

Warszawski Uniwersytet Medyczny  
II Wydział Lekarski  
Zakład Etyki Lekarskiej i Medycyny Paliatywnej

# Ratunkowy dostęp do technologii medycznych

*Lek. med. Cezary Ścibiorski*

*rozprawa na stopień naukowy doktora nauk medycznych*

*Promotor:*

*prof. dr hab. n. med. Tomasz Pasiński*

Warszawa 2017

# Ratunkowy dostęp do technologii medycznych

rozprawa na stopień naukowy doktora nauk medycznych

Lek. med. Cezary Ścibiorski

**Promotor: prof. dr hab. n. med. Tomasz Pasierski**

## Streszczenie

Niemal każdy lekarz znajduje się czasem w sytuacji wyczerpania możliwości leczenia u pacjenta cierpiącego na chorobę zagrażającą życiu. Jednocześnie, w czasopismach medycznych publikowane są wyniki badań nowych terapii, budząc nadzieję możliwości pomocy takiemu choremu.

W ciągu ostatnich stu lat wypracowano czasochłonny i kosztowny proces dopuszczania technologii medycznych (w tym produktów leczniczych) do obrotu. Ma on na celu zapewnienie, aby stosowane leczenie miało pożądaną skuteczność i akceptowalny profil bezpieczeństwa. Niemniej pacjenci znajdujący się w obliczu zagrożenia życia częstokroć sami rozpoczynają starania o dostęp do nowatorskiego leczenia. Także lekarz zaznajomiony z bieżącą literaturą medyczną, może rozważyć zastosowanie leczenia niedopuszczonego do obrotu u pacjenta o niekorzystnym rokowaniu. Lekarze, którzy pragną im pomóc, borykają się ze złożonymi zagadnieniami z dziedziny medycyny, etyki, prawa, filozofii i farmakoekonomiki. Działanie, z założenia wynikające ze współczucia i chęci pomocy choremu, dla przemysłu farmaceutycznego stało się narzędziem biznesowym.

W niniejszym opracowaniu podjęto próbę całościowego i wielodyscyplinarnego rozpatrzenia zastosowania niedopuszczonych do obrotu technologii medycznych, u chorych u których zawiodły dostępne metody leczenia. W celu znalezienia najlepszego rozwiązania zastosowano metodę filozoficzną opisaną przez Johna Rawlsa jako „szeroką równowagę refleksyjną”. Metoda ta zakłada, że wszystkie zaangażowane osoby nastawione są na współpracę, wzajemne poszanowanie swoich poglądów i przekonań, kierują się rozsądkiem oraz zależy im na osiągnięciu celu służącego wspólnemu dobru. Dzięki takiemu podejściu wydaje się możliwa próba pogodzenia, pozornie niekiedy sprzecznych, zjawisk, regulacji, przekonań i poglądów, poddawanych tutaj analizie.

W części pierwszej przedstawiono opis aktualnej sytuacji stanu ratunkowego dostępu do technologii medycznych w Polsce, krajach Unii Europejskiej i innych krajach świata. Omówiono rys historyczny i przedstawiono praktyczne możliwości w ramach aktualnej sytuacji prawnej w Polsce.

W części drugiej przedstawiono interesariuszy procesu i potencjalne konflikty interesów. Opisano korzyści i ryzyka związane z wdrożeniem programu dla pacjentów, lekarzy, systemu ochrony zdrowia, badań klinicznych i przemysłu farmaceutycznego. Ujęto również główne dylematy bioetyczne, takie jak

niepewność leczenia, które nie zakończyło procesu weryfikacji danych klinicznych, różnice pomiędzy perspektywą indywidualnych chorych a społeczeństwa oraz chęć niesienia pomocy choremu a cel biznesowy firm farmaceutycznych.

Część trzecia obejmuje analizę elementów związanych z realizacją ratunkowego zastosowania technologii medycznych, począwszy od takich zagadnień, jak obowiązująca podstawa prawna, właściwe zdefiniowanie procesu, choroby i wnioskodawcy. Omówiono problem oceny jakości danych naukowych i uwarunkowania etyczne i prawne, w tym prawa pacjenta i obowiązki lekarza. Przedyskutowano propozycję akceptacji programu, wymaganej dokumentacji i aspekty administracyjne. W odniesieniu do realizacji programu ratunkowego dostępu zaproponowano i omówiono jego protokół leczenia, zbierania i analizy pozyskanych danych klinicznych, aspekty dotyczące finansowania, odpowiedzialności cywilnej i przejrzystości programu.

W dodatku przedstawiono ramy propozycji prawnej mogącej służyć pomocą polskiemu ustawodawcy.

## Executive Summary

Almost every physician faces situation when all available therapeutic options are exhausted in a treatment of a patient suffering from life-threatening disease. In the same time, publications emerge on new therapies which may be helpful in such cases.

During the last century was elaborated costly and time-consuming process of authorization of health technologies (including medicinal products) for therapeutic use. The process is designed to ensure their safe and effective use. However, individual patients facing direct threat frequently demand immediate access to novel therapies. Also, physician familiarized with current medical literature may consider implementation of unapproved intervention in patient with poor prognosis. Physician wanting to support them encounter complex issues in area of medicine, ethics, law, philosophy and pharmacoeconomy. The initiative originally based on grounds of compassion and willingness to help, for the pharmaceutical industry became another commercial tool.

This dissertation is an attempt for comprehensive and multidisciplinary evaluation of the compassionate use of unapproved health technologies in patients who cannot be treated by available therapies. For identification of the best solution, there was implemented philosophical method coined by John Rawls as “wide reflective equilibrium”. The method is based on

assumption, that all parties present good will for cooperation, mutual respect of beliefs and opinions, are reasonable and are convicted to achieve goal for conjoint good. With such approach the objective of the dissertation seems possible as reconciliation of sometimes apparently contradictory approaches, regulations, beliefs and opinions, which are analyzed in the dissertation.

The first part describes the current legal framework of compassionate use in Poland, European Union and other countries. The history of the process is discussed and presented the current legal ways of use of unapproved therapeutic interventions in Poland.

In the second part there are presented stakeholders of the process and potential conflicts of interests. The benefits and risks associated with compassionate use for patients, physicians, health care, clinical trials and pharmaceutical industry are also described. The main ethical dilemmas, such as clinical uncertainty with unproven therapies still under development, individual vs societal perspective and compassion for patients suffering from serious disease vs commercial goal of pharmaceutical companies are also discussed.

The third part consists of analysis of the effective execution of the compassionate use of unapproved health technologies. There are discussed such items as legal basis, the definitions of the process, the disease and the applicant. The validation of the clinical data, ethical and legal considerations, including patient rights and physician obligations are also presented. Approval process and requirements for appropriate documentation and administrative steps are proposed. In terms of execution of the program the proposition for implementation both treatment protocol and the way of collection and relevant analysis of the clinical data is presented. There are also discussed such items as financing, liability and transparency of the program.

A proposal of the legal implementation of compassionate use in Poland was presented in the addendum.