

București, 21 noiembrie 2025

În atenția:

Domnului Dr. Alexandru Florin ROGOBETE, Ministrul Sănătății

**Doamnei Farm. Monica NEGOVAN, Director
Direcția Politică Farmaceutică, Ministerul Sănătății**

**Domnului Ionuț IAVOR, Director
Direcția Juridică, Ministerul Sănătății**

**Domnului Farm. Răzvan Mihai PRISADA, Președinte,
ANMDMR**

**Referitor la: Document de poziție AmCham privind accesul pacienților la tratamente
inovatoare pentru boli rare și fără alternative terapeutice**

Stimate domnule Rogobete,
Stimată doamnă Negovan,
Stimate domnule Iavor,
Stimate domnule Prisada,

În numele Camerei de Comerț Americane în România (AmCham România), prin Comitetul de Sănătate, vă adresăm prezenta adresă, în contextul în care, deși modificarea Ordinului 861/2014 a reprezentat un pas important înainte, accesul pacienților din România la tratamente inovatoare rămâne încă limitat, în special pentru cei cu boli rare sau fără alternative terapeutice. Considerăm necesare o serie de modificări adiționale la acest ordin,

Asigurarea accesului pacienților la medicamente inovatoare pentru boli rare reprezintă o prioritate strategică la nivel european și un pilon esențial pentru garantarea echității în sănătate și consolidarea rezilienței sistemului sanitar. Uniunea Europeană recunoaște necesitatea urgentă de acțiune, evidențiată prin eforturi susținute precum:

- Sprijinul crescut pentru concluziile studiului Rare2030¹, care recomandă elaborarea unui Plan European de Acțiune în domeniul bolilor rare.
- Dezbaterile din Parlamentul European pe tema Planului de Acțiune, care a primit un sprijin larg din partea membrilor, fiind completată de consultarea publică inițiată de Comisia SANT (Sănătate Publică).²

¹ Rare2030, "The Rare 2030 Recommendations," 2021. Disponibil la: <https://www.rare2030.eu/recommendations/>.

² E. Parlament, "SANT launches public consultation on rare diseases," 2025. Disponibil la: <https://www.europarl.europa.eu/news/en/press-room/20250227IPR27074/sant-launches-public-consultation-on-rare-diseases>.

- Înființarea intergrupului pentru boli rare la nivelul Parlamentului European, și dezvoltarea de parteneriate public-private în domeniul bolilor rare (precum JARDIN Joint Action, ERDERA, Rare Disease Moonshot).

În prezent, pacienții cu boli rare sau cu patologii severe pentru care există o singură opțiune terapeutică se confruntă cu întârzieri semnificative în accesul la tratament, generate de proceduri complexe de evaluare și rambursare. Aceste blocaje au un impact social profund, considerând că aproximativ 80% din pacienții cu boli rare trăiesc cu dizabilități, fapt ce le afectează sever calitatea vieții și integrarea socială.³

Distincția formală dintre contractele de donație și contractele de sponsorizare – atunci când ambele au asigurat gratuit tratamentul pacienților – riscă să genereze un tratament inegal între companii aflate în situații comparabile și potențiale provocări legate de concurența pe piața din România. Având în vedere acceptarea acestor instrumente de către autoritatea competentă, propunem alinierea cadrului astfel încât criteriul de eligibilitate să puna accentul pe **substanța** (acces gratuit, durată, acoperire) și nu **forma** juridică a instrumentului.

Procesul actual de includere în Listă nu asigură suficientă rapiditate și predictibilitate pentru medicamentele destinate bolilor rare sau pentru cele care încetinesc evoluția bolii către stadii avansate, contravenind principiilor de echitate și solidaritate promovate la nivel european.

În lipsa unui mecanism eficient de acces la tratamentele fără alternativă terapeutică, pacienții sunt adesea nevoiți să apeleze la instanțele de judecată pentru a-și exercita dreptul la tratament, ceea ce privează statul de oportunitatea de a negocia prețurile acestor medicamente și generează costuri suplimentare prin mobilizarea unor resurse juridice și administrative semnificative pentru gestionarea litigiilor.

Înțelegem și susținem obiectivul de accelerare a accesului pacienților la terapiile inovative în proces de rambursare, totuși, corelarea dintre programele de furnizare gratuită și eligibilitatea pentru includere accelerată poate fi percepută ca un mecanism de tip „pay for reimbursement”. Pentru a evita orice risc de interpretare, propunem introducerea unor garanții de conformitate (transparență, interdicția oricărei condiționări, raportări standardizate) și clarificarea tratamentului fiscal-contabil aplicabil, în linie legislația națională.

Astfel, propunem:

- 1. Modificarea articolului 7 alin. (1) lit. d)** din Ordinul 861/2014, astfel încât să includă și medicamentele cu autorizație de tratament de ultimă instanță pe lângă cele cu aviz de donație.

*„d) includerea DCI-urilor cu decizii de includere necondiționată în Listă emise de președintele ANMDMR, cu statut de medicamente orfane sau pentru terapie avansată, pentru care DAPP face dovada, în baza avizului de donație eliberat de ANMDMR, sau în baza **Autorizației de folosire în tratament de ultimă instanță emisă de ANMDMR** că a asigurat tratamentul pentru o perioadă de minimum 18 luni pentru o proporție de minimum 50% din populația eligibilă corespunzătoare indicației evaluate; În vederea*

³ EURORDIS, "Recognising disabilities and barriers! Key findings from a Rare Barometer survey on the impact of living with a rare disease.," 2025. Disponibil la: <https://www.eurordis.org/publications/rb-dailylife-results/>.

*asigurării tratamentului egal al mecanismelor care au furnizat acces gratuit pacienților, dovada prevăzută la lit. d) poate fi realizată și în baza contractelor de sponsorizare încheiate și declarate potrivit legii, aferente programelor de acces timpuriu/compasiune, cu respectarea aceluiași praguri minime de **18 luni** și **50%** din populația eligibilă pentru indicația evaluată;”*

Considerăm **nejustificată diferențierea** în ceea ce privește includerea în Lista a medicamentelor cu decizie de includere necondiționată între (i) medicamentele orfane care au aviz de donație pentru 50% din populația eligibilă pentru 18 luni și (ii) medicamentele orfane care au autorizație de ultimă instanță și care au tratat 50% din populația eligibilă timp de 18 luni.

Prima categorie – cu aviz de donație – beneficiază de includere în actualizarea trimestrială a Listei, în timp ce a doua categorie nu se încadrează, la acest moment, în actualizarea trimestrială a Listei. Or, pentru ambele categorii de medicamente, DAPP susține accesul gratuit al pacienților la tratament prin modalitățile prevăzute de legislația aplicabilă și ajută, astfel, la eficientizarea costurilor sistemului de sănătate. Pentru ambele categorii de medicamente ANMDMR a aprobat/avizat această susținere a pacienților în mod gratuit, în baza legislației speciale și a evaluat astfel medicamentele pentru includere necondiționată în Lista, recunoscând investiția financiară suportată de către DAPP în beneficiul accesului gratuit al pacienților la tratamente care le sunt necesare stării de sănătate.

Prin urmare, **considerăm că pentru ambele categorii de medicamente care au fost evaluate pentru includere necondiționată trebuie asigurat același tratament pentru includerea trimestrială în Listă**, pe baza Tabelului nr. 5 din Ordinul nr. 861/2014 și care îndeplinesc cerința de a dovedi că au asigurat tratamentul pentru o perioadă de minimum 18 luni pentru o proporție de minimum 50% din populația eligibilă corespunzătoare indicației evaluate.

2. Modificarea articolului 7 alin. (1) prin introducerea lit. g) în Ordinul 861/2014, astfel încât să permită includerea în Listă a medicamentelor destinate tratării bolilor rare sau stadiilor evolutive, pentru care medicamentul este singura opțiune terapeutică, conform evaluării ANMDMR.

*„Se includ în Listă DCI-urile pentru care au fost emise decizii de includere necondiționată de către Președintele ANMDMR, destinate tratamentului bolilor rare sau stadiilor evolutive ale unor patologii pentru care DCI-ul constituie singura opțiune terapeutică, **conform Tabelului 7**. Sunt eligibile DCI-urile considerate aferente bolilor rare, conform informațiilor publicate pe platforma OrphaNet sau conform statisticilor europene și/sau locale, precum și DCI-uri care, potrivit raportului de evaluare ANMDMR care a stat la baza deciziei, cresc supraviețuirea medie cu minimum 3 luni sau determină încetinirea progresiei bolii către stadii avansate de severitate pe o durată mai mare de 3 luni.”*

În lipsa modificărilor propuse, există riscul ca medicamentele din Tabelul 7, unele recunoscute ca inovații majore de către profesioniștii din domeniul sănătății, să fie excluse de la compensare sau să întâmpine întârzieri semnificative, afectând direct pacienții vulnerabili.

În acest context, adresăm Ministerului Sănătății rugămintea de a reevalua aplicarea criteriilor de priorizare recent introduse prin Ordinul nr. 861/2014, astfel încât specificul acestor medicamente să fie pe deplin reflectat și să poată fi asigurat accesul în timp util la terapii inovatoare și cu potențial salvator.

Comitetul de Sănătate al AmCham România vă stă la dispoziție cu suport și expertiză, iar, în acest sens, solicităm organizarea unei întâlniri de lucru în cadrul căreia să discutăm fundamentarea solicitării noastre.

Cu deosebită considerație,

Georgiana Coșoveanu

Președinte
Comitetul de Sănătate
AmCham România