



Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products (MoCA)

PharmDr. Šárka Kubinová, Ph.D.
Oddělení hodnocení léčiv

Vzácná onemocnění – omezené možnosti léčby

Vzácné onemocnění

< 5 osob z 10 tisíc

(1 osoba z 2 tisíc a méně)

- 6 až 8 tisíc vzácných onemocnění
- 6-8 % populace, tj. cca 30 milionů lidí v EU, 500 tis. v ČR
- 80 % vzácných onemocnění má genetický původ a postihuje 3 až 4 % narozených dětí
- 70 % vzácných onemocnění začíná v dětství
- 95 % vzácných onemocnění bez možnosti léčby

Orphan medicines key figures

Since
2000



2944
Orphan
designations



294
Orphan designations
included in authorised
indication



261
Authorised
OMPs



102
To be used in
children



6 Removed from
the market
94 Marketed, but no
longer "orphans"

To date

161

Products with a marketing
authorisation and an orphan status in
the European Union

MoCA: Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products



Diskuzní platforma, která poskytuje **bezplatnou konzultaci** v rámci vývoje léčiv pro vzácná onemocnění (**OMPs**, orphan medicinal products) mezi

- **farmaceutickou společností** (**HTD**, health technology developer)
- a dalšími „**stakeholdery**“ (plátcí, HTA a kliničtí experti, pacienti) v Evropě.

Cíle MoCA

Podpora vývoje a zlepšení dostupnosti OMPs

Zvýšení kvality klinických důkazů pro vzácná onemocnění

Optimalizace procesu HTA pro stanovení P&R

Zohlednění specifických potřeb pacientů

Klíčové aspekty MoCA

Dobrovolný přístup: zapojení expertů na základě dobrovolnosti/solidarity

Neformálnost: MoCA nenahrazuje oficiální regulační a legislativní postupy

Nezávaznost: poskytování praktických nezávislých doporučení na personální úrovni jednotlivých expertů.

Flexibilita: konzultace ve všech fázích vývoje OMPs (neklinická – postmarketingová fáze)

Zapojení klíčových stakeholderů: zapojení klíčových aktérů pro lepší budoucí porozumění a efektivnější rozhodování

Perspektiva plátců: důraz na včasnou identifikaci bariér pro HTA hodnocení

Perspektiva pacientů: relevance výsledků léčby z pohledu pacienta - reálný přínos léčby v každodenním životě, zohlednění potřeb pacientů

Výchozí platformy pro MoCA konzultace



<https://www.medev-com.eu>

Pracovní skupina expertů zastupující plátce a HTA agentury v Evropě

22 národních autorit z 18 členských států EU + Norsko.

Koordinátor: The European Social Insurance Platform (ESIP)



<https://www.eurordis.org/>

Evropská federace pro vzácná onemocnění

Nezisková aliance sdružující pacienty a patientské organizace se vzácnými onemocněními v Evropě.

Kdo se účastní MoCA konzultací?

- **HTD** (Health Technology Developers) vyvíjející OMPs
- **Experti** HTA/P&R (MEDEV)
- **EURORDIS**
- **Zástupce pacientů** (specifického onemocnění)
- **Klinický expert** (ERN, European Reference Network)
- **EMA** jako pozorovatel.

Diskutovaná témata:

- Epidemiologie
- Definice populace
- Relevance komparátorů
- Relevance výstupů (outcomes)
- Potenciální přidaná hodnota produktu
- Požadavky na kvalitu dat pro P&R
- Potenciální nové modely úhrady
- Mechanismy sběru dat

Moca představuje alternativu k HTAR JSC (nikoli náhradu)

MoCA vs. HTAR JSC

Neformálnost

Otevřená diskuze v neformálním prostředí. Snadnější komunikace a rychlejší zpětná vazba.

Flexibilita

Přizpůsobení diskuze požadavkům/dotazům HTD. Přínos zejména v raných fázích vývoje OMPs.

Bez administrativní zátěže

Bez povinných legislativních procedur, výstupem je zápis z MoCA meetingu, úspora času a zdrojů.

OMPs ve všech fázích vývoje

Přístup pro různé typy produktů OMPs bez legislativních limitací, OMPs nezpůsobilé pro HTA JSC.

Děkuji za pozornost

MoCA kontakty:

👁 Anna Bucsics, MoCA Project Advisor
👁 Šárka Kubinová, MoCA Project Coordinator
MoCA.OMP@gmail.com

👁 Maria Cavaller, EURORDIS

Patient Engagement & Therapeutic Development
Senior Manager
maria.cavaller@eurordis.org



Od založení MoCA v roce 2013:

- >50 konzultací s 18 HTDs
- > 25 OMP v různých fázích vývoje
- > 22 zástupců pacientů
- > 26 expertů zastupujících plátce



DĚKUJEME ZA POZORNOST

STÁTNÍ ÚSTAV PRO KONTROLU LÉČIV

Šrobárova 48, 100 41 Praha 10

tel.: +420 272 185 111

e-mail: posta@sukl.cz

www.sukl.cz

Už máte naši aplikaci eRecept?

Aplikace navíc nabízí i benefity pro pacienty, např. možnost přístupu ke všem údajům o své elektronické preskripci, včetně lékového záznamu a nastavení souhlasů k němu.

Upozorňujeme, že při aktivaci aplikace budete vyzváni k ověření vaší identity prostřednictvím identity občana.

Aplikace ke stažení:

