

Building a sustainable & effective framework for treating rare diseases: Europe's experiences

Patients' Union Congress
Moscow, 28 May 2010

Wills Hughes-Wilson
Senior Director, Health Policy Europe, Genzyme

Формирование надежной и эффективной концепции лечения редких болезней: европейский опыт

**Первый Всероссийский конгресс пациентов и
пациентских ассоциаций
Москва, 28 мая 2010**

Уилс Хьюгс-Уилсон
Ст. директор в области политики
здравоохранения в Европе, Джензайм

Opportunity to create a National Plan to address Rare Diseases?

- Russia does not have Orphan Drug legislation or Rare Disease policy (yet)
- Is now the time to consider developing legislation and a National Plan for Rare Diseases for Russia
- The patient groups are the experts in this field – they know what is needed

Каковы возможности для создания Национального плана по редким заболеваниям?

- В России отсутствует законодательство или политика по редким болезням (пока)
- Возможно именно сейчас стоит рассмотреть возможность развития законодательства и Национального плана по редким заболеваниям в России.
- Пациентские ассоциации являются экспертами в данной области и знают, что действительно необходимо.

Opportunity to create a National Plan to address Rare Diseases?

- You are the experts: and there is a “window of opportunity”
- You can draw on experience from the USA (since 1983) and the EU (since 1999-2000)
- Many countries are building legislation
- Many countries in the European Union and elsewhere in the world are building Rare Disease plans

Каковы возможности для создания Национального плана в отношении редких болезней?

- Вы являетесь экспертами: и это открывает “окно возможностей”
- Вы можете заимствовать опыт у США (с 1983 года) и Евросоюза (с 1999-2000 гг.)
- Многие страны создают законодательство
- Многие страны в Евросоюзе и по всему свету создают планы по редким болезням

What are Rare Diseases?

- More than 7,000 rare diseases identified
- Chronic, debilitating illnesses that usually result in death
- 80% have genetic origins
- Symptoms appear at birth, childhood, or adulthood

Что такое редкие болезни?

- Идентифицировано более 7,000 редких болезней
- Хронические, инвалидизирующие болезни, как правило, приводящие к смерти
- 80% имеют генетические причины
- Симптомы проявляют при рождении, в детстве или у взрослых

Why do

Rare Diseases need special attention?

- The diseases are difficult to identify & diagnose, because of small numbers of individual patients
 - There is a lack of public awareness
 - Rarity increases the complexity of clinical development & means high costs to develop the treatments
 - There is often limited interest by industry in Research & Development for rare disease treatments, because of few patients
 - If treatments do exist, it is often difficult for patients to get access to them
- ➔ Many governments have taken action to address these challenges

Почему редкие заболевания требуют особого внимания?

- Трудности в идентификации & диагностике данных заболеваний из-за небольшого числа пациентов
 - Недостаточная осведомленность общественности
 - Редкость заболевания увеличивает сложность клинических разработок, высокая стоимость разработок схем лечения
 - Ввиду небольшого числа пациентов, большинство фармацевтических компании проявляют ограниченный интерес к разработке препаратов и исследованию схем лечения редких заболеваний
 - Даже в случае наличия известного лечения, пациентам зачастую сложно его получить
- ➔ Правительства многих стран предпринимают действия для решения этих сложных задач

Examples of Orphan Drug Policies

Innovation-focused

Australia
European Union
Japan
Korea
Taiwan
United States

- Original government policies to stimulate development of orphan drugs.
- Mainly in developed countries.

Access/Reimbursement-focused

Developed Markets

Australia
Canada
EU
Japan
Taiwan
United States

Developing Markets

Argentina
Brazil
Bulgaria
Chile
Colombia
Serbia

- “Next generation” of government policies to ensure patient access to and reimbursement for available treatments.
- In both developed and developing countries.

Примеры выбора политики в отношении сиротских лекарственных средств

Фокус на инновации

Австралия
Европейский союз
Япония
Корея
Тайвань
США

- Местные политики правительств с целью стимулирования разработки сиротских/орфанных лек.средств.
- Главным образом в развитых странах.

Фокус на

доступности / компенсации

Развитые рынки

Развивающиеся рынки

Австралия	Аргентина
Канада	Бразилия
Европейский союз	Болгария
Япония	Чили
Тайвань	Колумбия

США

Сербия

- “Следующее поколение” политик правительств в обеспечении гарантий доступности лечения и обеспечение лечением
- Как в развитых, так и в развивающихся странах.

The EU's Orphan Regulation (No. 141/2000) was created in 1999-2000

Criteria – which diseases can benefit? Prevalence + severity of the disease + no satisfactory existing treatment

Safety & efficacy rules
– rare disease patients still deserve high quality drugs!

Single EU-wide Marketing Authorisation
to facilitate uniform access to patients in all EU countries

BUT also calls on EU Member States to design programmes to ensure patients get access to care!

Нормативный Акт Европейского сообщества в отношении сиротских лекарственных средств (No. 141/2000), подготовленный в 1999-2000

Критерии – затраты на лечение каких заболеваний могут быть компенсированы?

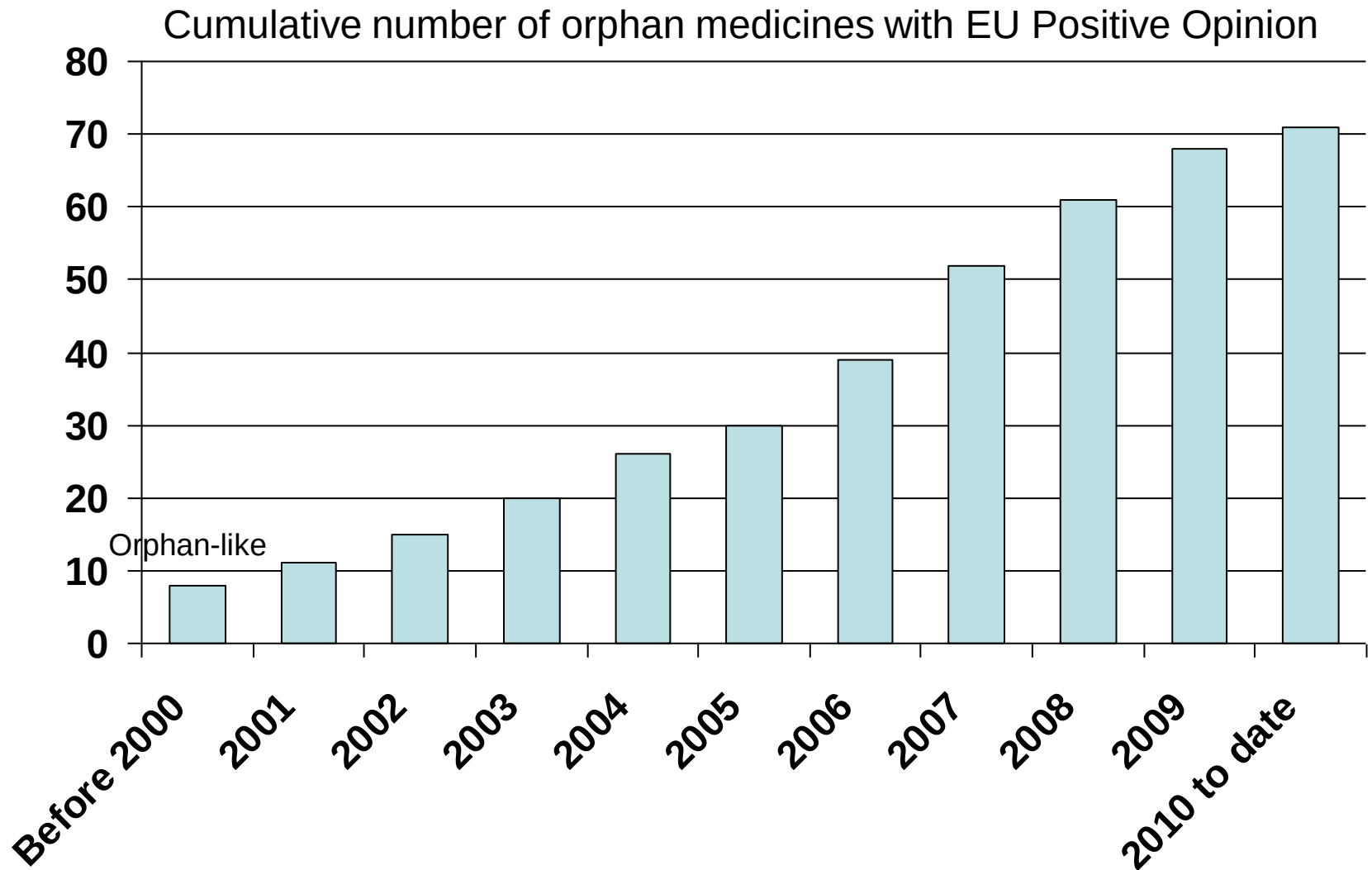
Частота встречаемости + Тяжесть заболевания + Отсутствие приемлемых схем лечения

Правила безопасности & эффективности
– пациенты с редкими заболеваниями достойны лекарств высокого качества!

Единая регистрация в ЕС облегчает постоянную доступность лекарственных средств для пациентов во всех странах ЕС

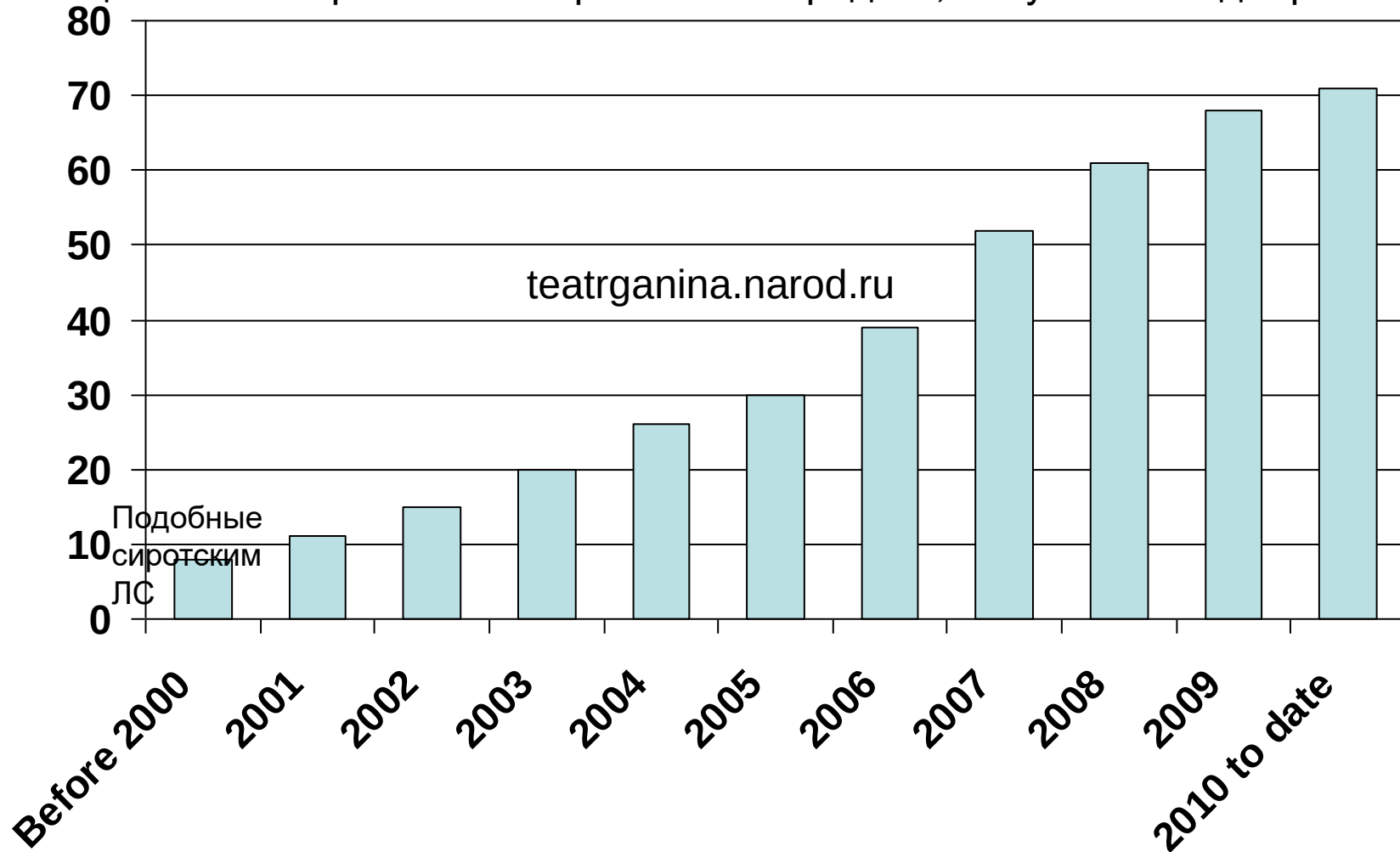
НО членам Европейского сообщества необходимо также создать специальные программы, чтобы обеспечить пациентам необходимую помощь!

The legislation works – there are now many new drugs for previously untreatable rare diseases



Законодательство работает – в настоящий момент существует множество новых лекарств для лечения неизлечимых в прошлом редких заболеваний

Общее число сиротских лекарственных средств, получивших одобрение в ЕС



But drugs are only one part of it

- Rare Disease patients need access to all aspects of care!
 - Diagnosis
 - Treatment
 - Social care
 - Expertise
 - ...
- And, moreover, 10 years after the EU legislation was created, even where drugs exist, EU Patients were not getting access to them

Но лекарства лишь только одна часть вопроса...

- Пациентам с редкими заболеваниями должен быть обеспечен доступ ко всем аспектам помощи!
 - Диагностика
 - Лечение
 - Социальная помощь
 - Экспертиза
 - ...
- Но, вместе с тем, спустя 10 лет после принятия соответствующего законодательства в Европейской сообществе, даже при наличии лекарств, пациенты в ЕС не получали доступа
к ним

November 2008 + June 2009

- European Commission Communication on Rare Diseases – November 2008
 - To set out a strategy to support EU Member States in ensuring effective and efficient recognition, prevention, diagnosis, treatment, care and research for rare diseases in Europe
- EU Council Recommendation on action in the field of Rare Diseases – June 2009
 - Member States commit to establish national strategies or plans for Rare Diseases

Ноябрь 2008 + Июнь 2009

- Совещание Европейской Комиссии по редким заболеваниям – Ноябрь 2008
 - Разработать стратегию поддержки стран ЕС по обеспечению эффективного и действенного выявления, профилактики, диагностики, лечения, внимания и исследования редких заболеваний в Европе
- Рекомендации совета ЕС по действиям в сфере редких заболеваний – Июнь 2009
 - Страны ЕС обязуются разработать национальные стратегии или проекты по редким заболеваниям

Council Recommendation & Commission Communication

1

+

2



COUNCIL OF
THE EUROPEAN UNION



**Council Recommendation on
action in the field of rare diseases**

*2947th EMPLOYMENT, SOCIAL POLICY, HEALTH AND
CONSUMER AFFAIRS Council meeting*

Luxembourg, 9 June 2009

"THE COUNCIL OF THE EUROPEAN UNION,

Having regard to the Treaty establishing the European Community, and in particular the second subparagraph of Article 152(4) thereof,

Having regard to the proposal from the Commission,

Having regard to the opinion of the European Parliament¹,

Having regard to the opinion of the European Economic and Social Committee²,

Whereas:

(1) Rare diseases are a threat to the health of EU citizens insofar as they are life-threatening or chronically debilitating diseases with a low prevalence and a high level of complexity. Despite their rarity, there are so many different types of rare diseases that millions of people are affected.



COMMISSION OF THE EUROPEAN COMMUNITIES

Brussels, 11.11.2008
COM(2008) 679 final

**COMMUNICATION FROM THE COMMISSION TO THE EUROPEAN
PARLIAMENT, THE COUNCIL, THE EUROPEAN ECONOMIC AND SOCIAL
COMMITTEE AND THE COMMITTEE OF THE REGIONS**

on Rare Diseases: Europe's challenges

{SEC(2008)2713}
{SEC(2008)2712}

Рекомендации совета & Документы комиссии

1

+

2



COUNCIL OF
THE EUROPEAN UNION



**Council Recommendation on
action in the field of rare diseases**

*2947th EMPLOYMENT, SOCIAL POLICY, HEALTH AND
CONSUMER AFFAIRS Council meeting*

Luxembourg, 9 June 2009

"THE COUNCIL OF THE EUROPEAN UNION,

Having regard to the Treaty establishing the European Community, and in particular the second subparagraph of Article 152(4) thereof,

Having regard to the proposal from the Commission,

Having regard to the opinion of the European Parliament¹,

Having regard to the opinion of the European Economic and Social Committee²,

Whereas:

(1) Rare diseases are a threat to the health of EU citizens insofar as they are life-threatening or chronically debilitating diseases with a low prevalence and a high level of complexity. Despite their rarity, there are so many different types of rare diseases that millions of people are affected.



COMMISSION OF THE EUROPEAN COMMUNITIES

Brussels, 11.11.2008
COM(2008) 679 final

**COMMUNICATION FROM THE COMMISSION TO THE EUROPEAN
PARLIAMENT, THE COUNCIL, THE EUROPEAN ECONOMIC AND SOCIAL
COMMITTEE AND THE COMMITTEE OF THE REGIONS**

on Rare Diseases: Europe's challenges

{SEC(2008)2713}
{SEC(2008)2712}

National Plans for Rare Diseases in the EU Countries

- These National Plans should ensure that rare disease patients have access to high-quality care, including diagnostics, treatments, quality of life, and effective orphan drugs
- Define a limited number of priority actions within their plans or strategies, with objectives and follow-up mechanisms
- EU countries should aim to ensure the long-term sustainability of rare disease infrastructure through appropriate funding mechanisms.

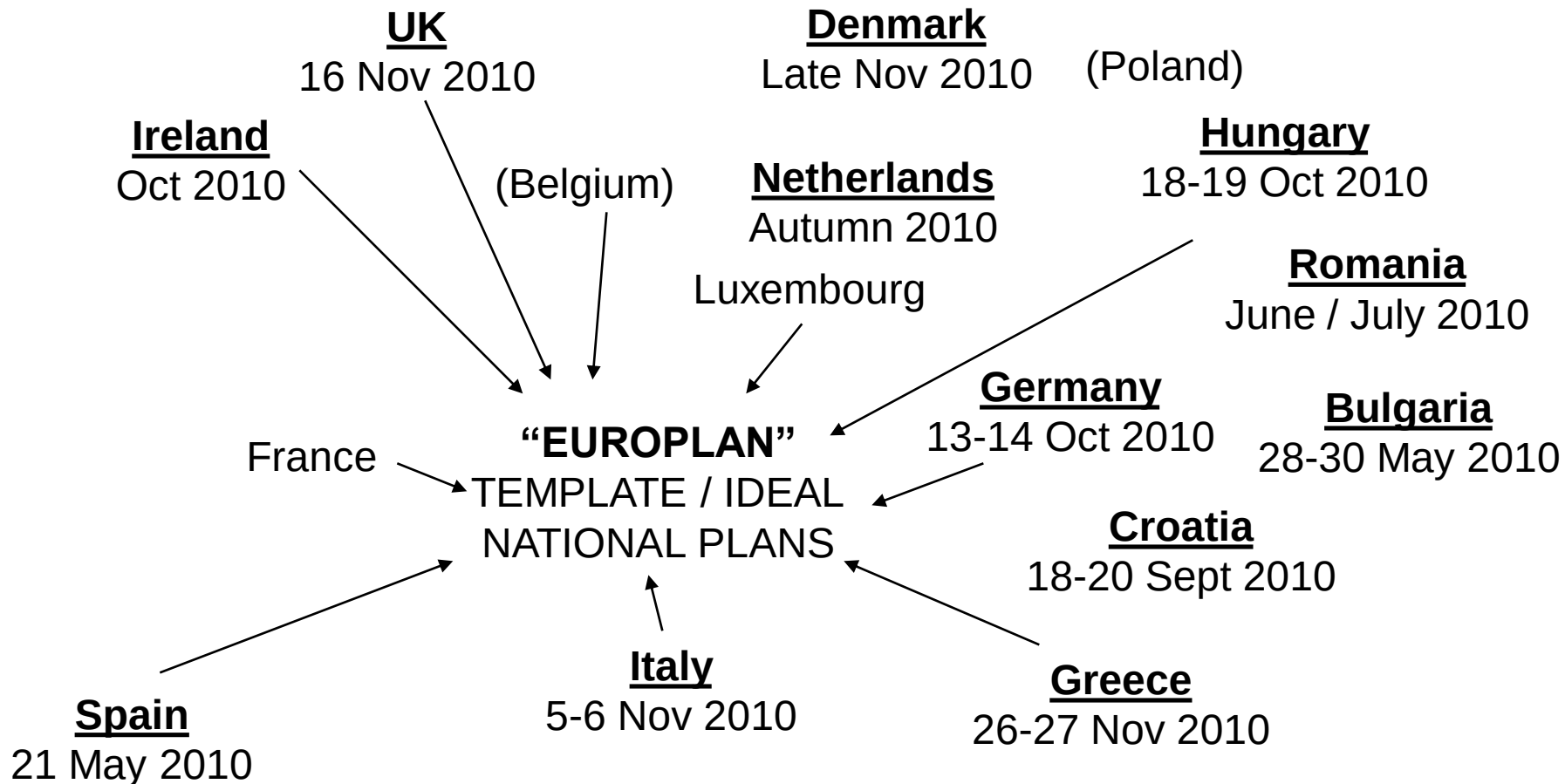
Национальные Планы по редким заболеваниям в странах ЕС

- Национальные Планы должны гарантировать пациентам с редкими заболеваниями доступ к высококачественной помощи, включая диагностику, лечение, качество жизни и доступность эффективных препаратов для лечения редких заболеваний.
- Определяют определенную последовательность приоритетных действий в рамках национального проекта или стратегий с определенными целями и контролирующими механизмами
- Страны ЕС должны гарантировать долгосрочное сохранение инфраструктуры по редким заболеваниям с помощью определенных финансовых механизмов.

Each country decides what they need – and they share the information on what they are doing

Multi-stakeholder conferences – with patients
governments, scientists, industry...to decide

Sweden
11 Nov 2010



Каждая страна решает что необходимо – и обменивается информацией о предпринимаемых действиях

Конференции заинтересованных сторон –
пациентов, правительства, ученых,
представителей промышленности... для решения

Швеция
11 Ноября 2010

Великобритания
16 Ноября 2010

Дания
Конец Ноября 2010 (Польша)

Ирландия
Октябрь 2010

(Бельгия)

Нидерланды
Осень 2010

Венгрия
18-19 Октября 2010

Румыния
Июнь / Июль 2010

Люксембург

Германия
13-14 Октября 2010

Болгария
28-30 Мая 2010

Франция

“ЕВРОПЛАН”
ШАБЛОН / ИДЕАЛЬНЫЕ
НАЦИОНАЛЬНЫЕ ПРОЕКТЫ

Хорватия
18-20 Сентября 2010

Испания
21 Мая
2010

Италия
5-6 Ноября 2010

Греция
26-27 Ноября 2010



What could be important elements in building a National Plan?

- Develop effective early diagnosis & screening programmes
 - Establish “centers of excellence” for rare diseases
 - Support for patient organisations
 - Create incentives for the production or importation of orphan drugs
 - Establish orphan-drug specific rules around clinical trials
 - Establish a national fund to support research and development into new research on rare diseases at the federal and state levels
 - Provide a defined period of market exclusivity for new orphan drugs
- ➔ Each country has its own needs and systems! But there are some things we can share!

Что может быть наиболее важно при создании Национального плана?

- Разработка эффективной программы скрининга и ранней диагностики
 - Основание «Специализированных медицинских центров по редким болезням
 - Поддержка пациентских организаций
 - Создание механизма стимулирования производства важных сиротских препаратов
 - Внедрение особых правил проведения клинических исследований для орфанных препаратов
 - Создание национального фонда для поддержки исследований в области редких заболеваний на государственном уровне
 - Предоставление эксклюзивных прав на маркетинг новых сиротских препаратов на определенный период времени
- ➔ Каждая страна имеет свою систему лекарственного обеспечения и свои особенности. Однако существуют общие принципы, которыми мы можем поделиться

**Overview of development of
National Plans for Rare Diseases**



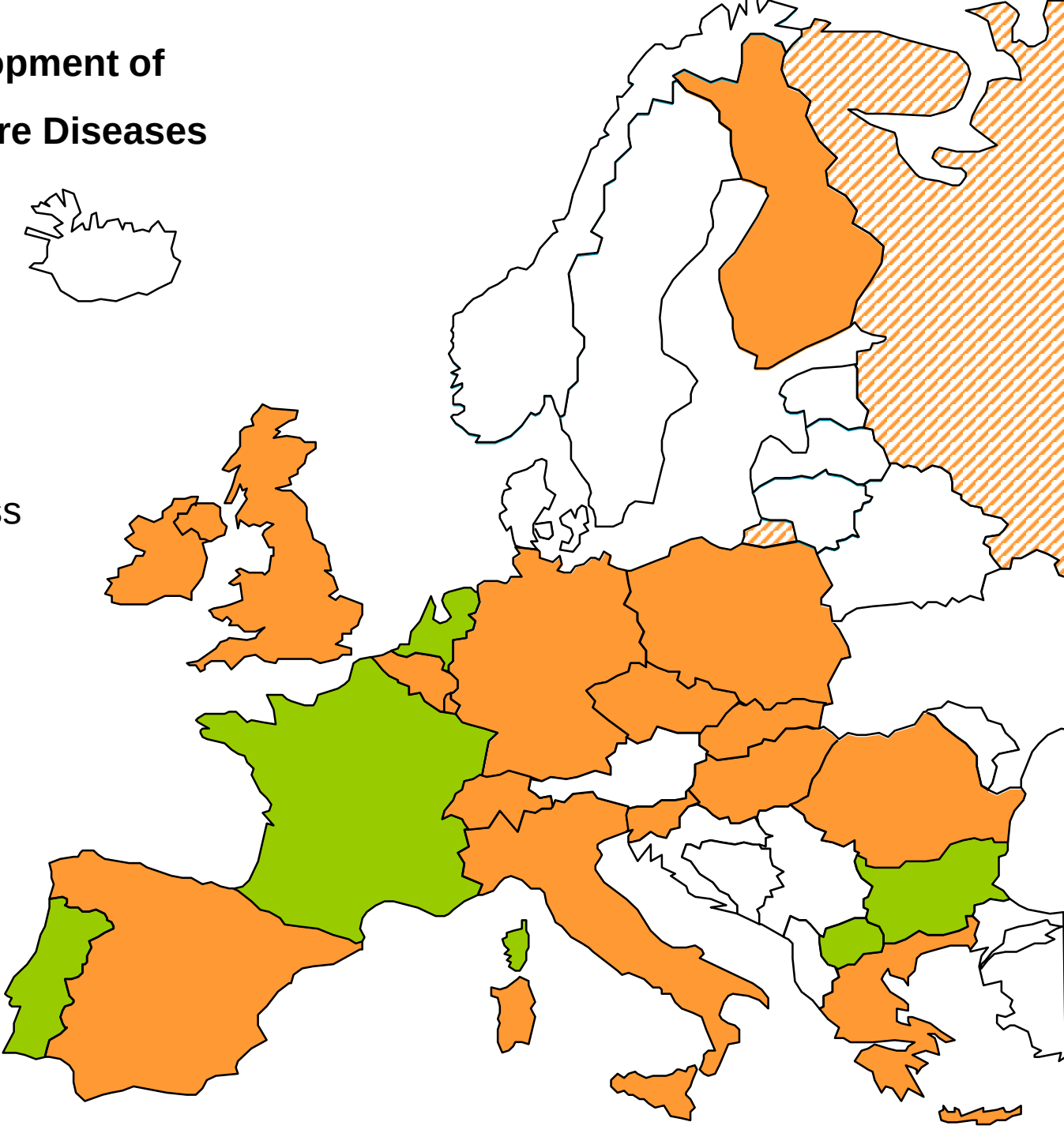
Approved



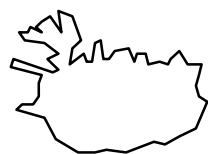
In progress



No plan



Внедрение Национальных планов для редких заболеваний



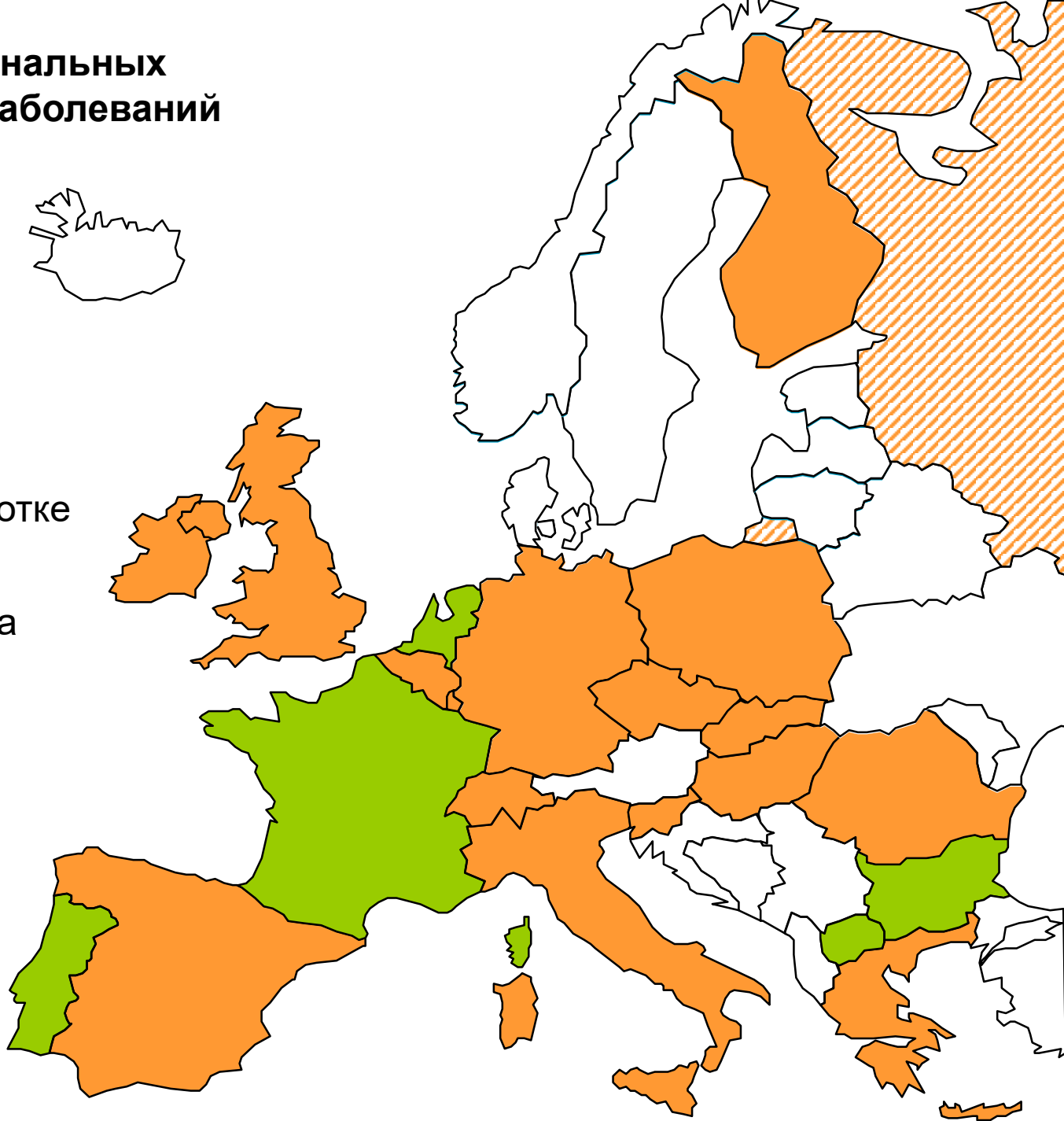
Одобен



В разработке



Нет плана



One key starting point: A Multi-Stakeholder Advisory Committee

- **All stakeholders involved to ensure that decisions are well-informed** – patients representatives are very important members, but they also include all other stakeholders: treating physicians, payers, academia and industry
- **They can bring expertise together in one place.** Rare disease expertise is scattered and the specific nature of rare diseases creates specific issues
- **They can ensure that government decisions and recommendations reflect national / societal wishes** – because they include all stakeholders
- **They can provide continuity & act as a repository of information / expertise**

Один очень важный элемент

Состав консультационного совета

- **Решения основаны на достаточной информированности:** пациенты очень важны, но важно также включить в состав комитета лечащих врачей, людей, отвечающих за финансирование, представителей фармацевтической отрасли
- Опыт специалистов из разных областей.** Редкие заболевания действительно редки и имеют свои особенности
- Они гарантируют, что государственные решения и рекомендации отражают национальные / социальные политики государства** – поскольку они включают в себя все заинтересованные стороны
- Они могут обеспечить непрерывность и выступать в качестве информационного ресурса**

An example: The Netherlands Steering Committee on Orphan Drugs

- **What is the Steering Committee?**

- Independent organisation: 10 members, 1 observer, secretariat based in research organisation
- Members: representatives of patient umbrella organisations, pharmaceutical trade associations, physicians and a hospital pharmacist, scientists, representative of the Dutch Medicine Evaluation Board and a representative of the Dutch health insurances board
- Established in 2001

- **Why does the Netherlands need a Steering Committee?**

- to improve the situation of patients with a rare disease, to improve information on rare diseases

Пример: Нидерланды

Наблюдательный совет по редким заболеваниям

- **Что такое наблюдательный комитет?**
 - Независимая организация: 10 членов, 1 наблюдатель, секретариат в исследовательской организации
 - Члены комитета: представители пациентской зонтичной организации, представители фармацевтических ассоциаций, врачи и провизоры больниц, ученые, представители национального медицинского комитета и национальных страховых компаний
 - Основан в 2001 году
- **Почему стране необходим наблюдательный комитет?**
 - Улучшить ситуацию с лечением пациентов с редкими заболеваниями, улучшить ситуацию с информацией о редких заболеваниях

The Netherlands

Steering Committee on Orphan Drugs

- **What does the Steering Committee do?**
 - Collects information on rare diseases and orphan drugs in The Netherlands and is an information centre
 - Develops new research programmes on rare diseases and give more publicity to the European funding programmes
 - Improves voluntary registration of patients with a rare disease.
 - Investigates existing diagnosis and treatment of rare diseases in The Netherlands and abroad and encourages best practice
 - Improves procedures to get a non-registered drug available for a rare disease.
 - Encourages debate on orphan drugs to improve the diagnosis and treatment of rare diseases
- **Multi-stakeholder groups are also established in Belgium, Bulgaria, Netherlands, Portugal**

EPPOSI – another multi-stakeholder group

- Patients, Science and Industry
- Annual Rare Disease Workshop, bringing together all stakeholders to discuss challenges / developments around rare diseases:

10th EPPOSI WORKSHOP ON PARTNERING FOR RARE DISEASE THERAPY DEVELOPMENT

*10 years after the Adoption of the EU Orphan Medicines Regulation:
Where do we go to?*

-
Belgian Federal Parliament - Brussels, Belgium
-

Monday 26- Tuesday 27 October 2009

EPPOSI

одна из важнейших рабочих групп

- Объединяет пациентов, представителей науки и фармацевтической индустрии
- Проводит ежегодные объединенные рабочие встречи, посвященные обсуждению новых технологий и разработок в области редких болезней:

10th EPPOSI WORKSHOP ON PARTNERING FOR RARE DISEASE THERAPY DEVELOPMENT

*10 years after the Adoption of the EU Orphan Medicines Regulation:
Where do we go to?*

-
Belgian Federal Parliament - Brussels, Belgium
-

Monday 26- Tuesday 27 October 2009

How did we get there?

- Cooperation: vital that all stakeholders work together - patients' organisations, academia, industry, governments / authorities, payers
- Governments are looking for support to enable them to deliver high-quality healthcare to their citizens
- If stakeholders can present a united front, governments are willing to engage and consider proposals

Как мы этого достигли?

- Кооперация: жизненно важным является тесное сотрудничество всех заинтересованных сторон – пациентских организаций, ученых, представителей фармацевтической индустрии, министерств и правительства
- Правительства заинтересованы в поддержке, инициатив, позволяющих предоставить населению высококачественную медицинскую помощь
- Когда все заинтересованные участники выступают единой группой, тогда правительство обычно готово обсуждать предложения и поддерживать инициативу

Conclusions

- “1-size does not fit everyone” – each national plan must be tailored to the country
 - What do the patients need?
 - How is the healthcare system structured?
 - Need to know: what is the best mechanism for each country?
- BUT! There are many good examples that we can “borrow” and learn from
 - “Big” countries and “small” countries
 - “Rich” countries and “poor” countries
- We can all help each other by sharing that experience and information

Заключение

- “Один размер не подходит каждому” – каждый национальный план должен быть адаптирован к особенностям каждой страны
 - В чем нуждается пациент?
 - Какова структура системы здравоохранения?
 - Важно знать: какой механизм является наилучшим для каждой страны?
- Но! Существует много хороших примеров, которые можно “позаимствовать”
 - “Большие” страны и “малые” страны
 - “Богатые” страны и “бедные” страны
- Поделившись этим опытом и информацией
Все мы можем помочь друг другу.

Conclusions (2)

To be successful, what is needed?

1. Political will: the government and society must be willing to take action for rare diseases
 - It looks like the moment has arrived in Russia
2. Consensus-building
3. Concrete, constructive and sustainable recommendations
- We can all help each other by sharing that experience and information

Выводы (2)

Что нужно для успеха?

1. Политическая воля: правительство и общество должны захотеть принимать меры в отношении редких болезней
 - Видимо в России как раз настал этот момент
 2. Умение достигать консенсуса
 3. Конкретные, конструктивные и рациональные рекомендации
- Все мы можем помочь друг другу, поделившись этим опытом и информацией

Why will a National Plan be a good thing?

- Commitment from government to patients
- Where National Plans exist, quicker and better access to treatment
- Step-by-step approach for governments to improve the lives of patients
- Easier to work together across the country, as all have the same goal
- It is important to gather together the rare expertise in the field of rare diseases

What benefits can National Plans / Rare Disease Policy Programmes bring?

- **Innovation:** Advances technology to discover new pathways for the treatment of rare diseases – and may bring knowledge to more common diseases, too...
- **Health Equality:** Addresses the right of patients to be treated for their illness whether their illness is common or rare
- **Access:** Allows patients who are facing chronic or life-threatening rare diseases to access safe and effective medical therapies and funding mechanisms to afford them
- **Certainty:** Creates a legal environment for patients to maintain access to life-saving therapies on an ongoing basis
- **Economic Growth:** Generates investment in infrastructure, research & development, which allows biotechnology to revolutionise the identification, diagnosis, and treatment of rare diseases

It may be difficult
but it is important to do it...

- Every patient deserves focus on and treatment for their conditions
- There are tremendous economic and social benefits to society to treat these patients ... and significant costs (not just money!) associated with not doing anything at all

Therefore, we must ensure that we address the unmet medical needs of patients and the particular challenges faced by rare disease patients

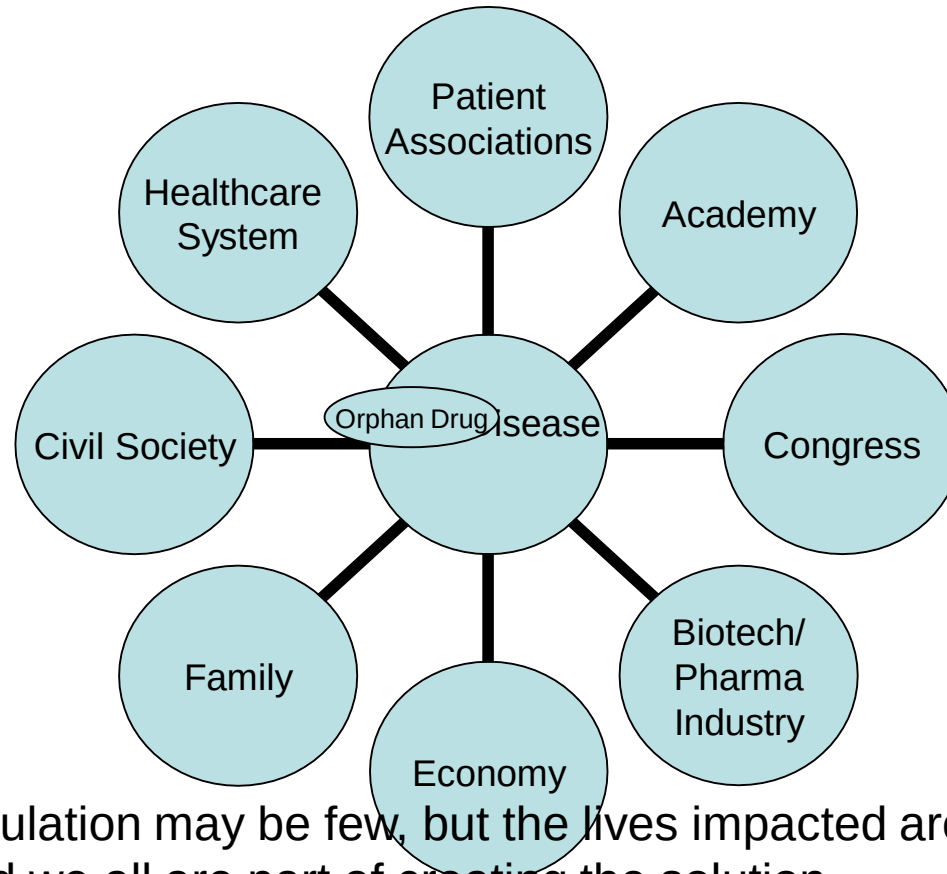
Это может оказаться сложным,
но важно это сделать...

- Каждый пациент заслуживает внимания и лечения в сооответствующих условиях
- Это огромная экономическая и социальная выгода для общества - лечить таких пациентов ... а также существенная цена (не в денежном эквиваленте!) это лучше, чем вообще ничего не делать

Поэтому мы должны убедиться, что обращаемся к пациентам с редкими болезнями, неудовлетворенными медицинскими потребностями и особыми проблемами

Conclusion

Stakeholders in Orphan Drug Legislation



The patient population may be few, but the lives impacted are many, and we all are part of creating the solution.

Заключение

**Факторы, оказывающие влияние на
Законодательство о редких лекарствах**



Количество пациентов может быть малым, но **lives impacted are many**, и все мы участвуем в поиске решения.

- Thank you for this wonderful opportunity to join you today!
- We are committed to working together with all the stakeholders to get the best outcomes for the patients here in Russia
- I hope that this presentation was interesting and useful and, again...

- Спасибо за прекрасную возможность присоединиться к вам сегодня!
- Мы решили начать совместную работу с вышеперечисленными организациями, чтобы получить лучшие результаты для пациентов здесь в России
- Надеюсь, что эта презентация была интересной и полезной, и снова...

THANK YOU!



Wills Hughes-Wilson

wills.hughes-wilson@genzyme.com

Tel: +32 2 714 1743