

Nenaplnené medicínske potreby (Unmet medical needs – UMN): Pohľad pacienta je kľúčom k novým liečebným možnostiam

Porozumenie aktuálnemu stavu vedy je kľúčové pre hľadanie riešení nenaplnených potrieb.



Vývoj liekov je vždy motivovaný snahou naplňať nenaplnené medicínske potreby u pacientov. **Cesty v liečení chorôb však nie sú vždy priamočiare.** Často je ťažké predpovedať, kam nás vedecké objavy zavedú.

Výskum často naráža na slepé uličky, kým sa podarí objaviť nový liek. Zaujímavé však je, že **úsilie zamerané na riešenie konkrétnej choroby môže priniesť prelomové poznatky aj v iných oblastiach medicíny.**

To, ako definujeme a podporujeme inovácie, bude formovať budúcnosť medicíny. Preto je potreba naďalej podporovať **výskum a vytvárať podmienky, ktoré umožnia vede hľadať nové cesty v liečbe.**

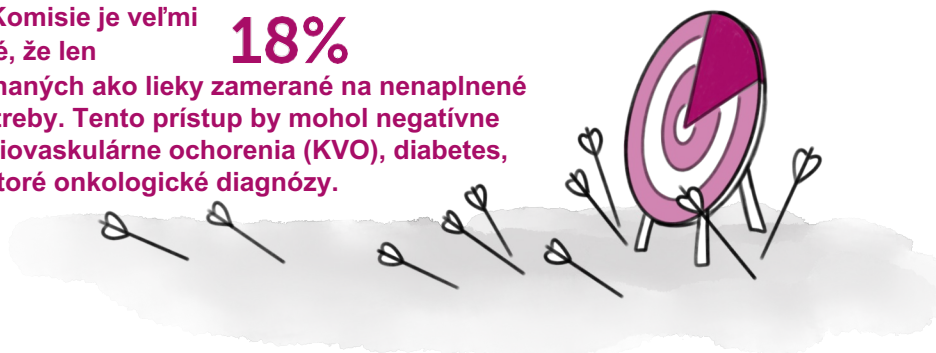


Pôvodne sa mRNA skúmala ako potenciálna onkologická liečba, no jej klinické využitie bolo minimálne. Práve tento výskum však položil základy pre objavenie vakcíny, ktorá dnes dokáže chrániť pacientov pred koronavírusom.

Správny cieľ, ale nesprávny prístup

Návrh farmaceutického legislatívneho rámca zahŕňa príliš úzku definíciu nenaplnených medicínskych potrieb (UMN), čo by mohlo **brzdiť investície v niektorých oblastiach a zároveň obmedzovať budúce inovácie.**

Podľa návrhu Komisie je veľmi pravdepodobné, že len **18%** liekov bude uznaných ako lieky zamerané na nenaplnené medicínske potreby. Tento prístup by mohol negatívne ovplyvniť kardiovaskulárne ochorenia (KVO), diabetes, migrénu a niektoré onkologické diagnózy.



Prečo potrebujeme širšiu definíciu UMN zameranú na pacienta? Aby sme mohli pacientom aj naďalej prinášať nové a účinné možnosti liečby.

Definovanie nenaplnených medicínskych potrieb (UMN) je veľmi individuálne. Pacienti s chronickými ochoreniami vnímajú svoje potreby inak než tí, ktorí čelia život ohrozujúcim diagnózam.

Ak však obmedzíme definíciu UMN len na život ohrozujúce alebo vážne ochorenia, riskujeme **zanedbanie stavov, ktoré nespĺňajú tieto kritériá, ale majú vážne negatívne dôsledky pre pacientov, zdravotníkov aj celú spoločnosť.**

Ak by posledných 20 rokov platila úzka definícia UMN, zásadné pokroky v liečbe cukrovky 2. typu a terapie, ktoré majú veľký prínos v oblasti neurodegeneratívnych a kardiovaskulárnych chorôb, by jednoducho neboli možné.



Vedecký pokrok sa zvyčajne dosahuje sériou menších krokov, než jedným veľkým prelomom. Aby sa zabezpečili ďalšie investície do liečby chorôb, je nevyhnutné ich primerane podporovať. Európsky legislatívny rámec by mal podporovať nielen zásadné prelomové inovácie, ale aj tie menšie, ktoré sú kľúčové pre dlhodobý rozvoj medicíny.

Úzka definícia UMN by nebrala do úvahy postupné inovácie, ktoré môžu znižovať bolesť, spomaľovať progresiu ochorení alebo zlepšovať adhérenciu k liečbe tým, že zohľadňujú preferencie pacientov v spôsobe podávania terapie.

Je nepravdepodobné, že by jediný liek dokázal úplne naplniť potreby akejkoľvek skupiny pacientov s nenaplnenými medicínskymi potrebami. **Oveľa pravdepodobnejšie je, že viacero liekov prispeje k riešeniu zdravotných problémov** – či už doplnkovou liečbou, alebo tým, že oslovia špecifické skupiny pacientov, ktorým môžu pomôcť.



Prvé antiretrovirálne liečivo na liečbu HIV bolo schválené v roku 1986. V 90. rokoch pribudlo niekoľko ďalších liekov, ktoré priniesli výrazne rýchlejšie a účinnejšie výsledky v porovnaní so svojimi predchodcami.

Vlny inovácií, ktoré pristupovali k boju proti vírusu z rôznych uhlov, premenili za posledných 30 rokov HIV z choroby spôsobujúcej smrť na chronické ochorenie.



V roku 2000 sa zistilo, že biologické lieky pôvodne vyvinuté na liečbu reumatoidnej artritídy dokážu zmenšiť kožné lézie u pacientov s psoriatickou artritídou. U približne polovice pacientov tieto lieky znížili závažnosť **psoriázy** až o 75 %.

Tento prelomový objav viedol k ďalším inováciám, ktoré postupne zvýšili podiel pacientov bez viditeľnej psoriázy – z 0,1 % pri placebe na 4,2 % pri prvých biologických liekoch, až na 40 % pri dnešných moderných terapiách.



Percento prežitia pri pokročilom melanóme sa v posledných rokoch postupne zvyšovalo – a stále je čo zlepšovať.

Ešte pred desiatimi rokmi prežilo päť rokov po stanovení diagnózy len 10 - 15 % pacientov. Imunoterapia priniesla významný pokrok, no prvé vlny liečby boli veľmi drahé a sprevádzané výraznými vedľajšími účinkami. Vďaka neustálemu zlepšovaniu a novým prístupom sa zvýšila miera prežitia pacientov na 60 %.

Každá liečba sprístupnená pacientom **prispieva aj k pokroku vo výskume, zároveň otvára dvere k vývoju nových terapií a zvyšuje prínos pre pacientov.**



Európska lieková agentúra schválila v roku 2020 prelomovú liečbu **cystickej fibrózy**, ktorá prišla 30 rokov po objavení génovej mutácie zodpovednej za toto ochorenie. Táto liečba bola už deviatou dostupnou možnosťou.

Od roku 2012 bolo schválených šesť liekov, ktoré postupne rozširovali možnosti liečby pacientov a pripravili cestu pre vývoj tejto transformačnej terapie.