V Praze dne 26. 10. 2022

STANOVISKO UZS ČR

**k návrhu Koncepce zdravotnického výzkumu do roku 2030**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Resort** | **Připomínky** | **Vypořádání** |
| **UZS ČR** | Jsme přesvědčeni, že **oblastem psychických onemocnění a závislostí by měla být věnována větší pozornost**. Se zvyšováním věku dožití i v souvislosti s dalšími faktory moderní civilizace stoupá výskyt duševních nemocí v ČR. Dle dat ÚZIS s v roce 2020 činila prevalence duševních onemocnění cca 1,4 miliony pacientů. V oblasti závislostí, která s psychickými problémy úzce souvisí, je situace ještě vážnější. Dle Souhrnné zprávy o závislostech v České republice za rok 2021 (Národní monitorovací středisko pro drogy a závislosti). Ve vysokém riziku spojeném se závislostí je 1,5 milionů kuřáků, 900 tis. konzumentů alkoholu, 1,4 milionů osob s problematickou spotřebou psychoaktivních léků, 200 tis. konzumentů konopných látek, 44 tisíc uživatelů opioidů a nelegální stimulancií (v tom 33 tisíc uživatelů pervitinu) a 120 tisíc osob ve vysokém riziku problémového hráčství. Mezi mladou populací narůstají problémy s digitálními závislostmi. Je jistě záslužné a užitečné, že bude v těchto oblastech prováděn sběr dat a mapování epidemiologie, velmi užitečné jsou také programy se zaměřením na destigmatizaci postižených jedinců a prevenci, zcela však chybí zastoupení těchto významných oblastí v kapitole Inovativní řešení pro medicínu. Domníváme se, že do oblasti Inovativních řešení pro medicínu by měly být zařazeny minimálně dvě oblasti. První je **využití látek s psychoaktivním účinkem** (LSD, Psylocibin, Ketamin, Ayahuasca apod.) **k asistované psychoterapii** při léčbě některých duševních nemocí a k léčbě závislostí. Tyto programy jsou využívány zejména v USA a výzkum probíhá i v ČR. Výzkum provádí zejména Národní ústav duševního zdraví a některá další pracoviště. Vzhledem k nadějným výsledkům dosavadního výzkumu by bylo vhodné tuto oblast více podpořit.Druhou oblastí, která by měla být zkoumána, je možnost **substituční terapie pro osoby závislé na metanfetaminu**. Strategie EU pro oblast drog na období 2021–2025 obsahuje doporučení pro členské státy v oblasti snižování nabídky drog, která se týkají prevence a léčby drogových závislostí. Mezi priority patří i „léčba s farmakologickou podporou včetně na člověka zaměřené udržovací léčby pomocí opioidů a programům rehabilitace“. Jedná se tedy o substituční léčbu agonisty opioidních receptorů, která je praktikována i v ČR. Je zcela pochopitelné, že strategie EU je zaměřena zejména na opiátovou substituci, protože tyto přípravky jsou ve většině států EU dominantní a jejich zneužívání má často fatální následky. V České republice je však dominantní nelegální drogou pervitin. Zkušenosti s Velké Británie ukazují, že substituční léčba závislosti na amfetaminu nebo metamfetaminu může vykazovat značné úspěchy. V České republice bylo v roce 2020 vydáno doporučení SNN ČLS JEP pro off-label použití centrálních stimulancií u závislých na metanfetaminu. Bylo by tedy vhodné, aby výzkum v této oblasti dále pokračoval. |  |
| **Kapitola 7.3.2 Nízkomolekulární léčiva****Zaměření**1. Experimentální výbava výzkumných a vývojových pracovišť není doprovázena potřebnou expertízou odborníků, kteří by byli schopni převádět výsledky základního výzkumu (drug discovery) do realizační praxe (drug delivery). Existují celé soubory chybějících kompetencí (chemie pevné fáze, preformulace, biofarmacie a další), které nelze doplnit z prostého důvodu, že není, kde je studovat. Z tohoto důvodu je třeba posílit oborovou strukturu studií, které se týkají farmaceutického inženýrství.
2. Paralelní investice do vyhledávacího výzkumu nových chemických struktur účinných látek a technologií umožňujících praktické aplikace urychlí významně přenos základního výzkumu do realizační fáze a vznik farmaceutických start-upových společností.
3. Doplnit následující text: „Další částí strategie bude zaměření na soběstačnost ve vývoji a výrobě generických nízkomolekulárních účinných látek a léčiv. Cílem je také snížit závislost na dovozu ze zahraničí a posílení generického pilíře farmakoterapie s cílem na dosažení nákladů zdravotnického systému. Zavádění technologií a postupů, které povedou k snížení energetické náročnosti a celkovému zvýšení efektivity syntetických výrob a snížení dopadů na životní prostředí.“
 |       |
| **Kapitola 7.3.2 Nízkomolekulární léčiva****Hlavní cíl**1. Doplnit text: „Další částí strategie bude zaměření na soběstačnost ve vývoji a výrobě generických nízkomolekulárních účinných látek a léčiv. Cílem je také snížit závislost na dovozu ze zahraničí a posílení generického pilíře farmakoterapie s cílem dosažení snížení nákladů zdravotnického systému. Zaváděny by měly být technologie a postupy, které povedou k snížení energetické náročnosti a celkovému zvýšení efektivity syntetických výrob a snížení dopadů na životní prostředí.“
 |       |
| **Kapitola 7.3.2 Nízkomolekulární léčiva****Dílčí cíle**1. Doplnit dílčí cíle:

**„Dílčí cíl 3 Generické nízkomolekulární molekuly**Vývoj syntetických postupů pro výrobu nízkomolekulárních účinných látek a léčiv. Podpora zavádění nových produktů do výroby a optimalizace a zlepšování stávajících kapacit s ohledem na udržitelnost, bezpečnost a energetickou náročnost. Posílení soběstačnosti výroby generických nízkomolekulárních účinných látek a léčiv v České republice a snížení závislosti na dovozu surovin a pokročilých intermediátů pro výrobu ze zahraničí.**Dílčí cíl 4 Inovativní technologie pro výrobu nízkomolekulárních účinných látek a léčiv**Podpora výrobních kapacit nových a generických nízkomolekulárních účinných látek a léčiv. Zavádění inovativních technologií, které zvyšují efektivitu výroby s ohledem na udržitelnost, bezpečnost a energetickou náročnost. Příprava nízkomolekulárních účinných látek a léčiv kontinuálními postupy a průtokovými systémy, s využitím on-line, at-line, in-line monitorování kvality výrobku a průběhu výroby.“ |  |
| **Kapitola 7.3.3. Léčivé přípravky pro moderní terapie** **Dílčí cíle****Dílčí cíl 5 Podpora proof-of-concept klinických studií fáze I/II pro hodnocení bezpečnosti a účinnosti léčivých přípravků pro moderní terapie** 1. Budování kompetencí pro preklinicky a klinicky výzkum faze I/II je kritické pro zajištění návratnosti investic do vyhledávacího akademického výzkumu nových molekul přenosem do startupových společností, tak i pro rozvoj existujících farmaceutických firem.
2. Na pracovním trhu v ČR existuje velká mezera právě v této oblasti vývoje nových přípravků. Tento nedostatek blokuje vývoj nových terapeutik, tak i vývoj inovativních drug delivery systémů, které vylepšují existující terapie a „drug repurposing“ využitím existujících molekul pro nové indikace.
 |  |
| **Kapitola** **7.3.4. Biologická léčiva včetně profylaktických a terapeutických vakcín** 1. Vyhledávací výzkum v těchto oblastech musí být doplněn o vytvoření kompetenčních center zaměřených na výzkum a vývoj odpovídajících produkčních technologií. Na rozdíl od chemické syntézy nízkomolekulárních látek, v ČR v současné době neexistuje (až na výjimky) know how a lidský potenciál pro výrobu biomedicinálních přípravků pro klinické testování a případnou následnou výrobu. Nejlepší světová praxe ukazuje na vytváření center pre-competetivniho výzkumu zaměřených na přenos principiálně nových laboratorních technologií do reálných technologií, použitelných v industriálních měřítku s reálnou ekonomikou.

Například: <https://www.uk-cpi.com/news/uk-collaboration-leads-the-way-on-revolutionising-oligonucleotide-medicines-manufacturing><https://www.nibrt.ie/> |  |
| **7.3.5. Nové formulace léčiv** 1. Koncepce věnuje malou pozornost výzkumu existujících léčiv pro jiné terapeutické využití (drug repurposing) a významu tohoto přístupu zejména pro nákladovost léčby a tím i pro zdravotní pojišťovny.
2. Koncepce neřeší potřebu vývoje nových technologií výroby API a lékových forem zaměřených na snížení výrobních nákladů. Tento typ inovací vede ke zlevnění terapie pro pacienta a přispívá výrazně k celkové udržitelnosti zdravotního systému v ČR, zajištění konkurenceschopnosti výroby léčiv v EU a strategické nezávislosti na importech z Asie. Opomenuta je rovněž potřeba inovací lékových forem z hlediska dopadu jejich výroby na životní prostředí. Inovace v této oblastí vedou k minimalizaci uhlíkové stopy produktu, snížení energetické náročnosti a redukci množství aktivních substancích vstupujících do životního prostředí přes čističky odpadních vod.
3. Součástí strategie by rovněž měl být výzkum a vývoj nových vylepšených formulacích existujících léčiv přinášející novou přidanou hodnotu pro pacienta (Value Added Medicine). Například eliminace nežádoucích účinků, zlepšení compliance pacienta s předepsanou terapií (adherence skutečné aplikace léčiv je obecně velmi nízká a způsobuje velké škody ekonomické i zbytečná úmrtí), zvýšení terapeutického účinku atp. Například v USA bylo za posledních 10 let zaregistrování ročně v průměru 50 VAM léčiv (505 (b) (2) hybridní registrace v systému FDA), tj množství srovnatelné s registracemi nových chemických entit. EU i ČR ve vývoji uvádění VAM vylepšených lékových forem výrazně za USA zaostávají.
4. Výrazný pokrok ve výzkumu a vývoji nových terapeutických indikací a vylepšených VAM drug delivery systémů by umožnil funkční systém finanční podpory akademických klinických studií. Například mezi lety 2016 – 2020 ze 16 nových terapeutických indikací pro vzácná onemocnění (ophan drugs) existujících účinných látek registrovaných v EU, 12 (75%) bylo iniciováno v akademickém prostředí a jen 4 ve farmaceutickém průmyslu.
 |  |
| **7.3.6. Vývoj a výzkum v oblasti nových lékařských přístrojů a zařízení**1. Koncepce vůbec nereflektuje současný reálný stav – problém s neexistujícími národními notifikovanými osobami, což je zásadní bariera pro rozvoj jak terapeutických přístrojů a zařízení, tak in vitro diagnostiky.
 |  |

Kontaktní osoba:

Mgr. Jakub Machytka, e-mail: jakub.machytka@uzs.cz, tel.: 727 956 059