	0.0695	0.169	0.186	
Ποσοστό "Δαπάνη ΙΦΕΤ για Ορφανά Φάρμακα" vs "Συνολικής Φαρμακευτικής Δαπάνης", %	0.94%	1.52%	1.11%	2.25%	2.20%	1.60%

* Στον δημόσιο διάλογο συχνά γίνονται αναφορές στη δαπάνη του Ι.Φ.Ε.Τ. που εμφανίζει διακυμάνσεις. Πρέπει να καταστεί σαφές ότι η αναφορά στη συνολική ετήσια δαπάνη του Ι.Φ.Ε.Τ. δεν πρέπει να συσχετίζεται με μία μόνο κατηγορία φαρμάκων, όπως τα Ορφανά, καθώς αποτελείται από τις ακόλουθες συνιστώσες (οι οποίες επηρεάζονται από σωρεία παραγόντων):

- Ø Φάρμακα «**Μόνιμης Κάλυψης**» αλλά και «**Έκτακτης Κάλυψης**» (η 2^η μεγαλύτερη συνιστώσα της δαπάνης του Ι.Φ.Ε.Τ. για τα έτη 2020, 2022, 2023 και 2024)
- Ø Φάρμακα «**Νοσοκομειακά**» (κατά κύριο λόγο η συγκεκριμένη δαπάνη δείχνει σταθερότητα στα έτη 2020-2024)
- Ø Φάρμακα «**Μικροδέματα**»

Όρια της Ανάλυσης

Η παραπάνω Ανάλυση στηρίζεται σε υψηλής αξιοπιστίας ευρωπαϊκές και ρυθμιστικές πηγές, από δεδομένα πεδίου με τη συνεργασία των Συλλόγων Σπάνιων Ασθενών και των Επιστημονικών Εταιρειών. Ορισμένα παραδείγματα πρόσβασης σε άλλα κράτη μέλη είναι κατ' ανάγκην δυναμικά, επειδή οι αποφάσεις αποζημίωσης αλλάζουν με τον χρόνο. Συνεπώς, τα παραδείγματα νόσων και πληθυσμών πρέπει να αξιολογηθούν ως τεκμηριωμένες κατηγορίες υψηλού κινδύνου αποκλεισμού, και όχι ως πλήρης ή οριστική καταγραφή όλων των μελλοντικών περιπτώσεων.

Αυτή, ωστόσο, η διαπίστωση δεν αποδυναμώνει το βασικό συμπέρασμα· αντιθέτως, το ενισχύει: όταν το πεδίο χαρακτηρίζεται από έντονη μεταβλητότητα, ετερογένεια και υψηλό βαθμό γενετικής εξειδίκευσης, οι περιοριστικά διατυπωμένες εξαιρέσεις δεν επαρκούν.

Προτεινόμενες πηγές

1. Επίσημο τελικό κείμενο νόμου (ν. 4512/2018 & τροπ).
2. Ενωσιακό πλαίσιο: Άρθρο 83 EC 726/2004 (EMA compassionate use).
3. Ε.Σ.Α.Ε. δημόσια σχόλια – αναρτημένα στο OpenGov.
4. Patients W.A.I.T. 2024 (EFPIA) – στοιχεία διαθεσιμότητας/χρόνων.
5. EFPIA “Root Causes” report (2025) – καθυστερήσεις αποζημίωσης.
6. Εθνικοί φορείς: π.χ. θέματα early-access/compassionate στα site EMA, ΥπΥγ, ΕΟΡΥΥ, ΕΟΦ, εθνικές φαρμακευτικές αρχές (βλ. παραπάνω).
7. Ευρωπαϊκές πρωτοβουλίες: χαρακτηριστικές ανακοινώσεις EMA/Ενωσης για access (π.χ. κατευθυντήριες ONCEMO, EMA FAQ).
8. OECD/EURORDIS έρευνες πρόσβασης (αν υπάρχουν νεότερες) για ευρήματα relative.

Σχετική Βιβλιογραφία

9. European Commission. Rare diseases and European Reference Networks [Internet]. Available from: https://health.ec.europa.eu/rare-diseases-and-european-reference-networks/rare-diseases_en
10. European Parliamentary Research Service. Rare diseases and orphan medicinal products [Internet]. 2025. Available from: https://www.europarl.europa.eu/RegData/etudes/ATAG/2025/769503/EPRS_ATA%282025%29769503_EN.pdf
11. European Union. Regulation (EC) No 141/2000 on orphan medicinal products. 2000. Available from: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32000R0141>
12. European Medicines Agency. Support for early access [Internet]. Available from: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/support-early-access>

13. U.S. Food and Drug Administration. Accelerated approval program [Internet]. Available from:
<https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/accelerated-approval-program>
14. Vokinger KN, et al. Therapeutic value assessments of novel medicines in the US and Europe. JAMA Netw Open. 2022. Available from:
<https://jamanetwork.com/journals/jamanetworkopen/fullarticle/2806832>
15. Spandidos Publications. Experimental and Therapeutic Medicine article. 2024. Available from:
<https://www.spandidos-publications.com/10.3892/etm.2024.12701>
16. Rosenberg N, et al. Access to medicines for rare diseases: A European regulatory overview. 2023. Available from:
<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC3191371/>
17. Copenhagen Economics. Spending on orphan medicinal products across Europe. 2025. Available from:
<https://copenhageneconomics.com/wp-content/uploads/2025/09/Copenhagen-Economics-Spending-on-OMPs-across-Europe.pdf>
18. OpenGov Greece. Public consultation: Ministry of Health [Internet]. Available from: <https://www.opengov.gr/yyka/?p=5592>