

Dr Sanja Stojković Zlatanović\*

## DOSTUPNOST ORFAN LEKOVA – OSNOVNA PRAVNA PITANJA RAZVOJA I FINANSIRANJA\*\*

**Apstrakt:** U radu se kritički analiziraju osnovni modeli razvoja i finansiranja orfan lekova, odnosno lekova za lečenje retkih bolesti, polazeći od principa jednakosti u zdravlju, proklamovanog u okvirima Svetske zdravstvene organizacije, i zaštite prava ranjivih kategorija stanovništva. Primenjen je uporednopravni i normativni metod, gde se na osnovama regulative Evropske unije i prava država članica ukazuje na moguće pravce razvoja domaćeg prava u kontekstu obezbeđenja dostupnosti pacijentima i ostvarivanja prava na zaštitu zdravlja. Stanovište Evropskog suda za ljudska prava u slučaju *Nitecki v. Poland* se, posebno, analizira sa aspekta refundacije cene orfan leka i ostvarivanja prava na dostupnost zdravstvenih usluga pacijentima. Model javno-privatnog partnerstva utvrđen je kao najadekvatniji u uslovima ograničenih javnih resursa, na strani države, i potrebe za iskazivanjem društvene odgovornosti, na strani (farmaceutskih) kompanija.

**Ključne reči:** orfan lekovi, finansiranje, dostupnost zdravstvene zaštite, načelo pravednosti, javno-privatno partnerstvo.

### 1. UVOD

Ograničenost resursa država u pogledu iznosa izdvajanja za zdravstvenu zaštitu i obezbeđenje njihove pravedne raspodele dugo se razmatralo u kontekstu pristupa pacijenata osnovnim zdravstvenim uslugama. Međutim, poslednja dekada dvadesetog veka obeležena je pojačanim zahtevima međunarodnih organizacija (Svetske zdravstvene organizacije, Evropske unije) za obezbeđenjem šireg obima i vrsta zdravstvenih usluga što većem broju građana. Osim toga, međunarodne organizacije zalažu se za povećanje istraživanja novih oblika lečenja zdravstvenih stanja koja su najčešća u siromašnim državama.<sup>1</sup> Jedan od zahteva jeste i obezbeđenje

\* Naučni saradnik, Institut društvenih nauka, Beograd  
e-mail: sanjazlatanovic1@gmail.com

\*\* Rad je nastao u okviru projekta br. III 41004 „Retke bolesti: molekularna patofiziologija, dijagnostički i terapijski modaliteti, i socijalni, etički i pravni aspekti“ koji finansira Ministarstvo prosvete, nauke i tehnološkog razvoja Republike Srbije.

1 Gerike, K. A. et. al., Etička pitanja u vezi sa finansiranjem istraživanja i razvoja lekova siročića, u: Rakić, V., Mladenović, I., Drezgić, R. (ur.), 2012, *Bioetika*, Beograd, str. 467.

dostupnosti lekova za lečenje retkih bolesti, što je naročito podržano inicijativom i uticajem udruženja pacijenata obolelih od retkih bolesti. Treba imati u vidu to da se *orfan* status dodeljuje onim lekovima za koje ne postoji ekonomski interes farmaceutske industrije da ih proizvodi. Tako se pod *orfan* lekovima podrazumevaju lekovi za lečenje tzv. „zanemarenih“, odnosno „tropskih“ bolesti čija istraživanja farmaceutska industrija nije zainteresovana da finansira jer je reč o stanju koje prevladava u zemljama u razvoju, i koje su suviše siromašne da izdvoje za njihovo finansiranje i dostupnost pacijentima. *Orfan* lekovima se još smatraju i lekovi za lečenje retkih bolesti,<sup>2</sup> koje je farmaceutska industrija „rezervisana“ da finansira zbog „retkosti“ stanja i malog broja korisnika takvih lekova. Ograničenost resursa država, s jedne strane, i potreba za zaštitom ranjivih kategorija stanovništva, kakva su lica obolela od retkih bolesti u kontekstu ostvarivanja načela jednakosti, s druge strane, dovele su do pravnih rasprava o opravdanosti finansiranja i razvoja *orfan* lekova.

## 2. PRAVNI OKVIR RAZVOJA I FINANSIRANJA ORFAN LEKOVA – REGULATIVA EVROPSKE UNIJE I NACIONALNI SISTEMI ZDRAVSTVENE ZAŠTITE

Uredbom Evropske unije o *orfan* medicinskim proizvodima 141/2000, izmenjenom Uredbom 596/2009, podstiče se istraživanje i razvoj *orfan* i *ultra orfan* lekova i predviđaju mere podrške farmaceutskim kompanijama u vidu dodeljivanja ekskluzivnog prava prometa za period od deset godina, umanjeње naknada za licencu, pomoć u podnošenju zahteva za stavljanje leka u promet, pravo direktnog pristupa proceduri za odobrenje stavljanja leka u promet, kao i ustanovljavanje posebnih istraživačkih programa kojima se obezbeđuje finansiranje „*orfan*“ lekova u određenom vremenskom periodu.<sup>3</sup> Međutim, regulativom Evropske unije nisu uređenja pitanja koja se odnose na dostupnost *orfan* lekova u državama članicama nakon što lek dobije dozvolu za promet u okvirima Evropske

2 Danas ne postoji univerzalno prihvaćena definicija retkih bolesti, s tim da se kao najčešći kriterijum za definisanje uzima prevalenca ispoljavanja bolesti na određenom geografskom prostoru. Tako, prema regulativi Evropske unije pod retkim bolestima podrazumevaju se sve bolesti koje pogađaju manje od 5 lica na 10 000 ljudi i imaju prevalencu od 0,05%. Trouiller, P., Battistella, C., Pinel, J., Pecuel, B., 1999, Is orphan drug status beneficial to tropical disease control? Comparison of the American and future European Orphan Drug Act, *Tropical Medicine and International Health*, Vol. 4, No. 6, p. 416.

3 European Parliament and the Council of the European Union Regulation 141/2000/EC of 16 December 1999 on orphan medicinal products, amended by the Regulation (EC) No 596/2009 of the European Parliament and of the Council of 18 June 2009.

unije.<sup>4</sup> Tako se dostupnost, cene i regulativa o upotrebi *orfan* lekova značajno razlikuju među državama članicama.<sup>5</sup>

S tim u vezi, dostupnost *orfan* lekova u nacionalnim državama ostvaruje se kroz sprovođenje kliničkih studija u kojima učestvuju upravo oboleli od retkih bolesti. Kliničko ispitivanje lekova, uključujući i *orfan* lekove, može se vršiti samo uz saglasnost nadležnog državnog organa. U domaćem pravu je zakonom predviđen uslov dobijanja dozvole od strane nacionalne Agencije za lekove i medicinska sredstva.<sup>6</sup> Ovlašćeni predlagač (proizvođač, sponzor, istraživač) podnosi Agenciji predlog da se klinički ispita određeni lek, uz navođenje potrebne dokumentacije, glavnog istraživača, mesta kliničkog ispitivanja, pozitivnih nalaza i mišljenja o pretkliničkim ispitivanjima. Agencija izdaje dozvolu za kliničko ispitivanje leka u roku od 60 dana od dana prijema zahteva sa potpunom dokumentacijom.<sup>7</sup> Predlagač po odobrenju zaključuje ugovor sa zdravstvenom ustanovom o sprovođenju kliničkog ispitivanja. Predlagač je dužan da pre početka ispitivanja osigura lica koja učestvuju u ispitivanju za slučaj nastanka štete po zdravlje tih lica izazvane kliničkim ispitivanjem leka, kao i da ugovorom odredi iznos neophodnih troškova koji pripadaju licima koja učestvuju u kliničkom ispitivanju.<sup>8</sup> Osim toga, kao uslov za sprovođenje kliničkog ispitivanja leka na ispitanicima zahteva se njihov informisani pristanak, dat na osnovu potpune informisanosti o prirodi i značaju kliničkog ispitivanja i mogućim rizicima, koji treba da bude slobodan, jasan, izričit i dat u pisanoj formi. Zakonom o lekovima i medicinskim sredstvima Srbije<sup>9</sup> i Pravilnikom o sadržaju zahteva, odnosno dokumentacije za odobrenje kliničkog ispitivanja leka i medicinskog sredstva, kao i načina sprovođenja kliničkog ispitivanja leka i medicinskog sredstva<sup>10</sup> detaljno je uređeno ostvarivanje prava ispitanika da učestvuje u kliničkom ispitivanju leka na osnovu informisanog pristanka. Naime, Zakon predviđa obavezno informisanje o svrsi,

4 Dear, J. et al., 2006, Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products, *British Journal of Clinical Pharmacology*, 62:3, DOI:10.1111/j.1365-2125.2006.02654.x, p. 269.

5 Huges, D. A. et al., 2005, Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding?, *Q.J.M. An International Journal of Medicine*, 98, doi:10.1093/qjmed/hci128, p. 830.

6 Mujović Zornić, H., 2008, *Farmaceutsko pravo, Pravo o lekovima i štete od lekova*, Beograd, Institut društvenih nauka, Nomos, str. 51.

7 Mujović Zornić, H., 2008, str. 52.

8 Mujović Zornić, H., 2008.

9 Zakon o lekovima i medicinskim sredstvima, *Sl. glasnik RS*, br. 30/10, 107/12, 113/17 – dr. zakon i 105/17 – dr. zakon.

10 Pravilnik o sadržaju zahteva, odnosno dokumentacije za odobrenje kliničkog ispitivanja leka i medicinskog sredstva, kao i način sprovođenja kliničkog ispitivanja leka i medicinskog sredstva, *Sl. glasnik RS*, br. 64/11 i 91/13.

prirodi, postupku i mogućim rizicima ispitivanja, kao i pisani pristanak koji mora sadržati potpis i datum potpisa, dok je Pravilnikom predviđen dodatan uslov, gde se zahteva da ispitanik potpiše izjavu da je obavešten u skladu sa propisanim zahtevima (cilj, način, pozitivni i negativni efekti, alternative, poverljivost, pisani pristanak i opoziv).<sup>11</sup>

U postupku kliničkog ispitivanja leka važnu ulogu imaju i etički komiteti, odnosno odbori koji vrše procenu naučnih i etičkih aspekata podnesenih predloga protokola ispitivanja, s tim da oni nisu nadležni samo za procenu opravdanosti, odnosno procenu predložene koristi i rizika po zdravlje ispitanika, i za prihvatanje protokola i amandmana već i za praćenje sprovođenja ispitivanja, kao i za monitoring nakon završetka ispitivanja leka.<sup>12</sup> U domaćem pravu, prethodna odluka etičkog odbora pravnog lica u kome se sprovodi kliničko ispitivanje jedan je od uslova za sprovođenje kliničkog ispitivanja leka.<sup>13</sup> Predviđa se još i zaštita prava na privatnost, fizički i psihički integritet, zaštita ličnih podataka lica koja učestvuju u kliničkom ispitivanju leka, kao i pravo na povlačenje pristanka u bilo kojoj fazi kliničkog ispitivanja. Kliničko ispitivanje *orfan* lekova odvija se prema istim pravilima koja važe i za ostale lekove koji nemaju *orfan* status, s tim da je praćeno ograničenjima u pogledu identifikacije lica obolelih od retkih bolesti koja su „pogodna“ da učestvuju u kliničkom ispitivanju leka. Razlog je „retkost“ stanja/bolesti, što uslovljava mali broj prijavljenih učesnika u kliničkom ispitivanju, ali i problem dijagnostike gde često od pojave prvih simptoma bolesti do konačne dijagnoze prođe 5 do 30 godina,<sup>14</sup> što, na kraju, značajno utiče i na verodostojnost rezultata ispitivanja. Osim toga, na sprovođenje kliničkog ispitivanja *orfan* i *ultra orfan* lekova utiče i nedostatak podataka o prirodi i toku određene retke bolesti, kao i nedostatak medicinskog znanja o retkim bolestima.<sup>15</sup> Kliničko ispitivanje lekova je zajednički posao lekara i farmaceuta, koji sprovode jednu vrstu medicinskog eksperimenta, odnosno ogleda na čoveku, u želji da uvećaju njegove šanse za izlečenjem, redukuju stalne rizike pojedinih zahvata i ponude nove mogućnosti lečenja.<sup>16</sup> Osnovna funkcija *orfan* lekova ogleda se, prvenstveno, u utvrđivanju novih mogućnosti lečenja retkih i obično genetičkih bolesti, budući da je 80% retkih bolesti genetičkog porekla.<sup>17</sup>

11 Mujović Zornić, H., 2008, str. 56.

12 Više kod: Mujović Zornić H., 2008, str. 57–60.

13 Zakon o lekovima i medicinskim sredstvima, *Sl. glasnik RS*, br. 30/10 i 107/12, član 61.

14 Tambuyzer, E., 2010, Rare diseases, orphan drugs and their regulation: questions and misconceptions, *Nature Reviews Drug Discovery*, 9, p. 2.

15 Tambuyzer, E., 2010, p. 3.

16 Mujović Zornić, H., 2008, str. 46.

17 European Organization for Rare Diseases, *Rare Diseases: understanding this Public Health Priority*, Paris, 2005, p. 5, ([http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps\\_document-EN.pdf](http://www.eurordis.org/IMG/pdf/princeps_document-EN.pdf), 21. 12. 2018).

Regulativa o uslovima za upotrebu *orfan* lekova za lečenje određenih retkih bolesti razlikuje se između država članica Evropske unije, gde obično odluke o upotrebi u okvirima nacionalnih zdravstvenih sistema donose nacionalna regulatorna tela.<sup>18</sup> U Velikoj Britaniji, na primer, odlučivanje o upotrebi *orfan* lekova za lečenje retkih bolesti je decentralizovano i postavljeno na regionalnoj osnovi – odluku u Škotskoj donosi Škotski medicinski konzorcijum, u Engleskoj Nacionalni institut za zdravstvo i kliničku praksu, a u Velsu Grupa za strategiju u oblasti medicine, pri čemu nije predviđen poseban postupak za utvrđivanje kliničke efikasnosti i ekonomske isplativosti *orfan* i *ultra orfan* lekova u odnosu na ostale lekove koji nemaju *orfan* status.<sup>19</sup> S druge strane, u Holandiji odluku o dostupnosti određenog *orfan* leka donosi ministar zdravlja, nakon konsultovanja sa Holandskim nacionalnim evaluacionim odborom.<sup>20</sup> Osim toga, predviđa se i finansiranje pojedinih *orfan* lekova iz budžeta, s tim da je ono ograničeno vremenski na dve ili tri godine u zavisnosti od pojedinačnog leka, nakon čega ministar zdravlja donosi konačnu odluku o tome da li će se finansiranje nastaviti.<sup>21</sup>

Dostupnost *orfan* i *ultra orfan* lekova, kao i predviđeni modeli njihovog finansiranja dostupni krajnjim korisnicima, odnosno pacijentima (pretežno javno finansiranje iz budžeta, finansiranje iz doprinosa obaveznog zdravstvenog osiguranja, finansiranje od strane pacijenata, tzv. finansiranje iz sopstvenog džepa /eng. *out-of-pocket*/ ili finansiranje formiranjem namenskih fondova solidarnosti zasnovanih na javno-privatnom partnerstvu) značajno se razlikuju između država Evropske unije jer je Ugovorom o osnivanju EU predviđeno pravo država članica da regulišu nacionalne sisteme zdravstvene zaštite samostalno u okvirima dostupne zdravstvene infrastrukture i ekonomskih resursa.<sup>22</sup> Pri tome, treba imati u vidu da se dostupnost pojedinih *orfan* ili *ultra orfan* lekova može osigurati jedino putem učešća pacijenata u kliničkim ispitivanjima koja mogu biti podržana u finansijskom smislu od strane države, odnosno nadležnog ministarstva, s tim da se podstiče finansiranje kliničkog ispitivanja leka od strane samih proizvođača, farmaceutskih kompanija, uz određenu podršku država (tržišni ekskluzivitet, oslobođenje od poreza i naknada i sl.).

---

18 Nacionalna regulatorna tela prilikom donošenja odluke o finansiranju i refundaciji troškova „orfan“ lekova pacijentima uzimaju u obzir sledeće kriterijume – dokaze o sigurnosti, efikasnosti, kliničkoj i ekonomskoj efektivnosti određenog leka. Huges, D. A. et al., 2005, p. 830.

19 Huges, D. A. et al., 2005.

20 Huges, D. A. et al., 2005.

21 Huges, D. A. et al., 2005.

22 Agaard, L., Kristensen, K., 2014, Access to cross-border health care services for patients with rare diseases in the European Union, *Orphan Drugs: Research and Reviews*, 4, p. 40.

### 3. MODEL JAVNOG FINANSIRANJA

Na osnovu preporuka Evropske unije, danas prevladava stanovište da prilikom regulisanja dostupnosti *orfan*<sup>23</sup> a posebno *ultra orfan* lekova u državama članicama treba poći od opšteg principa „da lica obolela od retkih bolesti ostvaruju pravo na zaštitu zdravlja pod istim (jednakim) uslovima kao i ostali oboleli od bolesti koje nisu kvalifikovane kao retke.“<sup>24</sup> U osnovi ovakvog stanovišta stoji etički princip pravednosti, odnosno princip zasnovan na pravima, prema kome sva lica, bez obzira na prirodu bolesti, ostvaruju pravo na zaštitu zdravlja pod jednakim uslovima, te da je pravo na dostojanstven minimum zdravstvene zaštite osnovno ljudsko pravo. Tako je u ustavima Francuske i Nemačke sadržana pravna obaveza pomoći licima koja se nalaze u opasnosti, odnosno nevolji, što može da se odnosi i na lečenje ozbiljnih retkih bolesti.<sup>25</sup> Primena ovog principa u oblasti upravljanja i finansiranja u okvirima sistema zdravstvene zaštite znači da, nezavisno od toga što su pojedini *orfan* lekovi jako skupi, kao i nezavisno od ograničenja koja postoje u vezi sa utvrđivanjem njihove efektivnosti i malog broja pacijenata „pogodnih“ da učestvuju u kliničkim ispitivanjima, njihovo finansiranje ima minimalni ekonomski uticaj na budžete država.<sup>26</sup> Zato se ističe da je za državu i njen sistem socijalne sigurnosti isplativije finansiranje *orfan* lekova koji su, inače, potrebni malom broju pacijenata nego plaćanje naknadnih troškova koji su posledica hroničnog invaliditeta i značajnog uticaja na kvalitet života koji nastaju u slučajevima nelečenja pojedinih retkih bolesti. U vezi s tim postoje stanovišta koja ukazuju na potrebu distribuiranja resursa u oblasti zdravstvene zaštite prema kategorijama pacijenata, tzv. socijalnim, odnosno zdravstvenim kategorijama u zavisnosti od njihovih potreba,<sup>27</sup> što zahteva prepoznavanje lica obolelih od retkih bolesti kao posebne kategorije pacijenata za čije lečenje se odvajaju posebna sredstva iz državnog budžeta. Međutim, kao značajno ograničenje primene principa zasnovanog na pravima, pojedini autori ističu problem različitog tumačenja prilikom primene prava za zaštitu zdravlja, tj. da prilikom odlučivanja o raspodeli sredstava, pravo na zdravstvenu zaštitu podložno je različitim tumačenjima u pogledu

23 Treba imati u vidu to da i lekovi za lečenje bolesti koje nisu retke mogu da dobiju „orfan“ status, u kom slučaju finansiranje ovih lekova ne predstavlja značajan teret za nacionalne zdravstvene sisteme. Dear, J. et al., 2006, p. 267.

24 Dear, J. et al., 2006, p. 269.

25 Huges, D. A. et al., 2005, p. 833.

26 Novas, C. 2012, Orphan Drugs, Patient Activism and Contemporary Healthcare, *Quaderni*, 68: Hiver 2008–2009, mis en ligne le 05 janvier 2012, consulté le 14 décembre 2012, p. 21, (<http://quaderni.revues.org/262>, 28. 1. 2019).

27 Novas, C., 2012, p. 20.

svog opsega.<sup>28</sup> Osim toga, navodi se i drugo ograničenje ovog principa, odnosno da se zakonska prava, uključujući i pravo na zaštitu zdravlja, odnose samo na pružanje postojećih oblika lečenja, zbog čega se u slučaju lica obolelih od retkih bolesti ono smatra socijalnim pravom ili opštom moralnom obavezom.<sup>29</sup> S tim u vezi, a polazeći od preovladavajućeg stanovišta o neophodnosti multisektorske saradnje u kontekstu kreiranja i vođenja javnih politika, što se, svakako, odnosi i na zdravstvenu, prepoznavanje lica obolelih od retkih bolesti, kao posebne kategorije pacijenata sa posebnim potrebama, istovremeno bi značilo i njihovo prepoznavanje kao posebne socijalne kategorije. To bi zahtevalo koordinaciju aktivnosti i mera u okvirima celog sistema socijalne sigurnosti, gde pravo na zaštitu zdravlja i jeste deo korpusa ekonomsko-socijalnih prava, a koja svoj osnov nalaze u etičkim načelima.

U skladu sa navedenim stanovištem, finansiranje *orfan* lekova, čime se obezbeđuje njihova dostupnost obolelim licima, treba da se obezbedi iz nacionalnih budžeta, po ugledu na finansiranje lečenja drugih kliničkih stanja, kao što su kanceri i dijabetes.<sup>30</sup> U Velikoj Britaniji je podržano finansiranje pojedinih *orfan* lekova iz budžeta, ali samo u tačno određenim zdravstvenim ustanovama i u ograničenom vremenskom trajanju (2 godine), s tim da je finansiranje najpre bilo predviđeno iz lokalnog budžeta, da bi kasnije bilo prebačeno na centralni budžet.<sup>31</sup> U Francuskoj su određeni *orfan* lekovi dostupni u okvirima formiranih ekspertskih centara za retke bolesti, koji ostvaruju pravo na dodatna sredstva iz centralnog budžeta za obezbeđenje *orfan* lekova.<sup>32</sup> U Holandiji se *orfan* lekovi koji su dobili dozvolu za promet nalaze na pozitivnoj listi za upotrebu u kliničkim centrima, gde 95% vrednosti leka nadoknađuje (plaća) Ministarstvo zdravlja, dok se ostalih 5% obezbeđuje iz budžeta klinike.<sup>33</sup>

U pravu Srbije, prema Zakonu o zdravstvenom osiguranju, član 22. stav 5, status osiguranika uživaju i lica obolela od retkih bolesti koje su kvalifikovane kao bolesti od većeg socijalno-medicinskog značaja.<sup>34</sup> To znači da pravo na zdravstvenu zaštitu, uključujući i pravo na *orfan* lekove,

28 Klajn Tatić, V., *Etička i pravna pitanja u vezi sa odlučivanjem o finansiranju istraživanja i razvoju lekova siročića*, u: Mujović Zornić, H. (pr.), 2014, *Ljudska prava i vrednosti u biomedicini – aspekt odlučivanja u zdravstvu*, Beograd, str. 142.

29 V. Klajn Tatić, 2014.

30 Huges, D. A. et al., 2005, p. 834.

31 Huges, D. A. et al., 2005.

32 Huges, D. A. et al., 2005, p. 835.

33 Huges, D. A. et al., 2005.

34 Zakon o zdravstvenom osiguranju, *Sl. glasnik RS*, br. 107/05, 109/05 – ispr., 57/11, 110/12 – odluka US, 119/12, 99/14, 123/14, 126/14 – odluka US, 106/15 i 10/16 – dr. zakon, član 22. st. 1. i 5.



ova lica ostvaruju u okvirima obaveznog javnog zdravstvenog osiguranja. Međutim, istraživanja sprovedena u Srbiji potvrđuju potrebu da terapijska sredstva i lekovi za retke bolesti budu na Listi lekova koje refundira Fond zdravstvenog osiguranja, što sada nije slučaj.<sup>35</sup> S tim u vezi je problem što Lista lekova koji se propisuju i izdaju na teret obaveznog zdravstvenog osiguranja često ne može da se primeni jer nema šifre dijagnoze, dijagnoza na Listi ne odgovara ili pak indikacije za lečenje ne odgovaraju leku.<sup>36</sup> Osim toga, u Srbiji je sprovedeno i istraživanje<sup>37</sup> o stavovima farmaceuta o lekovima za lečenje retkih bolesti, gde je utvrđeno da je glavni razlog nepovoljnog stanja taj što nema ulaganja u istraživanja i razvoj *orfan* lekova u Srbiji, zbog čega se predlaže donošenje strategije koja će uključiti retke bolesti u prioritete za istraživanje i razvoj lekova.<sup>38</sup> Tako, u praksi, zbog cene leka i teškoća u obezbeđenju finansijske dostupnosti, oboleli obično ostaju uskraćeni u ostvarivanju ovog zakonom garantovanog prava. Kao alternativa, resorno ministarstvo je formiralo poseban namenski fond za lečenje retkih bolesti. Međutim, sredstva ovog fonda nisu dovoljna za sve obolele, zbog čega je potrebno dalje raditi na održivom rešenju. S tim u vezi, zdravstveni sistemi država Evrope zasnivaju se na principu solidarnosti, zbog čega postoji opšta posvećenost pokrivanju troškova skupih *orfan* i *ultra orfan* lekova, sa ciljem obezbeđenja pravedne cene i njihove dostupnosti licima obolelim od retkih bolesti, uz obavezno osiguranje transparentnosti takvog finansiranja.

#### 4. MODEL PRIVATNOG FINANSIRANJA I NAMENSKI FONDOVI SOLIDARNOSTI

U slučaju primene modela potpunog javnog finansiranja *orfan* i *ultra orfan* lekova, stvara se situacija da društvo, odnosno država i građani plaćaju dva puta za lečenje retkih bolesti – prvi put u vezi sa finansiranjem istraživanja *orfan* lekova i drugi put u vezi sa finansiranjem, odnosno nadoknadom, refundacijom troškova, tj. plaćanjem cene leka krajnjim

35 Miljuš, D., Standardi, normativi i preporuke za pružanje usluga obolelima od retkih bolesti i članovima njihovih porodica – javno-zdravstvena perspektiva, u: Sjeničić, M., Milenković, M. (ur.), 2016, *Društveni i pravni položaj osoba sa retkim bolestima i njihovih porodica u Srbiji*, Beograd, str. 43.

36 Miljuš, D., 2016.

37 Krajinović, D., Arsić, J., Jocić, D., Milošević Georgijev, A., Tasić, Lj., Marinković, V., 2013, Procena znanja i stavova farmaceuta o retkim bolestima i lekovima za retke bolesti, *Acta Medica Mediana*, 2.

38 Mujović Zornić, H., Prava pacijenata u kontekstu retkih bolesti i jednakost u pristupu, u: Sjeničić, M., Milenković, M. (ur.), 2016, *Društveni i pravni položaj osoba sa retkim bolestima i njihovih porodica u Srbiji*, Beograd, str. 84.



korisnicima, odnosno pacijentima. Suprotno obavezi društva i države da pomogne licima u nevolji, što je predviđeno i ustavnim odredbama pojedinih država Evropske unije, primena principa solidarnosti podrazumeva i „solidarnost“ bogatih prema siromašnima, odnosno onima kojima je neophodna pomoć u prevazilaženju životnih nedaća. Tako, ne bi bilo pravedno da država, odnosno njeni građani u potpunosti snose troškove skupih *orfan* i *ultra orfan* lekova, dok farmaceutska industrija zadržava ceo profit.<sup>39</sup> Osim toga, pojedine države nisu u mogućnosti da samostalno obezbede finansiranje ovako skupih lekova, što je slučaj i Srbije, ali i drugih ekonomski razvijenijih država. U vezi s tim, zastupa se model deobe rizika<sup>40</sup> između javnog i privatnog sektora, odnosno uspostavljanje javno-privatnog partnerstva sa ciljem finansiranja kako istraživanja tako i obezbeđenja dostupnosti *orfan* lekova licima obolelim od retkih bolesti.<sup>41</sup> Model javno-privatnog partnerstva za finansiranje lečenja tzv. zanemarenih bolesti, bolesti siromaštva, ali i retkih bolesti ističe se, od strane Svetske zdravstvene organizacije, kao poželjan i održiv način finansiranja lečenja izrazito vulnerabilnih stanja.<sup>42</sup>

Regulatorno ustanovljavanje prava ekskluzivnog prometa leka u trajanju od deset godina, oslobođenje od plaćanja poreza, odnosno naknada ili njihovo umanjenje, predviđanje posebne procedure za dobijanje *orfan* statusa predstavlja jedan od oblika javno-privatnog partnerstva, gde država predviđa određene olakšice za farmaceutske kompanije koje odluče da proizvode i razviju *orfan* lekove. Cilj javno-privatnog partnerstva jeste maksimalna upotreba dostupnih resursa, gde se istraživanje odvija prema smernicama i uz podršku javnih regulatornih tela, s tim da se smatra da je privatni sektor, odnosno farmaceutska industrija znatno „sposobnija da osnovna naučna istraživanja ‘pretvori’ u stvarno lečenje obolelih lica“<sup>43</sup>. Navedene mere uspostavljanja javno-privatnog partnerstva odnose se na finansiranje istraživanja *orfan* i *ultra orfan* lekova, odnosno na obezbeđenje njihove dostupnosti na tržištu, ne i njihove finansijske dostupnosti korisnicima, odnosno pacijentima.

---

39 Budde, W., 2009, Healthcare funding: Rare diseases, a priority? AIM's proposals, *Pharmaceuticals Policy and Law*, 11, p. 340.

40 Model deobe rizika prvenstveno se odnosi na finansiranje skupih lekova kod kojih nisu utvrđeni čvrsti dokazi o njihovoj efektivnosti, a kao primer uzima se partnerstvo između Ministarstva zdravlja Engleske i pojedinih farmaceutskih kompanija. Huges, D. A. et al., 2005, p. 833.

41 Huges, D. A. et al., 2005.

42 Phair, D., 2008, Orphan Drug Programs, Public-Private Partnerships and Current Efforts to Develop Treatments for Diseases of Poverty, *Journal of Health & Biomedical Law*, Vol. IV, No. I, p. 193.

43 Phair, D., 2008, p. 225.

Primena modela javno-privatnog partnerstva sa ciljem obezbeđenja finansijske dostupnosti pacijentima podrazumeva da se finansiranje *orfan* i *ultra orfan* lekova obezbeđuje delom iz budžeta, odnosno iz sredstava nacionalnog sistema zdravstvene zaštite, u okvirima regulative kojom se predviđa osnivanje ekspertskih centara za retke bolesti, a delom iz sredstava privatnog sektora, odnosno predviđanjem obaveznog izdvajanja, na godišnjem nivou, određenog procenta od profita farmaceutskih kompanija. Osim toga, treba raditi na širenju svesti i podsticanju socijalne odgovornosti industrije, odnosno kompanija koje bi, na dobrovoljnoj osnovi, izdvajale određena sredstva u vidu donacija, kao deo njihovog programa društvene, odnosno socijalne odgovornosti za lečenje retkih bolesti. Ovaj model podrazumeva zakonsko predviđanje osnivanja namenskog fonda solidarnosti za lečenje retkih bolesti, koji treba da deluje na principu transparentnosti i uz učešće predstavnika države, odnosno ministarstva zdravlja, predstavnika farmaceutske industrije, kao i predstavnika organizacija pacijenata obolelih od retkih bolesti koji zajednički upravljaju fondom.

U Srbiji su za lečenje retkih bolesti i stanja, u okviru sistema zdravstvene zaštite, osnovana dva namenska fonda – Budžetski fond za lečenje oboljenja, stanja ili povreda koje se ne mogu uspešno lečiti<sup>44</sup> u Srbiji i Fond za retke bolesti. Prvi se koristi za lečenje dece i odraslih u inostranstvu ukoliko lečenje nije moguće u Srbiji, a drugi je poseban fond za lečenje retkih bolesti. Sredstva Budžetskog fonda za lečenje oboljenja, stanja ili povreda koje se ne mogu uspešno lečiti koriste se i za lečenje obolelih od određenih vrsta retkih bolesti koje su izlečive, a ne mogu se uspešno lečiti u Srbiji i za koje Republički fond za zdravstveno osiguranje ne može da obezbedi dovoljan iznos sredstava iz doprinosa za obavezno zdravstveno osiguranje, gde prioritet imaju deca i mladi.<sup>45</sup> Fond za retke bolesti osnovan je 2012. godine i finansira se isključivo iz budžeta, gde se na godišnjem nivou izdvajaju sredstva u skladu sa mogućnostima i utvrđenim prioritetima, i sastavni je deo budžeta Ministarstva zdravlja. U Srbiji postoje tri osnovna izvora finansiranja u okviru sistema zdravstvene

44 Odluka Vlade RS br. 400–9720/2014 kojom je osnovan Budžetski fond za lečenje oboljenja stanja ili povreda koje se ne mogu uspešno lečiti u Republici Srbiji, *Sl. glasnik RS*, br. 92/14 i 122/14.

45 Sjeničić, M., Milenković, M., Pravni položaj obolelih od retkih bolesti u Srbiji: organizacija zdravstvene službe, postupci pokrivanja troškova dijagnostike i lečenja iz različitih izvora finansiranja i podela nadležnosti između tela relevantnih za retke bolesti, u: Sjeničić, M., Milenković, M. (ur.), 2016, *Društveni i pravni položaj osoba sa retkim bolestima i njihovih porodica u Srbiji*, Beograd, str. 105.

zaštite: javni prihodi, dobrovoljno zdravstveno osiguranje i lični prihodi.<sup>46</sup> Osnovni izvori za obavezno zdravstveno osiguranje jesu doprinosi građana po osnovu rada, zatim prihodi iz budžeta, i lično učešće osiguranika u delu troškova (participacija).<sup>47</sup> Pod uticajem organizacija pacijenata obolelih od retkih bolesti osnovani su posebni javni fondovi, budući da pacijenti nisu u mogućnosti da iz sopstvenih sredstava finansiraju lečenje. Međutim, u javnosti se često ističe nedovoljnost javnih fondova i potreba za pronalaženjem drugog finansijski održivog modela. Načelo solidarnosti, koje je osnov sistema socijalne sigurnosti u domaćem pravu, s jedne, i načelo pravednosti, koje se u regionalnom i uporednom pravu ističe kao osnov finansiranja *orfan* lekova, s druge strane, kao najprihvatljiviji model finansiranja podržavaju model javno-privatnog partnerstva između države i kompanija, posebno onih u farmaceutskom sektoru, ali i drugih, društveno odgovornih.

## 5. PRAKSA EVROPSKOG SUDA ZA LJUDSKA PRAVA I DOSTUPNOST ORFAN LEKOVA

Pitanje nadoknade, odnosno refundacije troškova *orfan* lekova razmatrano je u slučaju *Nitecki v. Poland*<sup>48</sup> pred Evropskim sudom za ljudska prava. Tužitelju je dijagnosticirana bolest motornog neurona i propisan mu je lek *Rilutec*, kod koga se 70% vrednosti nadoknađuje u okvirima sistema zdravstvene zaštite Poljske dok ostalih 30% plaća pacijent. Međutim, u ovom slučaju, pacijent (tužitelj) nije u finansijskoj mogućnosti da plati ostatak cene leka zbog čega smatra da mu je odbijanjem prava na potpunu refundaciju povređeno osnovno ljudsko pravo, odnosno pravo na život predviđeno članom 2. Evropske konvencije o ljudskim pravima i slobodama (1950) jer nekonzumiranje propisane doze leka može da dovede do njegove smrti.

Evropski sud za ljudska prava, postupajući u ovom predmetu, doneo je odluku da nije povređeno pravo na život tužitelja zbog odbijanja Poljske da nadoknadi troškove lečenja u potpunosti. Kao obrazloženje navedena je utvrđena refundacija većeg dela troškova (70%), pa je sud zaključio da bi povreda prava na (dostojanstven) život postojala u slučajevima da nije predviđena nikakva zdravstvena usluga ili da je predviđena refundacija

---

46 Krstić, M., 2017, Ostvarivanje prava iz obaveznog zdravstvenog osiguranja u kombinovanom sistemu finansiranja u Republici Srbiji, *Pravni zapisi*, 2, str. 285.

47 Krstić, M., 2017.

48 ECtHR, *Nitecki v. Poland*, no. 65653/01, Judgment of 21 March 2002.

manjeg dela cene određenog *orfan* leka. S druge strane, praksa engleskih sudova po pitanju dostupnosti zdravstvene zaštite, što svakako uključuje i finansiranje lekova i medicinskih sredstava, pokazuje drugačiji pristup. Naime, ističe se stanovište da povreda člana 2. Evropske konvencije o ljudskim pravima i slobodama (1950) postoji „ukoliko zdravstveni radnici, odnosno lekari svesno uzrokuju smrt pacijenta uskraćivanjem lečenja koje mu je neophodno za produžavanje života, i ukoliko je to suprotno volji pacijenta, a takav medicinski tretman, odnosno lečenje proizvodi opštu kliničku korist za pacijenta.“<sup>49</sup>

U slučaju *Nitecki v. Poland*, Evropski sud za ljudska prava postupa na osnovama principa deobe rizika a u kontekstu finansiranja skupih *orfan* lekova, s tim da, u ovom slučaju, deo rizika pada na pacijenta. Stanovište Svetske zdravstvene organizacije vezano za obezbeđenje jednakosti u zdravlju i finansiranja *orfan* lekova zasniva se na principu solidarnosti, ali solidarnosti bogatih, odnosno imućnih prema siromašnima, što bi značilo da se rizik deli između države i proizvođača, odnosno farmaceutske kompanije. Pacijenti, kao slabija strana, a na osnovama primene načela pravednosti, prvenstveno pravednosti shvaćene u egalitarističkom smislu, gde se pod pravednošću podrazumeva da se prema svim pacijentima postupa jednako nezavisno od njihove mogućnosti da plate neophodne zdravstvene usluge, trebalo bi da budu posebno zaštićeni u slučajevima neophodnosti konzumiranja *orfan* lekova za lečenje i održavanje zdravstvenog stanja. Osim toga, Rolsova teorija pravde opravdava ovakvo stanovište, prema kome pravda zahteva da medicina služi ljudima koji su u lošijem položaju. Pacijenti koji imaju potrebu za *orfan* lekovima, s razlogom nazvanim „lekovima siročićima“, nalaze se u ekonomski ali i zdravstveno lošijem položaju u odnosu na druge pacijente. Neobebeđenje dostupnosti *orfan* lekova može se smatrati oblikom diskriminacije po osnovu zdravstvenog stanja, odnosno ova lica su subjekti dvostruke diskriminacije. Prvo, diskriminacije po osnovu zdravstvenog stanja u kontekstu ostvarivanja prava iz zdravstvenog osiguranja shvaćenog u opštem smislu, a zatim i diskriminacije po osnovu svojevrsnog zdravstvenog stanja – retkog stanja, u posebnom smislu.

Stanovište engleskih sudova značajno je po pitanju opravdanja obavezne dostupnosti zdravstvene zaštite i pružanja individualnih medicinskih usluga od strane zdravstvenih radnika, prvenstveno sa aspekta utvrđivanja odgovornosti za neukazivanje medicinske pomoći. To znači

---

49 Hyry, H. I. et al., 2013, The legal imperative for treating rare disorders, *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 8, p. 2.

da se ono tiče odnosa zdravstvenog radnika i pacijenta, u pitanju je odnos između fizičkih lica. S druge strane, u vezi sa obezbeđenjem *orfan* lekova, reč je o odnosu između pacijenta i javne vlasti, odnosno kreatora politike zdravstvene zaštite sa aspekta alokacije resursa. Dakle, u ovom slučaju, odnos je javnopravnog karaktera. Dostupnost *orfan* lekova je pitanje odgovornosti koje je društvene i političke prirode, a njihovo obezbeđenje pacijentima od strane država je više etički imperativ nego pravni, što je potvrđeno i pravom Evropske unije, gde se u oblasti zdravstvene zaštite primenjuje princip koordinacije, ne i harmonizacije prava. Naime, kreiranje i vođenje zdravstvene politike, uključujući i politiku vezanu za dostupnost i finansiranje lekova i medicinskih sredstava, u nadležnosti je država članica, te zavisi od postojeće zdravstvene infrastrukture i ekonomskih mogućnosti država.

## 6. ZAKLJUČAK

Termin „*orfan* lekovi“ se danas, pre svega, koristi za označavanje lekova za lečenje retkih bolesti i stanja. Iako je reč o bolestima koje imaju nisku prevalencu ispoljavanja, zbog čega je cena ovih lekova visoka, a farmaceutske kompanije nisu zainteresovane da ih proizvode zbog malog broja korisnika i visokih troškova razvoja i proizvodnje, načelo jednakosti u zdravlju, kao i načelo pravednosti zahtevaju utvrđivanje održivog modela njihovog finansiranja. Pravo na zaštitu zdravlja, koje podrazumeva dostupnost zdravstvene zaštite, što uključuje i dostupnost lekova i medicinskih sredstava, garantuje se svima, bez obzira na prirodu i vrstu bolesti. Obaveza savremenih država jeste da spreče diskriminaciju po osnovu zdravstvenih karakteristika i u oblasti zaštite zdravlja. Dužnost medicine, sa etičkog aspekta, jeste stalno unapređenje i pronalaženje novih načina lečenja bolesti, uključujući i one koje se kvalifikuju kao „retke“, zbog čega država treba da finansijski podrži i podstiče farmaceutske kompanije da proizvode *orfan* lekove. S druge strane, neophodno je obezbediti i finansijsku dostupnost tih lekova pacijentima u kontekstu utvrđivanja održivog modela finansiranja. S tim u vezi, etički se smatra opravdanom primena principa deobe rizika između javne vlasti, odnosno države, i privatnog sektora, odnosno proizvođača, u ovom slučaju farmaceutskih kompanija. To se, zatim, pravno reguliše u okvirima modela javno-privatnog partnerstva i osnivanja namenskih fondova solidarnosti. Pravno opravdanje nalazimo u konceptu zaštite prava manjinskih i marginalizovanih društvenih grupa, specijalizacije potreba i, posledično, specijalizacije prava sa ciljem sprečavanja diskriminacije.

## LITERATURA

1. Aagaard, L., Kristensen, K., 2014, Access to cross-border health care services for patients with rare diseases in the European Union, *Orphan Drugs: Research and Reviews*, 4.
2. Budde, W., 2009, Healthcare funding: Rare diseases, a priority? AIM's proposals, *Pharmaceuticals Policy and Law*, 11.
3. Gerike, K. A. et al., Etička pitanja u vezi sa finansiranjem istraživanja i razvoja lekova siročića, u: Rakić, V., Mladenović, I., Drezgic, R. (ur.), 2012, *Bioetika*, Beograd.
4. Dear, J. et al., 2006, Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products, *British Journal of Clinical Pharmacology*, 62:3, DOI:10.1111/j.1365-2125.2006.02654.x.
5. European Organization for Rare Diseases, 2015, *Rare Diseases: understanding this Public Health Priority*, Paris.
6. Huges, D. A. et al., 2005, Drugs for exceptionally rare diseases: do they deserve special status for funding?, *Q.J.M. An International Journal of Medicine*, 98, doi:10.1093/qjmed/hci128.
7. Hyry, H. I. et al., 2013, The legal imperative for treating rare disorders, *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 8.
8. Klajn Tatić, V., Etička i pravna pitanja u vezi sa odlučivanjem o finansiranju istraživanja i razvoju lekova siročića, u: Mujović Zornić, H. (pr.), 2014, *Ljudska prava i vrednosti u biomedicini – aspekt odlučivanja u zdravstvu*, Beograd.
9. Krajinović, D., Arsić, J., Jocić, D., Milošević Georgijev, A., Tasić, Lj., Marinković, V., 2013, Procena znanja i stavova farmaceuta o retkim bolestima i lekovima za retke bolesti, *Acta Medica Medianae*, 2.
10. Krstić, M., 2017, Ostvarivanje prava iz obaveznog zdravstvenog osiguranja u kombinovanom sistemu finansiranja u Republici Srbiji, *Pravni zapisi*, 2.
11. Miljuš, D., Standardi, normativi i preporuke za pružanje usluga obolelima od retkih bolesti i članovima njihovih porodica – javno-zdravstvena perspektiva, u: Sjeničić, M., Milenković, M. (ur.), 2016, *Društveni i pravni položaj osoba sa retkim bolestima i njihovih porodica u Srbiji*, Beograd.
12. Mujović Zornić, H., 2008, *Farmaceutsko pravo, Pravo o lekovima i štete od lekova*, Beograd, Institut društvenih nauka, Nomos.
13. Mujović Zornić, H., Prava pacijenata u kontekstu retkih bolesti i jednakost u pristupu, u: Sjeničić, M., Milenković, M. (ur.), 2016, *Društveni i pravni položaj osoba sa retkim bolestima i njihovih porodica u Srbiji*, Beograd.
14. Novas, C., 2012, Orphan Drugs, Patient Activism and Contemporary Healthcare, *Quaderni*, 68: Hiver 2008–2009, mis en ligne le 05 janvier 2012, consulté le 14 décembre 2012, (<http://quaderni.revues.org/262>, 28.01.2019).
15. Phair, D., 2008, Orphan Drug Programs, Public-Private Partnerships and Current Efforts to Develop Treatments for Diseases of Poverty, *Journal of Health & Biomedical Law*, Vol. IV, No. I.

16. Sjeničić, M., Milenković, M., Pravni položaj obolelih od retkih bolesti u Srbiji: organizacija zdravstvene službe, postupci pokrivanja troškova dijagnostike i lečenja iz različitih izvora finansiranja i podela nadležnosti između tela relevantnih za retke bolesti, u: Sjeničić, M., Milenković, M. (ur.), 2016, *Društveni i pravni položaj osoba sa retkim bolestima i njihovih porodica u Srbiji*, Beograd.
17. Tambuyzer, E., 2010, Rare diseases, orphan drugs and their regulation: questions and misconceptions, *Nature Reviews Drug Discovery*, 9.
18. Trouiller, P., Battistella, C., Pinel, J., Pecuel, B., 1999, Is orphan drug status beneficial to tropical disease control? Comparison of the American and future European Orphan Drug Act, *Tropical Medicine and International Health*, Vol. 4, No. 6.

## PRAVNI IZVORI

1. European Parliament and the Council of the European Union Regulation 141/2000/EC of 16 December 1999 on orphan medicinal products.
2. Odluka Vlade RS br. 400–9720/2014 kojom je osnovan Budžetski fond za lečenje oboljenja, stanja ili povreda koje se ne mogu uspešno lečiti u Republici Srbiji, *Sl. glasnik RS*, br. 92/14 i 122/14.
3. Zakon o lekovima i medicinskim sredstvima, *Sl. glasnik RS*, br. 30/10 i 107/12.
4. Zakon o zdravstvenom osiguranju, *Sl. glasnik RS*, br. 107/05, 109/05 – ispr., 57/11, 110/12 – odluka US, 119/12, 99/14, 123/14, 126/14 – odluka US, 106/15 i 10/16 – dr. zakon.
5. Pravilnik o sadržaju zahteva, odnosno dokumentacije za odobrenje kliničkog ispitivanja leka i medicinskog sredstva, kao i način sprovođenja kliničkog ispitivanja leka i medicinskog sredstva, *Sl. glasnik RS*, br. 64/11 i 91/13.

## SUDSKA PRAKSA

1. ECtHR, *Nitecki v. Poland*, no. 65653/01, Judgment of 21 March 2002.

### AVAILABILITY OF ORPHAN DRUGS – BASIC LEGAL ISSUES OF DEVELOPMENT AND FINANCING

Sanja Stojković Zlatanović

#### SUMMARY

This paper critically analyzes the basic models for the development and financing of orphan drugs, i.e. medicines for the treatment of rare diseases, starting from the principle of equality in health care proclaimed within the framework of the World Health Organization and to the protection of the rights of vulnerable categories of the population as well. A comparative



and normative method has been applied. On the basis of the regulations of the European Union and the national laws of the member states, the paper emphasizes the possible solutions for the development of domestic law in the context of ensuring access to patients and exercising the right to health care. The opinion of the European Court of Human Rights in the case of *Nitecki v. Poland* is, specifically, analyzed from the aspect of refunding the price of an orphan medicinal product and exercising the right to access to health care services for patients. The model of public-private partnership was identified as the most adequate one in the conditions of limited public resources, taking into account the interest of the state, and the need for expressing social responsibility considering the interest of the (pharmaceutical) companies. The model is based on the (bio)ethic principle of justice, conceptualized as assistance to those people who suffer from bad health condition and who are economically worse off.

**Key words:** Orphan drugs, financing, availability of health care, principle of justice, public-private partnership.

Dostavljeno Uredništvu: 19. februara 2019. godine

Prihvaćeno za objavljivanje: 14. juna 2019. godine