

Oponentský posudok habilitačnej práce PharmDr. Tatiany Foltánovej, PhD.

Hodnotenie dostupnosti liekov na zriedkavé choroby v Európe a na Slovensku

Univerzita Komenského v Bratislave, Farmaceutická fakulta, 2023

Odborné a formálne posúdenie práce:

Tému habilitačnej práce možno jednoznačne považovať za vysoko aktuálnu a komplexné spracovanie problematiky zriedkavých chorôb na európskej a národnej úrovni za veľmi potrebné.

Habilitačná práca PharmDr. Tatiany Foltánovej, PhD. je napísaná na 127 stranách a uvádza 129 citácií. Práca sa skladá z nasledovných častí: úvod, teoretická časť (str. 17 – 41); ciele práce, metódy, výsledky (str. 42 – 92); diskusia, záver, odporúčania pre prax (str. 93 – 112) a zoznam použitej literatúry (str. 113 – 127). V práci je 22 obrázkov a 16 tabuliek.

V kapitole „Teoretická časť“ (str. 18 – 41) autorka charakterizuje zriedkavé choroby, vývoj liekov na zriedkavé choroby, pojem dezignácia, prehodnotenie dezignačných kritérií v čase registrácie lieku na zriedkavú chorobu, hodnotenie dezignačného a registračného procesu liekov na zriedkavé ochorenia, výhody pre vývoj liekov na zriedkavé choroby určené deťom, dostupnosť liečby pre pacientov so zriedkavými chorobami.

V kapitolách „Ciele práce“ a „Metódy“ (str. 42 – 61) sú ciele práce jasne stanovené. Na získanie údajov sa použili relevantné zdroje a databázy. Na spracovanie výsledkov boli použité vhodné štatistické metódy.

V kapitole „Výsledky“ (str. 62 – 92) je uvedený zoznam deviatich publikovaných prác (str. 62 – 63). Zo zistení týchto prác je spracovaná výsledková časť habilitačnej práce. Výsledky sú spracované do 8 tabuliek a 15 obrázkov.

Výborne je spracovaná diskusná časť práce (str. 93 – 108), v ktorej autorka habilitačnej práce veľmi podrobne a výstižne komentuje svoje zistenia v kontexte zahraničnej odbornej literatúry o zriedkavých chorobách a liekoch na zriedkavé choroby.

V kapitole „Záver“ (str. 109 – 110) autorka konštatuje, že v roku 2021 bolo v Slovenskej republike nedostupných 59 % liekov (zo 130) na zriedkavé choroby a v kapitole „Odporúčania pre prax“ (str. 111 – 112) veľmi dôkladne a precízne formuluje štyri zásadné odporúčania pre prax v problematike zriedkavých chorôb a liekov na zriedkavé choroby v Slovenskej republike: získavanie údajov z národných a európskych registrov, identifikácia a komunikácia o nových liekoch na zriedkavé choroby s odborníkmi a odbornými spoločnosťami, komunikácia

s platcami zdravotnej starostlivosti a identifikácia a komunikácia s patientskymi organizáciami.

Práca je napísaná jasne, zrozumiteľne, s veľmi nízkym počtom formulačných a pravopisných nepresností, napr. „vysporiadať sa“ (str. 23); „agentúry“ (str. 26); „compliance“ (str. 36); „na liečbu“ (str. 44 – nedokončená veta); „prevaleniu prevalenciu“ (str. 66 – zdvojenie slova); monoklonálne protilátky (str. 54 správnejšie monoklonové protilátky); na str. 69 sa v texte udáva 73 %, obrázok 8 prezentuje 56 %; „V roku 2010 bol trend vstupu liekov na zriedkavé choroby na slovenský trh štandardným postupom kategorizácie.“ (str. 76 – nejasná formulácia); „azacytidín“ (str. 86); „Zistili sme, že počet ročne registrovaných nových liekov na zriedkavé choroby sa s rokmi pôsobenia legislatívy na podporu výskumu a vývoja liekov na zriedkavé choroby predlžoval.“ (str. 99 – nejasná formulácia).

Otázky k práci

1. Vo výsledkovej časti uvádzate, že ste údaje hodnotili v troch obdobiach: 2000 – 2010, 2010 – 2019, 20210 – 2021. Dochádza tu k prelínaniu sledovaných období. Ako ste to zohľadnili vo výsledkoch, napr. str. 73?
2. Existujú na európskej úrovni údaje o celkovej výške finančných zliav alebo priamych finančných dotácií pre farmaceutických výrobcov s dezignáciou?
3. Vo výsledkovej časti práce informujete, že v roku 2021 chýbalo v Slovenskej republike 59 % liekov (zo 130) na zriedkavé choroby. Je veľmi pravdepodobné, že niektoré zriedkavé choroby sa na v SR vôbec nevyskytujú. Máte údaje o prípadoch SR, že by bol liek na zriedkavé choroby v indikovaných prípadoch neposkytnutý pacientovi? Má byť cieľom, aby všetky lieky na zriedkavé choroby boli v zaradené do zoznamu kategorizovaných liekov?
4. Vo výsledkov časti je uvedený vývoj nákladov na liečbu liekmi na zriedkavé choroby v Slovenskej republike v %. Nebolo možné uviesť aj absolútne hodnoty?
5. Aké vidíte ďalšie potreby vedecko-výskumnej a legislatívnej práce v oblasti zriedkavých chorôb na európskej a slovenskej úrovni v najbližšom období? Kde vidíte možnosti zapojenia sa farmaceutov a klinických farmaceutov do týchto procesov?

Záver

Za výrazný a jednoznačný prínos habilitačnej práce považujem skutočnosť, že hodnotí dlhodobý vývoj v oblasti dostupnosti liekov na zriedkavé choroby od roku 2000 v Európskej únii a v Slovenskej republike. Práca prezentuje komplexné údaje o legislatívnych úpravách, vývoji liekov na zriedkavé choroby, ich dostupnosti v Európskej únii a v Slovenskej republike, pričom údaje za Slovenskú republiku sú originálne a dokumentujú aj počet liečených pacientov a trendy vo vývoji finančných nákladov na lieky na zriedkavé choroby.

Je veľmi dôležité, že výsledky prezentované v habilitačnej práci boli aj východiskom a stimulom pre úpravy a doplnenie legislatívnych úprav v právnych dokumentov Slovenskej republiky týkajúcich sa zriedkavých chorôb a liekov na ich liečbu.

Veľmi oceňujem a vážim si aj dlhodobú angažovanosť PharmDr. Tatiany Foltánovej, PhD. v oblasti zriedkavých chorôb na európskej a slovenskej úrovni jej členstvom v odborných komisiách, pri organizácii odborných vedeckých a patientskych vzdelávacích podujatí a aj pri vytvorení a implementácii dvoch voliteľných predmetov (Patológia zriedkavých chorôb, Farmakológia liečiv na zriedkavé choroby) na Farmaceutickej fakulte UK v Bratislave), ktoré reagujú na potreby praxe a podporujú prepojenie farmaceutického štúdia s klinickou praxou.

Výsledky predloženej habilitačnej práce jednoznačne prispievajú k rozšíreniu poznatkov v oblasti hodnotenia dostupnosti liekov na zriedkavé choroby na európskej úrovni a národnej úrovni. Habilitačná práca spĺňa podmienky na habilitačnú prácu a oprávňuje udeliť vedecko-pedagogický titul docent pre odbor klinická farmácia PharmDr. Tatiane Foltánovej, PhD.

doc. PharmDr. Juraj Sýkora, CSc.

prednosta Ústavu farmácie

Lekárska fakulta

Slovenská zdravotnícka univerzita, Bratislava

Bratislava, 3. júl 2023