


# DIDESNIS PASIRINKIMAS - GERESNĖ SVEIKATA

Laisvi rinktis  
eksperimentinius vaistus



Medicininiu sprendimu  
kontrolė

Pacientu ir gydytoju  
kontrolė

Valdžios kontrolė

## Įvadas

Lietuvos laisvosios rinkos institutas publikuoja šį leidinį, siekdamas pradėti diskusiją apie tai, kaip sergantieji galėtų greičiau, tačiau saugiai, gydytis naujais vaistais, apie kelią į didesnę vaistų įvairovę, konkurenciją, paciento pasirinkimą, paciento ir mediko santykių permainas, atsakomybę, rizikos – saugumo – ligos sunkumo balansą, galų gale, apie šių procesų nulemtas naujų vaistų kainas.

Paklausite, kam to reikia? Juk bet kuris sveikas žmogus užėjęs į vaistinę pasakytų, kad vaistų pasirinkimas joje yra milžiniškas: daugybė vaistų pavadinimų, gamintojų vardų, sudėtinių dalių nuo įvairiausių ligų, kurių net pavadinimų nežino, skirtingų pakuočių, lašelių, tablečių ir t.t.. Paroduodamų vaistų skaičius siekia dešimtis tūkstančių pavadinimų.

Tačiau pastebėkite, kaip pasikeičia požiūris, kai į vaistinę užėina dažnai nuo peršalimo besigydantis žmogus? Jo vertinimas kitoks nei sveikojo: daug kartų reklamose girdėti vaistų nuo peršalimo pavadinimai, matyta pakuotė, žinomas poveikis, skonis. Vaistų asortimentas jam nebeatrodo begalinis, o yra konkretus, ribotas ir suvokiamas. Kita vertus – pakankamas ligai išgydyti.

Yra ir trečias atvejis - sunkios ligos, kurių gydymui nėra vaistų arba esami vaistai neefektyvūs. Vaistų nėra nei skanių, nei spalvotų. Jų tiesiog nėra – neverta ieškoti vaistinėse. Žmonės kenčia arba miršta. Paklausite, ką gi veikia vaistų gamintojai, nejaugi jie akli kurti žmonių kančioms, kodėl pasirodžiusi mokslinė žinutė apie galimybę įveikti ligą niekaip nevirsta vaistu, kurio tuoj pat griebtųsi kovojantis su mirtimi?

Atsakymas į šį klausimą slypi valstybiniame vaistų reguliavime ir registravime. Nuo tos minutės, kai mokslas aptinka naują ligą galinčią įveikti formulę iki tos, kai ji tampa piliule, praeina metų metai. Kodėl - atsakymas labai logiškas, ir, atrodytų neginčijamas. Negalima pateikti ligoniui nepatikrintų, nepakankamai saugių vaistų. Nesaugių vaistų vartojimas yra pavojingas gyvybei.

Tikrai taip. Niekas neimtų ginčytis, kad gydyti slogą vaistais, kurie tik ką užgimė mokslininko galvoje, yra nesaugu. Nes pasekmės gali būti skaudesnės nei liga. Nes jau yra saugių veiksmingų vaistų. Galų gale, pasveiksi nesigydydamas. Apie tokius atvejus šioje brošiūroje nebus kalbama.

Šiame leidinyje kalbama apie sunkių ligų gydymą naujais vaistais greičiau, nei jie įveikia visus registravimo etapus. Sutikite, tas, kurio liga yra labai sunki ir kuriam delsimas reikštų mirtį dažnai sutiktų gydytis vieną ar du klinikinių tyrimų

etapus praėjusiais naujais vaistais, įvertindamas riziką. Būtent šiuos ligonius pagrindinėse modernių vaistų gamybos šalyse – JAV ir Europoje – galiojanti vaistų registravimo tvarka palieka be jokio pasirinkimo.

Dažnai sergantieji sunkiomis ligomis net nežino, jog jau sukurti juos galintys išgydyti vaistai, tačiau dėl teisės aktų reikalavimų, jie keliauja per ilgą kelių fazių klinikinių tyrimų kelią tam, kad pasiekę ligonį nepadarytų jam žalos. Iš itin didelio vaistų registravimo tarnybų atsargumo, dalis vaistų apskritai neįregistruojami, saugantis „kad tik ko nenutiktų“. Niekas pacientui neleidžia rinktis naujų vaistų anksčiau, nei juos pasirinks valdžia. Niekas neskaičiuoja nesulaukusiųjų. Niekas nesidomi tais, kurie ieškodami alternatyvos, jos ieško ten, kur grėsmės dar didesnės. Tai – nematomoji gyvenimo ir mirties, paciento ir valdžios dvikovos pusė.

Šioje brošiūroje pateikiamos dvi medžiagos, kuriose aiškinama, kaip valstybinis vaistų registravimas užkerta kelią žmoniškajam pasirinkimui registruotais vaistais neišgydomos ligos akivaizdoje ir kokios veiksmingos, saugios alternatyvos galėtų leisti pamėginti gyventi tam, kuris esamoje sistemoje turi mirti.

Lietuvos laisvosios rinkos institutas

## Turinys

Bartley J. Madden. Didesnis pasirinkimas – geresnė sveikata.....	5
<i>Pratarmė</i> .....	5
<i>Aprobavimo procesas</i> .....	7
<i>Pasirinkimas tarp rizikos ir naudos</i> .....	7
<i>Diskusijos akcentai</i> .....	8
<i>Vaistų prieinamumo įstatymas</i> .....	9
<i>Asmeninės preferencijos</i> .....	10
<i>Optimalus reguliavimas</i> .....	11
<i>Du keliai</i> .....	12
<i>Dviejų kelių nauda</i> .....	13
<i>Žinių aplinka</i> .....	14
<i>Vaistų rizikos-naudos vertinimo duomenų bazė</i> .....	14
<i>Kaip išjudinti personalizuotą mediciną</i> .....	16
<i>Išvados</i> .....	17
<i>Šaltiniai</i> .....	19
Dr. Mary J. Ruwart. Gydykime sergantį pasaulį	
6 skyrius. Saugodami save, keliaujame į pražūtį .....	20
<i>Gyvybės ar mirties klausimas</i> .....	20
<i>AIDS ir per vėlai aprobuojami vaistai</i> .....	20
<i>Rinkos ekosistema: gerbkime savo artimo laisvą valią</i> .....	22
<i>Agresija suardo rinkos ekosistemą</i> .....	23
<i>Apsaugos iliuzija: talidomidas</i> .....	24
<i>Mokame savo gyvybę</i> .....	25
<i>Mirtys, apie kurias galime tik spėlioti</i> .....	26
<i>Situacija, kurioje pralaimi visi</i> .....	27
<i>Puiki išėitis</i> .....	28

# **Bartley J. Madden. Didesnis pasirinkimas – geresnė sveikata**

## *Laisvė rinktis eksperimentinius vaistus*

### **Pratarmė**

Man malonu paremti Barto Maddeno gerai apgalvotą pasiūlymą nuodugniai peržiūrėti Maisto ir Vaistų Tarnybos (Food and Drug Administration, toliau FDA) vaistų aprobavimo procesą.

Klausimas nėra – ir neturėtų būti – apie tai, kad nereikia kokybės standartų ir tikrinimų, bet apie tai, kad šitie procesai neturėtų kliudyti gydytojams ir jų pacientams konkrečiose aplinkybėse priimti sprendimus, kurie deramai ir pagrįstai yra jų pačių reikalas.

Kalbant apie žalą, kurią bet koks vaistų bandymų-aprobavimo procesas gali sukelti, klaidos gali būti dvejopos. Galima suklysti aprobuojant vaistą, kurio vartojimas gali sukelti saugumo ir efektyvumo riziką, arba galima suklysti laiku neaprobavus vaisto, kuris gali išgelbėti *jau dabar mirstančius žmones*. FDA yra politiškai sunku surasti balansą tarp šių dviejų klaidų. Kodėl? Todėl, kad bet kuris vaistas praėjęs pro FDA filtrą ir sukėlęs žalą ar mirtį greičiausiai susilauks plataus neigiamo atgarsio, taigi pasigirs pasiūlymų imtis veiksmų griežtinti ir taip jau pakankamai tobulą FDA filtrą bei spausti FDA „ką nors daryti“, kad tokie atvejai nepasikartotų.

Pagal kitą scenarijų bet kuris veiksmingas vaistas, kurio aprobavimas atidėliojamas metus, dvejus ar ilgiau, neapsaugos nuo žalos ar mirties tų žmonių, kurie nėra gydomi—tylių asmeninių atvejų, kurie nėra verti dėmesio, bet visumoje sukelia daugybę nereikalingų kančių ir mirčių. Šis pasirinkimas yra neatsiejama gydymo nežinomybės ir žinių progreso dalis. Jo būtinybė iškyla ne dėl blogų žmonių. Visi šiuose procesuose dalyvaujantys žmonės gali sąžiningai pagal galiojančias taisykles atlikti savo darbą, tačiau tos taisyklės neatsižvelgia į didėjantį disbalansą tarp minėtų dviejų klaidų sukeltamos žalos.

Bart Madden kruopščiai dėsto svarbiausius argumentus už FDA vaistų prieinamumo monopolio panaikinimą. Vienas atramos taškas - tai sveiko proto diktuojamas principas, kad gydymo procesą, įskaitant priėjimą prie FDA dar neaprobėtų vaistų, turi kontroliuoti pacientai ir jų gydytojai.

Remdamasis patikrintais ekonomikos dėsniais, Madden teigia, kad FDA taikoma „vieno dydžio“ reguliavimo schema yra ydinga. Ji neleidžia žmonėms išreikšti savo preferencijų dėl rizikos ir galimo sveikatos pagerėjimo. Dar daugiau, dabartinė schema neturi grįžtamojo ryšio mechanizmo, kuris leistų įvertinti labai brangius ir ilgus klinikinius FDA tyrimus kaštų-naudos požiūriu. Jei šie reguliavimo procesai nebus modifikuoti, spartėjant medicininių inovacijų tempui visuomenė patirs vis daugiau neigiamų pasekmių. Dėl šių priežasčių svarbu imtis seniai pribrendusios FDA vaistų aprobavimo procedūrų reformos.

Maddeno pasiūlytas sprendimas susideda iš dviejų dalių. Šis pasiūlymas atrodo patrauklus tokiems ekonomistams kaip aš, kurie giliai suvokia lemiamą institucinio sistemos modelio svarbą siekiant sudaryti sąlygas decentralizuotai perteikti tai, ką žino gydytojai ir jų pacientai, bet ko nežino FDA.

Pirmas šio modelio komponentas yra “dviejų kelių” sistema. Viename kelyje naujas vaistas turi įveikti įprastas klinikinių FDA tyrimų procedūras. Kitame, nuo FDA *nepriklausomame* kelyje *informuoti* vartotojai (pacientai, pasitarę su savo gydytojais) iš vaistų kūrėjų gali legaliai išsigyti naujų vaistų, praėjusių I-ąją klinikinių tyrimų fazę. Pacientai ir jų gydytojai galėtų rinktis tarp FDA aprobuotų vaistų arba naujų klinikinių bandymų stadijoje esančių vaistų.

Antras komponentas – tai Vaistų rizikos-naudos vertinimo duomenų bazė (Tradeoff Evaluation Database, toliau TED), kuri suteikia patogų priėjimą prie duomenų, reikalingų tinkamai informuoti pacientus ir gydytojus apie neigiamo šalutinio poveikio riziką ir galimą sveikatos pagerėjimą. Siekiant užtikrinti informuotą pasirinkimą tarp sistemos teikiamų alternatyvų, į TED būtų įtrauktas ir privatus sektorius.

Šie paciento/gydytojo kontrolę užtikrinantys modelio komponentai yra novatoriški ir pagrįsti. Vadovaujantis Maddeno koncepcija galima parengti įstatymus, užtikrinsiančius tiek didesnę vartotojų pasirinkimą, tiek pasirinkimo discipliną, kuri atneštų ilgalaikę naudą visuomenei.

Bart Madden kelia sau uždavinį nuodugniai išnagrinėti visus klausimus, į kuriuos privalu atsižvelgti, bei išreiškia gilų susirūpinimą dėl būtinybės tobulinti FDA procesus reglamentuojančias taisykles. Madenno tikslas – nubrėžti FDA kelią, kuris įgalintų pacientus ir gydytojus, turinčius reikiamų žinių, bet neturinčius pasirinkimo laisvės, pasinaudoti tomis žiniomis nedarant žalos kitiems. Tai yra studija, kurią gali produktyviai nagrinėti visi suinteresuotieji. Ji yra iš pagrindų nešališka ir būtent šitaip turi būti skaitoma.

### **Vernon L. Smith**

2002 m. Nobelio ekonomikos mokslų premijos laureatas

Ekonomikos mokslų institutas

Chapman universitetas

*Golfo aistruolių atmintyje visiems laikams liks įsirėžęs ne puikus 65 Tomo Watsono smūgis pirmajame 2003-ųjų JAV Atvirojo golfo turnyro raunde, bet jo patarnaujančiojo, Bruce'o Edwardso, draša.*

*30 metų Watsonui patarnavęs Edwards sirgo mirtina Lou Gehrig liga. Sirgalių meilės protrūkis turnyro metu buvo be galo jaudinantis. Edwards mirė sekančiais metais.*

*Šiandien vis dar nėra FDA aprobuoto vaisto, kuris suteiktų vilties žmonėms, sergantiems šonine amiotrofine skleroze, paprastai vadinama Lou Gehrig liga. O kas būtų buvę, jeigu ankstyvojoje FDA klinikinių tyrimų stadijoje būtų buvęs perspektyvus eksperimentinis vaistas nuo šios ligos? Jei Edwards ir jo gydytojai būtų disponavę visa prieinama informacija apie šio vaisto vartojimo riziką ir naudą, ar būtų reikėję jiems leisti šio vaisto įsigyti?*

### **Aprobavimo procesas**

Jau esame įpratę prie FDA vaistų prieinamumo monopolio. Tačiau iki 1962 m., prieš įvedant į rinką naujus vaistus, jie turėjo praeiti tik saugumo bandymus. Jų veiksmingumo vertinimas buvo paliktas vartotojams ir gydytojams.

Tam, kad šiandien galima būtų prekiauti vaistais kaip aprobuotais FDA, jie turi praeiti I-osios stadijos (saugumo) bandymus, II-osios stadijos saugumo bei efektyvumo bandymus dalyvaujant mažam pacientų skaičiui ir III-osios stadijos klinikinius bandymus dalyvaujant daug didesniai pacientų skaičiui.

Vidutiniškai šios trys klinikinių tyrimų stadijos trunka septynerius metus. Toliau FDA teikiamas prašymas su visa reikiama informacija dėl naujo vaisto registravimo. Vidutiniškai FDA patikrinimas užtrunka dar pusantų metų. Taigi tie, kuriems gali padėti naujas perspektyvus vaistas, negali jo įsigyti vidutiniškai 8,5 metų nuo to laiko, kai buvo pradėti vaisto klinikiniai bandymai FDA.

Be to, kad klinikiniai tyrimai ir prašymo dėl vaisto registravimo pateikimas ilgai užtrunka, tai dar kainuoja didelius pinigus. Vaistų kūrėjai patiria didžiules išlaidas, o jų galimos pajamos ilgam atidedamos... be jokių garantijų, kad vaistas bus apskritai patvirtintas. Visa tai kelia vaistų kainas vartotojams.

### **Pasirinkimas tarp rizikos ir naudos**

Turint omeny dabartines klinikinių bandymų procedūras, FDA atsiduria sunkaus pasirinkimo akivaizdoje. Kadangi nė vienas vaistas nėra absoliučiai saugus, FDA gali per klaidą aprobuoti vaistą, kuris vėliau sukels nepageidaujamą šalutinį poveikį, smarkiai nusveriantį vaisto teikiamą gydymo naudą. Kita vertus, FDA gali atsisakyti aprobuoti arba atidėti sprendimą aprobuoti vaistą, kuris vėliau paaiškėja esąs visiškai efektyvus ir galintis gelbėti gyvybes.

Kai FDA suklysta dėl pernelyg didelio atsargumo, gali mirti tūkstančiai pacientų, kurie priešingu atveju galėtų išgyventi. Bet tokie mirties atvejai yra retai dokumentuojami ir niekuomet nepatenka į vakarines naujienas. Taigi nenuostabu, kad praktikoje FDA labiau rūpi vengti labai matomų klaidų ir lengvai atpažįstamų aukų negu vengti nematomų, retai identifikuojamų aukų, kurioms nebuvo leista priėti prie FDA filtruojamų vaistų.

Nesaugaus vaisto aprobavimas FDA pareigūnams reiškia pažeminimą iš žiniasklaidos, pacientų ir politikų pusės. Tai gerokai nusveria bet kokią naudą, teikiamą greičiau aprobavus efektyvų naują vaistą.

Koks yra bendras ypatingų FDA pastangų antireklamai minimizuoti rezultatas? Daniel Klein ir Alexander Tabarrok interneto svetainėje [www.fhareview.org](http://www.fhareview.org) sukaupe daugybę tyrimų apie FDA. Jie padarė tokią išvadą apie FDA efektyvumą:

Mes teigiame, kad FDA vaistų ir preparatų kontrolė reikalauja didelių ir dažnai nepastebimų sąnaudų, ir beveik nėra abejonų, kad šios sąnaudos viršija kontrolės teikiamą naudą. Mes manome, kad FDA medicinos pramonės reguliavimas stabdo ar uždelsia naujų vaistų ir priemonių atsiradimą bei didina sąnaudas, o galutinis rezultatas - didesnis sergamumas ir mirtingumas. Atlikta daugybė FDA veiklos tyrimų ir visi jie nepaprastai vieningai priėjo tos pačios išvados.<sup>1</sup>

## Diskusijos akcentai

Rimta diskusija apie reguliacinį FDA vaidmenį turi prasidėti nuo sveiko proto diktuojamo principo, kad teisė priimti sprendimus dėl gydymo priklauso pirmiausia pacientams ir gydytojams. Neseniai JAV Kolumbijos apygardos apeliacinis teismas pritarė minėtam principui patvirtindamas mirštančių pacientų teisę priėti prie FDA dar neaprobųotų vaistų.<sup>2</sup>

Turint omeny ilgą FDA vaistų aprobavimo procesą, antras diskusijos akcentas turi būti žala, sukeliama ilgai vilkinant naujų vaistų pateikimą rinkai. „Vieno dydžio“ FDA aprobavimo procedūra tiesiog nesiderina su sparčiu medicininių inovacijų tempu 21-ajame amžiuje.

Trečias akcentas - išspręsti kylančią farmacinių kompanijų, turinčių įžvalgų apie ligų (dažnai retų ligų) sąsajas su pacientų genomu, dilemą. Šios dilemos esmė tokia: kuo didesnė personalizuotos medicinos nauda, tuo mažesnis personalizuotų vaistų vartotojų skaičius, tuo mažesnės laukiamos pajamos ir tuo mažiau tikimybės, kad investicijų graža bus pakankama. Tai daugiausia lemia didelės sąnaudos, susijusios su reikalavimu atlikti visus klinikinius FDA bandymus.

---

<sup>1</sup> Daniel Klein, Alexander Tabarrok, “Is the FDA Safe and Effective?” Prieiga: [www.fhareview.org](http://www.fhareview.org) [Žr., 2007-03-06].

<sup>2</sup> *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 445 F.3d 470, 484-86. Vašingtono apygardos teismas, 2006.



Turint omeny šiuos prioritetus, kokia turėtų būtų FDA reguliavimo galių struktūra ir optimalus lygis? Nei Kongresas, nei FDA šito nežino, kadangi optimalus lygis priklauso nuo pasirinkimo tarp rizikos ir naudos, kuri turi padaryti tik pacientai ir jų gydytojai. Esant dabartiniam FDA reguliavimo metodui, tokie gydytojų ir jų pacientų sprendimai yra ignoruojami arba slopinami.

## Vaistų prieinamumo įstatymas

Abigail susivienijimas už geresnį priėjimą prie eksperimentinių vaistų svariai prisidėjo propaguojant Senato įstatymo projektą S.1956 (ACCESS Act). Šis projektas numato sunkių ligonių teisę priėti prie perspektyvių vaistų prieš pasibaigiant visiems šių vaistų klinikiniais bandymams FDA. Šis projektas nenumato jokių esminių FDA proceso pokyčių, kadangi tai nėra jo tikslas. Įstatymo tikslas yra sveikintinas, bet šio tikslo pasiekimas iš dalies priklauso nuo FDA bendradarbiavimo apibrėžiant ir administruojant įstatymo įgyvendinimo taisykles.

Išvengti FDA taisyklių keblumų nėra paprasta. Gydytojas ir buvęs FDA pareigūnas Henry Miller rašė:

Daugelis žmonių nesuvokia, kad reguliavimo įstatymas, netgi jei jis nėra taisomas, nėra statiškas. Priėmus įstatymą, jo įgyvendinimas iš pradžių yra siauras ir apima specifinius įstatymo reikalavimus, todėl jo poveikis dažnai nėra platus. Tačiau laikui bėgant kiekviena nauja reguliuotojų karta yra linkusi iš naujo apibrėžti įgaliojimų mastą ir įvesti naujų reikalavimų. Įgaliojimų retai mažėja; reikalavimai beveik niekad neišnyksta. Reguliavimai pradeda savo gyvenimą. O reguliuotojams vis plačiau interpretuojant įstatymus, jie, tiesą sakant, tampa atskira interesų grupe, siekiančia išplėsti savo galias, biudžetus ir imperijas. Nesant efektyviai, sąžiningai Kongreso priežiūrai, reguliavimo sistema darosi vis sudėtingesnė ir vis mažiau efektyvi. Niekas kitas taip aiškiai to neparodo kaip išankstinio vaistų licencijavimo mechanizmo raida.

Dabartinėje farmacijos plėtros priežiūros sistemoje nėra viešos atskaitomybės mechanizmo... išankstinis vaistų aprobavimas smarkiai riboja asmeninę pasirinkimo laisvę. Asmeninė autonomija yra pajungta valstybės kontrolei. Piliečiams užkirstas kelias įsigyti produktų, kurių jie pageidauja, ir nėra kitos išeities kaip tik laukti valdžios pritarimo<sup>3</sup>.

Dar vienas klausimas - kaip FDA nustatys reguliavimo galias mažinančio įstatymo įgyvendinimo tvarką. Kaip bebūtų, vaistų prieinamumo įstatymo priėmimas būtų tvirtas žingsnis į priekį gelbstint žmones, sergančius pavojų gyvybei keliančiomis ligomis, bei mažinant neribotą FDA priėjimo prie neaprobųotų vaistų kontrolę.

---

<sup>3</sup> Henry I. Miller, „*To America's Health: A Proposal to Reform the Food and Drug Administration*“, Stanford, CA: Hoover Institution Press, 2000, p. 16-17.

## Asmeninės preferencijos

Jeigu jūs ar jūsų šeimos narys sirgtų pavojų gyvybei keliančia liga, ar jūs norėtumėte turėti laisvę išbandyti eksperimentinį vaistą? Ar jūs būtumėte pasiruošę priimti atsakomybę, įskaitant nepageidaujamą šalutinį poveikį, už savo sprendimą vartoti FDA dar neapčiuotus vaistus? O koks būtų jūsų atsakymas, jei jūsų sveikatos problema nekeltų pavojaus gyvybei—geltonosios dėmės degeneracija, sunki artrito forma ar kita alinanti liga? Atsakymai būtų skirtingi priklausomai nuo asmens rizikos ir neigiamo poveikio masto bei galimo sveikatos pagerėjimo įvertinimo.

Esmė tame, kad šiandienos reguliavimo aplinkoje jūsų pasirinkimas tarp vaistų vartojimo rizikos ir naudos niekam nerūpi. FDA neleidžia vartoti neapčiuotų vaistų, išskyrus klinikinių tyrimų metu ir esant tam tikroms labai specifinėms aplinkybėms.

Jei žmonėms būtų leista išreikšti savo preferencijas dėl vaistų vartojimo rizikos, tai pakirstų FDA vaistų prieinamumo monopolį. FDA teigia, kad norėdama padėti visuomenei, t. y. būsimiems pacientams, ji privalo turėti pilną kontrolę vertinti savo plačius klinikinių tyrimų duomenis pagal griežtas statistines taisykles. Pacientų/gydytojų laisvė vartoti dar neapčiuotus vaistus, pasak FDA, trikdytų dalyvavimą klinikiniuose bandymuose. Pagaliau, FDA daro tylią prielaidą, kad pacientai ir gydytojai nesugeba priimti sprendimų dėl eksperimentinių vaistų vartojimo.

Tokia FDA gynyba – tai rimtai išsibalansavusios sistemos atspindys. Vartotojų pasirinkimas nevertas dėmesio, nes klinikinių tyrimų poreikiai, pasak FDA, su kaupu nusveria esamų pacientų poreikius.

Pasirinkimas reiškia daugiau nei vien tik vartotojų skirstymą į rizikuotojus ir nerizikuotojus. Ekonomistas Friedrichas Hayekas iškėlė esminį klausimą, kurį taip reziumavo Vernon Smith:

Niekas nesuprato [rinkos] mainų proceso geriau nei Friedrich Hayek, kuomet jis pasakė: ... “Joks žmogus negali niekam perteikti visko, ką jis žino, nes didelę dalį informacijos, kuria žmogus gali pasinaudoti, jis pats išsiaiškina tik planuodamas savo veiksmus. Taip yra dėl to, kad žmogus ne tik panaudos savo turimas žinias, bet ir sužinos tai, ką jis turi žinoti, kad atliktų atitinkamus veiksmus.” Būtent dėl šių priešasčių nuomonių apklausos gali suteikti tik labai ribotų žinių apie tai, iš ko susideda žmonių „žinojimas“: žmonės nežino, ką jie darys tol, kol jie neatsidurs konkrečiose aplinkybėse, nes tik tuomet jie imasi priimti sprendimus<sup>4</sup>.

Daugelis žmonių, kuriems neteko asmeniškai skausmingai patirti, ką reiškia dabartinės FDA procedūros, greičiausiai nereikalaus pasirinkimo laisvės. Išgirde žiniasklaidos pranešimus apie jau aprobuotų vaistų atšaukimą (Vioxx), nuomonių tyrimų metu jie greičiausiai pasisakys už papildomus FDA bandymus.

---

<sup>4</sup> Bartley J. Madden, “Breaking the FDA Monopoly”, *Regulation*, Cato Institute, 2004 birželis. Prieiga: <http://www.heartland.org/Article.cfm?artId=15758>.

Bet įsivaizduokime tuos pačius žmones kitame kontekste. Jeigu juos arba jų šeimos narius, kaip Bruce'ą Edwardsą, užkluptų šoninė amiotrofinė sklerozė, jiems grėstų raumenų degeneracija ir mirtis per trejus penkerius metus. Tokiu atveju jų ir jų šeimos narių nuomonė kardinaliai pasikeistų ir jiems reiktų įgyti žinių apie šoninę amiotrofinę sklerozę apskritai, o ypač apie dabartinę FDA dar neaprengtą preparatų nuo šios ligos perspektyvą. Nuomonių tyrimų metu jie beveik neabejotinai pateiktų kitokius atsakymus apie šiandieninę FDA praktiką ir jos galių išplėtimą.

Turint omeny tai, kad gyvename nuolatinių pokyčių sąlygomis, beveik nekyla abejonių dėl to, kad ateityje sulauksime spartesnių medicininių inovacijų.

Dabar įsivaizduokime aplinką, kurioje vartotojai iš interneto gauna naujausią ir lengvai suprantamą informaciją apie esamų eksperimentinių vaistų saugumą ir efektyvumą. Tikėtina, kad ankstyvojoje klinikinių bandymų fazėje mes pamatytume daugiau tokio veiksmingumo vaistų, šalia kurių FDA aprobuoti vaistai atrodo atgyvenę.

Ar tokioje aplinkoje neatsiras daugiau vartotojų, pageidaujančių pacientų/gydytojų eksperimentinių vaistų vartojimo kontrolės vietoj FDA vaistų prieinamumo monopolio?

Kokio lygio yra dabartinis FDA naujų vaistų reguliavimas palyginti su optimaliu lygiu? Niekas iš tiesų nežino. Pasvarstykime, kaip veiktų sistema, kuri būtų *sukurta* atspindėti optimalų lygį.

## **Optimalus reguliavimas**

Čia gvildenama idėja, kad pirmenybė turi būti teikiama *dabartiniams*, o ne būsimiems pacientams, verta Kongreso debatų. Ši idėja yra pagrįsta principu, kad pasirinkimo laisvė ir konkurencija atneša visuomenei naudos tiek iš karto, tiek ilguoju laikotarpiu. Priėmus įstatymus, kurie įgalintų konkurenciją ir panaikintų FDA monopolį, FDA būtų priversta ieškoti naujų būdų platesniam informacijos spektrui nagrinėti.

Kad Kongresas pasistūmėtų įtvirtindamas kertinį pacientų/gydytojų gydymo sprendimų kontrolės principą, svarbu suprasti, kaip galima patobulinti dabartinę sistemą siekiant optimalaus reguliavimo lygio. Kai politikai, siekdami rinkos teikiamos naudos, priima sprendimus mažinti valdžios reguliavimą, kai kurie rinkos šalininkai atmeta tikslaus planavimo poreikį tikėdamiesi, kad nematoma Adamo Smitho ranka automatiškai padarys reikiamas rinkos korekcijas. Ne. Instituciniam modeliui sukurti reikia daug dėmesio—reikalinga matoma ranka, kad šis modelis užtikrintų didesnio pasirinkimo ir konkurencijos veiksmingumą. Kalifornijos katastrofiškai ydingas elektros ūkio dereguliavimo planas aiškiai parodo didžiulę institucinio modelio svarbą įgyvendinant dereguliavimą.

Taigi uždavinys yra išnaudoti konkurenciją taip, kad pacientai ir jų gydytojai, vaistų kūrėjai ir FDA nuolat vertintų, kas labiausiai atitinka jų poreikius, ir ieškotų geresnių sprendimo būdų. Praktikoje tai reikalauja dviejų inovacijų.

Visų pirma, dabartinė naujų vaistų „vieno kelio“ aprobavimo sistema, kuomet visi nauji vaistai turi būti patvirtinti FDA prieš tiekiant juos vartotojams, turi būti

papildyta sukuriant eksperimentinių vaistų dviejų kelių sistemą<sup>5</sup>. Ši sistema suteiktų pacientams laisvę pasirinkti FDA aprobuotus vaistus *arba* eksperimentinius vaistus. Mainais už galimybę pagerinti sveikatą vartojant kitaip dar neprieinamus vaistus, pacientai sutiktų prisiimti atsakomybę už galimai didesnę dar neaprobuotų vaistų vartojimo riziką.

Antra, reikalinga nauja efektyvi informacinė sistema, kad pacientai ir gydytojai būtų tinkamai informuoti apie eksperimentinių vaistų vartojimo riziką ir naudą. Aš šią sistemą vadinu Vaistų rizikos-naudos vertinimo duomenų baze (TED) ir trumpai aprašysiu, kaip ji galėtų veikti. Vartotojų ir gydytojų aprūpinimas dideliu naujausios informacijos apie eksperimentinius vaistus kiekiu - tai raktas į dviejų kelių sistemos saugumo ir veiksmingumo, taip pat konkurencijos, užtikrinimą.

## Du keliai

Šioje dviejų kelių sistemoje naujas vaistas turėtų praeiti įprastas klinikinių FDA bandymų procedūras, o iš kitos pusės vaistų kūrėjai turėtų galimybę nepriklausomai nuo FDA (tačiau tik sėkmingai įveikę I-ąją FDA toksiškumo ir saugumo vertinimo fazę) sudaryti sandorius su vartotojais (atskirais pacientais, pasitarusiais su savo gydytojais) ir parduoti jiems FDA dar neaprobuotų vaistų.

Kad dviejų kelių sistema sėkmingai funkcionuotų, vartotojai turi būti išsamiai informuoti apie galimą FDA neaprobuotų vaistų vartojimo riziką. Tai yra TED funkcija. TED pateiktų klinikinių tyrimų rezultatus ir FDA dar neaprobuotų vaistų neklinikinių bandymų rezultatus (įskaitant šalutinį poveikį). Internetu nuolat atnaujinama TED informacija būtų prieinama pacientams ir gydytojams taip, kad jie galėtų nuspręsti, ar išbandyti I-ąją FDA saugumo tyrimų stadiją sėkmingai praėjusį eksperimentinį vaistą.

TED tinklalapiui gydytojai teiktų detalią informaciją apie savo pacientų gydymą, ir ši informacija būtų po to prieinama vaistų kūrėjams ir visuomenei. Tokiu būdu būtų išplėtotas procesas, kuris itin efektyviai paspartintų medicininius sprendimus. Greičiausiai gydytojai entuziastingai sutiktų TED teikiamas galimybes kūrybiškai panaudoti savo unikalias žinias, įgytas medicininės karjeros metu. Tokia detali informacija apie pacientų būklę ir gydymo rezultatus padėtų vaistų kūrėjams ir kitiems gydytojams.

Laikui bėgant dviejų kelių sistema parodytų, kaip gerai ar blogai sekasi pacientams, kurie nedelsdami pasirinko eksperimentinius vaistus. Kiti pacientai netruktų sužinoti apie gydymo rezultatus ir turėtų daugiau informacijos, ar pasirinkti eksperimentinį ar aprobuotą vaistą. Taigi bendras aprobuotų ir neaprobuotų vaistų vartojimas būtų individualių sprendimų visuma.

Įprastos FDA klinikinių tyrimų procedūros liktų nepakeistos ir leistų pacientams, kurie renkasi mažiausią riziką, susijusią su eksperimentinio vaisto

---

<sup>5</sup> Henry I. Miller, "Patients' Right to Choose", *Brief Analysis*, 2006 spalio, National Center for Policy Analysis. Prieiga: <http://www.heartland.org/Article.cfm?artId=20105>.

vartojimo nežinomu šalutiniu poveikiu, laukti FDA vaisto aprobavimo. Tie, kurie stovi ant mirties slenksčio, galėtų pasinaudoti TED ir pasirinkti perspektyviausią vaistą. Ir jie greičiausiai nuspręstų jį išbandyti. Bet kas šioje pilkoje zonoje tarp šių dviejų polių galėtų pasinaudoti TED, kad pasirinktų tarp rizikos ir galimo sveiktos pagerėjimo.

Turint omeny FDA patiriamą spaudimą ir šios tarnybos jau tradiciniu tapusį šališkumą, FDA tikriausiai nepritars tokiai pacientų/gydytojų gydymo kontrolei, net jei šios kontrolės rezultatai padėtų tobulinti pačios FDA vaistų tikrinimo ir aprobavimo procedūras.

Baimė, kad nepageidaujama šalutinį poveikį patyrę žmonės kreipsis į teismą, sudaro rimtą kliūtį vaistų kūrėjams, norintiems prekiauti FDA neaprobuotais vaistais. Nepašalinus teismo bylų grėsmės, ji pakirs dviejų kelių sistemą. Norint išspręsti šią problemą, įstatymai turi numatyti minimalios informacijos apie eksperimentinius vaistus reikalavimą, kad pacientai ir gydytojai būtų tinkamai informuoti apie vaistų vartojimo riziką ir galimą naudą.

Kad išvengtų teismo bylų, vaistų kūrėjai turėtų greitai ir sąžiningai pranešti apie visus gydymo dar neaprobuotais vaistais rezultatus, įskaitant visą nepageidaujama šalutinį poveikį. Nors TED kūrimui ir operavimui būtų pasamdyta privati kompanija, vyriausybė turėtų jos priežiūros teisę, kad visuomenei būtų prieinama pakankama informacija. Svarbu yra tai, kad lygiai taip pat, kaip auditoriai yra nepriklausomi nuo jų audituojamų bendrovių, taip ir TED turi būti *nepriklausoma* nuo FDA.

## Dviejų kelių nauda

Dabartinėje FDA aplinkoje duomenys yra gaunami labai specifinių ir ilgų klinikinių tyrimų metu beveik išimtinai tam, kad FDA įgyvendintų savo statistinius uždavinius. Ši aplinka tikrai nėra plati ir atvira grįžtamajai informacijai, ji nėra palanki žinių sklaidai, plėtrai ir greitam vaistų kūrėjų išteklių paskirstymui/perskirstymui.

Dviejų kelių sistemoje, priešingai, dalyvautų įvairūs pacientai. Šioje aplinkoje gydytojai būtų žinių šaltinis; jie turėtų galimybę panaudoti savo medicininę patirtį ir problemų sprendimo įgūdžius tik tam, kad padėtų savo pacientams, bet pasidalindami informacija jie taip pat padėtų ir kitiems pacientams bei visuomenei.

Kiekviena Amerikos šeima turėtų interneto prieigą prie TED bei gautų greitai ir nuolat atnaujinamą informaciją apie visų eksperimentinių vaistų saugumą ir efektyvumą. Dviejų kelių sistemoje pacientai ir gydytojai galėtų pasirinkti, ar išbandyti eksperimentinį vaistą dabar, laukti daugiau informacijos ar pasikliauti tik FDA aprobuotais preparatais.

Dviejų kelių sistema suteiktų unikalias galimybes mažoms vaistus kuriančioms firmoms, kurios turi didžiulį mokslinį potencialą, bet stokoja finansinių resursų ir/arba įgūdžių įveikti FDA biurokratiją. Jei tokios verslo įmonės sukurtų naujus vaistus, kurie ankstyvojoje stadijoje pasirodytų esą labai efektyvūs, šios įmonės turėtų galimybę nemažai užsidirbti ir gauti naudos iš fondų biržos. Vaistų kūrėjams turėtų būti leista nustatyti tokių vaistų kainas lygiai taip pat, kaip jie nustato aprobuotų vaistų kainas, nors šiam pasiūlymui kai kas ir nepritartų. Didelis pacientų, patyrusių teigiamus vaistų vartojimo ankstyvojoje stadijoje rezultatus, skaičius greičiausiai būtų

svarbus veiksnys nustatant pradines kainas, ir tai turėtų paskatinti vaistų kūrėjus neleisti kainoms kilti.

Be to, mokslinis potencialas kuriant perspektyvius vaistus taptų daug vertingesnis nei gebėjimai įveikti FDA biurokratiją—gebėjimai, kurių didelės farmacinės kompanijos turi daugiau nei mažos.

Kas dėl tolesnių vaistų kainų, svarbu yra tai, kad sėkmingas ankstyvasis vaistų, įveikusių I-ąją saugumo tyrimų stadiją, vartojimas išjudintų esminį nepaprastai brangių ir daug laiko reikalaujančių II-osios ir III-osios klinikinių tyrimų stadijų reikalavimų įvertinimą. Galimas daiktas, kad tokio vertinimo dėka klinikiniai tyrimai taptų sklandesni, smarkiai sumažėtų vaistų kūrėjų sąnaudos ir vaistų kainos vartotojams.

Kad būtų sudarytos sąlygos pacientų/gydytojų gydymo proceso kontrolei, būtina priimti įstatymus, kurie sukurtų aplinką informacijos srautui, reikalingam gydymo proceso pasirinkimo laisvei užtikrinti. Taip pat svarbu sudaryti sąlygas pažinimui ir nuolatiniam tobulėjimui.

### **Žinių aplinka**

Žinių ir nuolatinio tobulėjimo aplinka reikalauja informacinės sistemos, kuri:

(1) teiktų naujausią informaciją apie vykstančių klinikinių tyrimų rezultatus ir taip padėtų pacientams ir gydytojams;

(2) sureguliuotų naujausių eksperimentinių vaistų vartojimo (neklonikinių bandymų duomenų) rezultatus, įskaitant nepageidaujamą šalutinį poveikį, apdorojimą;

(3) sudarytų sąlygas pacientams, bendradarbiaujantiems su savo gydytojais, gauti tinkamą informaciją ir prisiimti atsakomybę už klinikinių tyrimų fazėje esančių vaistų vartojimą tam, kad geranoriški vaistų kūrėjai būtų apsaugoti nuo bylinėjimosi grėsmės; ir

(4) skatintų didesnę pasirinkimą ir konkurenciją ne tik tarp pacientų ir jų gydytojų, bet ir tarp vaistų kūrėjų ir FDA.

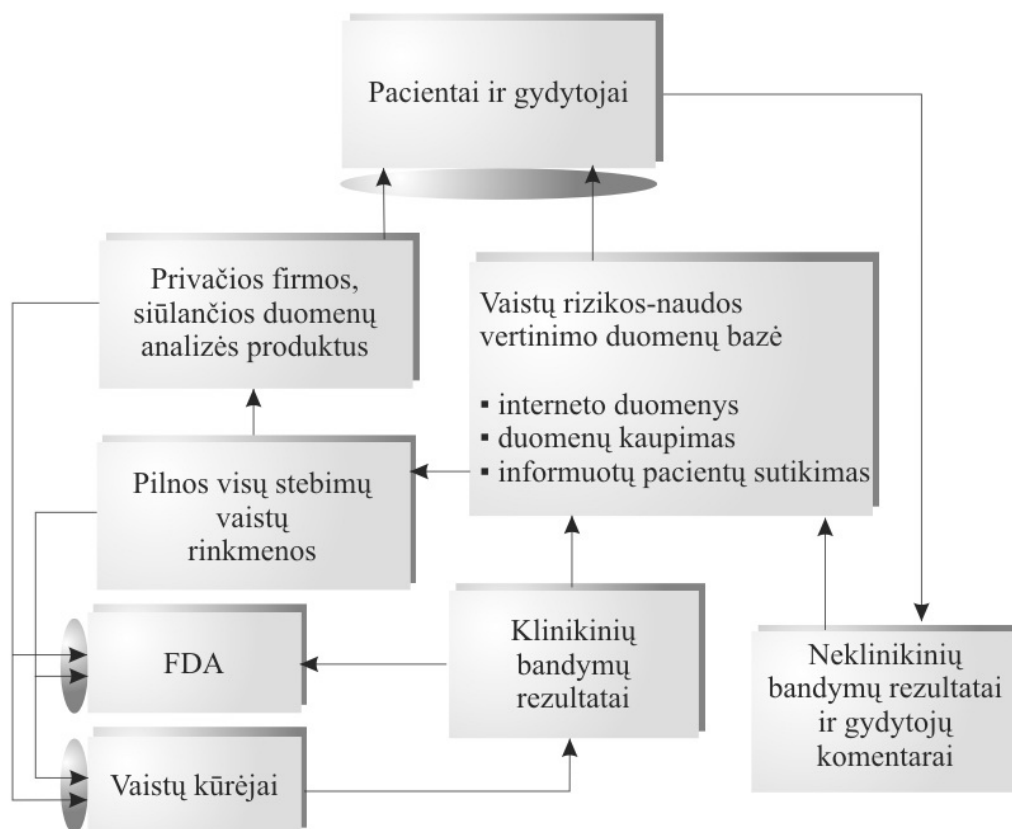
### **Vaistų rizikos-naudos vertinimo duomenų bazė**

Žemiau pateikta diagrama vaizduoja funkcinis TED komponentus ir jų sąveiką<sup>6</sup>. Kaip parodyta diagramos apačioje, visi eksperimentinių vaistų vartojimo rezultatai būtų talpinami TED. Tai apimtų tradicinių FDA klinikinių tyrimų rezultatus ir „neklonikinių bandymų rezultatus“, t. y. FDA dar neaprebuotų vaistų vartojimo rezultatus.

### **Dviejų kelių sistema**

---

<sup>6</sup> *PolicyBot*<sup>TM</sup>, Nemokamas Heartland instituto interneto informacijos centras, skirtas kitų laisvarinkiškų organizacijų darbui, pateikia tūkstančius dokumentų apie sveikatos apsaugos reformą. Prieiga: [www.heartland.org](http://www.heartland.org).



### Informacija juda pagal rodykles

„Duomenų kaupimas“ internete, žiūrint nuo diagramos apačios, teikia dviejų rūšių produktus. Viena informacijos rūšis – tai naujausi vaistų saugumo ir efektyvumo duomenys pacientams ir jų gydytojams. Ši informacija leistų pacientams prisiimti atsakomybę už galimą nepageidaujamą šalutinį dar neaprobūtų vaistų vartojimo poveikį. Kaip minėta anksčiau, jei valdžios institucijos prisiimtų atsakomybę už šią informaciją, tai neleistų advokatams reikšti ieškinių dėl to, kad pacientai neturi pakankamai informacijos ir todėl negali sudaryti sandorių su vaistų kūrėjais.

Kitas produktas – tai išsami informacija apie visus stebimus vaistus, kuri yra prieinama vaistų kūrėjams, FDA ir privačioms firmoms, siūlančioms duomenų analizės paslaugas. Tokiu būdu konkurencija veikia trijose vietose, diagramoje pažymėtose apskritimais. Apskritimas diagramos viršuje rodo, kad pacientai (vartotojai) galėtų rinktis konkuruojančius informacijos pasiūlymus vaistui vertinti. Būtų sudaryta galimybė rinktis iš privačių firmų siūlomos analizių įvairovės. Kaip ir bet kurios kitos prekės atveju, vartotojai turėtų naudoti iš didesnio pasirinkimo ir konkurencijos rinkoje.

Du apskritimai apačioje rodo, kad galima pasirinkti arba atlikti savo duomenų analizę, arba pirkti analizę iš išorės. Reikia atkreipti dėmesį į tai, kad apskritimas ties FDA reiškia tiek neapdorotus duomenis, tiek duomenis iš privačių firmų. FDA vadovybė ir Kongreso nariai, atsakingi už FDA išteklių naudojimo priežiūrą, galėtų palyginti FDA klinikinių tyrimų duomenų apdorojimo ir analizės efektyvumą ir privataus sektoriaus alternatyvų efektyvumą.

Apskritimas ties vaistų kūrėjais rodo, kad vaistų kūrėjai, kaip ir FDA, galėtų rinktis arba atlikti savo klinikinių ir neklinikinių tyrimų duomenų analizę, arba pirkti analizę iš išorės.

Svarbu yra tai, kad nuolat atnaujinamų duomenų lobynas dabar būtų vieša nuosavybė. Pavyzdžiui, nepaprastai naudingos būtų išvalgos apie tai, kodėl tam tikri vaistai veikia arba neveikia atskirų pacientų atveju. Mokslininkai gautų įvairių išvalgų ir turėtų vis daugiau galimybių ankstyvojoje tyrimų stadijoje nuspręsti, ar tam tikras tyrimų metodas pasiteisins<sup>7</sup>. Tai tiesiogiai išspręstų problemą, susijusią su pastarojo meto vaistų aprobavimo sulėtėjimu, ypač kalbant ne apie „me too“ vaistus (jau esančių vaistų modifikacijas), bet apie naują gydymo standartą siūlančius preparatus.

Ši studija bendrais bruožais aprašo dviejų kelių sistemą. Be abejo, yra daugybė su šios sistemos įgyvendinimu susijusių klausimų, kuriuos reikia aptarti. Pavyzdžiui, ar kuriant TED reikia nuo pat pradžių pasinaudoti privataus sektoriaus paslaugomis ir atviru konkursu? Kaip dabartinė klinikinių tyrimų rezultatų tvarkymo ir viešinimo bei vaisto vartojimo ne pagal vaisto indikacijas infrastruktūra bus suderinta su dviejų kelių aplinka? Tokius klausimus galima būtų apsvarstyti pritarus diagramoje pavaizduotam kertiniam modeliui.

### **Kaip išjudinti personalizuotą mediciną**

Dviejų kelių sistema sudarys vaistų kūrėjams sąlygas surasti ekonomiškai gyvybingą anksčiau minėtos problemos, susijusios su personalizuota medicina, sprendimą. Tos pačios personalizuotos medicinos savybės, kurios žada didžiulius laimėjimus sveikatingumo srityje, pakerta primygtinį FDA reikalavimą atlikti ilgus klinikinius bandymus su dideliu pacientų skaičiumi.

Visuomenei būtų naudinga, jeigu farmacinės kompanijos galėtų šiose keturiose stadijose įgyvendinti personalizuotos medicinos verslo modelį, susiejantį pelną su sėkmingomis inovacijomis:

(1) sukurtų pagal pacientų genotipą vaistą, pasižymintį ypatingu veiksmingumu ankstyvojoje stadijoje;

(2) sėkmingai įveikusios I-osios stadijos saugumo vertinimą, greitu laiku gautų pajamų iš pardavimų vartotojams, kurie nusprendžia nelaukti galutinio FDA aprobavimo;

(3) iš vienos pusės, sukurtų dokumentuotą išskirtinių vaisto vartojimo rezultatų, gautų iš pacientų, atitinkančių tiksliai apibrėžtą pacientų genotipą ir priėmusių informuotą sprendimą vartoti eksperimentinį vaistą, apskaitą; ir

---

<sup>7</sup> *Health Care News*, nemokamas mėnesinis Heartland instituto leidinys. Jį galima užsiprenumeruoti Interneto svetainėje [www.heartland.org](http://www.heartland.org) arba išsiuntus laišką su vardu, pavarde ir adresu Heartland institutui, 19 South LaSalle Street #903, Chicago, IL 60603.



(4) iš kitos pusės, pakeltų reikšmingai sumažėjusią II-osios ir III-osios FDA klinikinių tyrimų stadijų našta.

Dviejų kelių sistema palengvintų tokio verslo modelio įgyvendinimą ir paspartintų vaistų kūrimo pažangą, skatinamą genetikos mokslo žinių sklaidos.

### Išvados

Argi mes nenorėtume, kad mūsų išrinkti atstovai siektų geresnio pasaulio, kuriame prioritetas būtų teikiamas esamiems pacientams, o pacientai ir gydytojai kontroliuotų gydymo procesą? Dviejų kelių sistema leistų pasiekti šį tikslą. Ši sistema sudarytų sąlygas:

- didesnei pacientų pasirinkimo laisvei;
- spartesniam grįžtamosios informacijos apie naujų vaistų saugumą ir efektyvumą gavimui;
- didesniam naujų vaistų prieinamumui gydytojams ir pacientams;
- priėjimui prie “nereguliuojamų” gydytojų komentarų ir idėjų, kurios suteiktų tiesioginės praktinės naudos turinčių išvalgų;
- esminiam poslinkiui farmacinėje pramonėje, kur gebėjimai kurti naują gydymo standartą užtikrinančius vaistus vertinami daug labiau nei gebėjimai įveikti FDA biurokratiją; ir
- reikšmingam FDA klinikinių tyrimų paprastinimui, kuris lemtų didžiulį vaistų kūrėjų sąnaudų sumažėjimą, daug mažesnes vaistų kainas vartotojams ir pagaliau–sveikesnius ir ilgesnius gyvenimus.

Svariausias argumentas už dviejų kelių sistemą–argumentas, kuris atrodo patrauklus įvairių pažiūrų politikams ir esant bet kokiam nesutarimų šaltiniui–yra tai, kad atskiri asmenys ir šeimos turi turėti laisvę pagerinti sveikatą ar išgelbėti gyvybę, net jeigu jie patirtų tam tikrą riziką. Dabartinė reguliavimo sistema visiškai nesiderina su šia paprasta ir įtikinama idėja. Ir tai skatina imtis rimtos reformos.

Čia pateikta nuomonė yra išimtinai autoriaus.

Bartley J. Madden yra nepriklausomas tyrinėtojas iš Naperville, Iliojaus valstija (bartmadden@yahoo.com; <http://www.LearningWhatWorks.com>).

## Šaltiniai

1. Daniel Klein, Alexander Tabarrok, “Is the FDA Safe and Effective?” Prieiga: [www.fdareview.org](http://www.fdareview.org) [Žr., 2007-03-06].
2. *Abigail Alliance for Better Access to Developmental Drugs v. von Eschenbach*, 445 F.3d 470, 484-86. Vašingtono apygardos teismas, 2006.
3. Henry I. Miller, „*To America’s Health: A Proposal to Reform the Food and Drug Administration*,” Stanford, CA: Hoover Institution Press, 2000, p. 16-17.
4. Vernon L Smith, “Hayek and experimental economics,” *Review of Austrian Economics*, 2005, 18(2), p.139-140.
5. Išsamiau apie Dviejų kelių koncepcijos analizę žr. Bartley J. Madden, “Applying a Systems Mindset to FDA. Prieiga: [www.SSRN.com/abstract=1120590](http://www.SSRN.com/abstract=1120590) [Žr. 2008-04-14].
6. Informacija apie vaistus ir klinikinius tyrimus prieinama šiose interneto svetainėse: [www.cancer.gov](http://www.cancer.gov), [www.centerwatch.com](http://www.centerwatch.com), [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov), [www.fda.gov/medwatch](http://www.fda.gov/medwatch), [www.ifpma.org/clinicaltrials](http://www.ifpma.org/clinicaltrials), [www.micromedex.com](http://www.micromedex.com) ir [www.trialscentral.org](http://www.trialscentral.org).
7. Government Accountability Office (GAO), 2006 lapkritis, Report GAO-07-49, “New Drug Development,” p. 35, rekomenduoja valdžios institucijoms, verslo įmonėms ir mokslo bendruomenėms bendradarbiauti siekiant sukurti duomenų apie vaistų klinikinių tyrimų nesėkmių priežastis kaupimo ir analizės sistemą. Pavyzdžiui, FDA ir farmacininkų atstovai galėtų peržiūrėti FDA ir verslo įmonių duomenų bazes tam, kad gautų pavyzdžių apie nesėkmingus vaistus ir galėtų atlikti sistemingą šių nesėkmių priežasčių analizę. Atliekant šį darbą būtina užtikrinti kiekvienos firmos turimos informacijos apie specifinius vaistus nuosavybės teises. Šis darbas galėtų suteikti naujos informacijos, kuri leistų daugeliui firmų išvengti tų pačių ar panašių klaidų ir padidintų klinikinių tyrimų efektyvumą.

## **Dr. Mary J. Ruwart. Gydykime sergantį pasaulį**

### **6 skyrius. Saugodami save, keliaujame į pražūtį**

*Prievarta uždrausdami kenksmingus vaistus, prarandame galimybę įsigyti vaistų gyvybei išgelbėti.*

#### **Gyvybės ar mirties klausimas**

Jei mūsų kaimynas Džordžas sirgtų nepagydoma liga, mums niekada nešautų jį galvą nueiti į jo namus ir prievarta atimti vaistus, galinčius jį išgelbėti. Ir argi mes neišsiustume, jei mūsų šeimos narys sirgtų nepagydoma liga, o Džordžas grasindamas ginklu uždraustų mūsų mylimam žmogui vartoti vaistus, galinčius jam padėti. Kaip žmonės, mes gerbiame laisvą savo kaimyno valią. Jei manome, kad mūsų draugai nesugeba kažko tinkamai pasirinkti, galime pamėginti juos nuo nevykusio pasirinkimo atkalbėti. Tačiau galutinis sprendimas, pasitarus su gydytoju, jų reikalas. Pagaliau juk jų, o ne mūsų sveikata statoma ant kortos. Dažniausiai jie žino daug geriau nei mes, kokia išėitis jiems tinkamiausia, kaip ir mes, kas geriausiai tinka mums. Mes laikomės neagresyvumo nuostatų, kai jaučiame atsakomybę už savo sprendimus ir netrukdomė to daryti kitiems. Primesdami savo valią kitiems, rizikuojame prisiimti atsakomybę už jų gyvybę.

Tačiau susidūrus su visa bendruomene, valstybe ir tauta, mūsų požiūris visiškai pasikeičia. Kažkodėl mums ima atrodyti, kad, versdami kitus paklusti mūsų valiai, darome gerą darbą. Štai, pavyzdžiui, mes remiame įstatymus, draudžiančius gamintojams — jei reikia, ir prievarta — pardavinėti vaistus, kuriems nebuvo išduota licencija arba kurių neaprobavo Maisto produktų ir vaistų kontrolės valdyba (PVKV). Mes nesutinkame gerbti laisvos kaimyno valios: įsakome PVKV nuspręsti už jį - jei reikia, ir prievarta. Bet rezultatas čia toks pat, koks būtų buvęs, jei būtume griebsi prievartos prieš Džordžą. Vaistai, galintys išgelbėti gyvybę, tiesiog išplėšiami mūsų tėvynainiams amerikiečiams iš rankų!

#### **AIDS ir per vėlai aprobuojami vaistai**

Iki 1988 m. muitinės pareigūnai atiminėdavo dekstrano sulfatą iš AIDS sergančių žmonių šiems grįžtant į Jungtines Valstijas iš Japonijos, kur jie keliaudavo pirkti tų vaistų. Tuo metu niekas nežinojo, ar dekstrano sulfatu galima išgydyti AIDS, bet buvo žinoma, kad laboratorijų mėgintuvėliuose jis neleisdavo ŽIV virusui naikinti baltųjų kraujo kūnelių. Jei dekstrano sulfatas būtų taip veikęs ir žmogaus organizme, jis galėjo užkirsti kelią žmogaus imuninės sistemos griovimui. Kol nebuvo įrodyta, kad

vaistas veikia būtent taip, PVKV uždraudė — prireikus ir prievarta — pardavinėti šiuos vaistus Jungtinėse Valstijose.

*Mes neturėtume lyg  
gestapininkai  
brautis į žmonių  
namus ir atiminėti  
vaistus iš beviltiškai  
sergančių ligonių.*  
— Frankas Youngas  
buvęs PVKV  
atstovas

Daugelis AIDS aukų nemanė turinčios laiko palaukti, kol bus atlikti visi bandymai. Kadangi nuo jų pasirinkimo — teisingo ar neteisingo — priklausė gyvybė, jie manė, kad mes turėtume gerbti jų valią. Didžiulei AIDS sergančių ligonių nelaimei, mūsų įstatymai manė kitaip. Muitinės pareigūnams prievarta konfiskavus šią paskutinę viltį, atsiskleidė tikrosios mūsų agresijos pasekmės. Maisto ir vaistų įstatymai yra pražūtingi — jie trukdo mirtinai sergantiems žmonėms įsigyti vaistų, galinčių išgelbėti jiems gyvybę. AIDS aukų, kurioms neleista įsigyti galinčių juos išgelbėti vaistų, pavyzdys labai aiškiai parodė mūsų agresijos pasekmes. PVKV atstovas Frankas

Youngas parodė didelę drąsą, leisdamas žmonėms, turintiems gydytojo rekomendacijas, įsivežti vaistų asmeniniam vartojimui iš kitų šalių. Daugelis šių vaistų neparduodami JAV dėl „vaistų vėlavimo“, kurio priežastis — mūsų įstatymai.

Taigi Jungtinės Valstijos daugelį naujų vaistų gauna gerokai vėliau, nei jie pasirodo kitose šalyse, nes mūsų licencijų įstatymai yra patys agresyviausi pasaulyje. PVKV reikalauja, kad vaistų gamintojai atliktų keletą metų truncančius ir apie 200 milijonų dolerių kainuojančius bandymus. Gamintojai siunčia PVKV tonas dokumentų, kuriems išstudijuoti ir nuspręsti, ar atlikta pakankamai bandymų, reikia vidutiniškai 2,5 metų. O tuo metu žmonėms, kurių gyvybė galbūt kybo ant plauko, draudžiama — jei reikia, ir prievarta — pirkti tuos naujus vaistus. Kaip ir visi licencijų įstatymai, mūsų farmacijos veiklą reguliuojančios taisyklės sumažina galimybę įsigyti naujų vaistų ir gerokai padidina jų kainas.

Visi norime, kad mūsų vartojami vaistai būtų kruopščiai ištirti ir saugūs bei veiksmingi vartoti. Mes laukiame ypač efektyvių gydymo būdų, padedančių sumažinti skausmą ir kančias. Bandymams reikia daug laiko, todėl nauji vaistai smarkiai vėluoja. Laukdami, kol vaistai bus ištirti, mes kenčiame (arba net mirštame), nes ligos nėra kuo gydyti. O jei nesulaukė tyrimų pabaigos intume juos vartoti, rezultatai galėtų būti baiseni nei pati liga. Kaipgi nuspręsti, kas geriau?

## Rinkos ekosistema: gerbkime savo artimo laisvą valią

Iki 1938 m. amerikiečiai patys arba pasitarę su savo gydytojais ar vaistininkais nusprendavo, kokie vaistai jiems tinkamiausi, įvairios nepriklausomos grupės, ypač AMA ir Vartotojų tyrimo grupė, norėdamos padėti vartotojams bei jų gydytojams, pradėjo vertinti ir po to bandyti farmacinius gaminius. Profesiniuose žurnaluose ir specialiuose profesiniuose spaudiniuose ėmė rodytis gydytojų ir farmacininkų vaistų įvertinimai, supažindinantys žmones su pagamintais naujais vaistais. Retsykiais pasirodydavo straipsnių žurnaluose „Ladies' Home Journal“ ir „Collier's“, perspėjančių skaitytojus apie kai kuriuose vaistuose slypinčius pavojus, rasdavosi ir panašaus pobūdžio knygu. 1904 m. Generalinė moterų klubų federacija išsiuntinėjo tūkstančius laiškų, organizuodavo paskaitas ir parodas ir platindavo informaciją, siekdama supažindinti visuomenę su specifinėmis to meto problemomis. Net tuo metu, kai šiuolaikinė farmacinė pramonė dar gyveno kūdikystės laikus, rinkos ekosistema į viską reaguodavo taip, kad apsaugotų vartotoją. Išklause tų įvairių nepriklausomų nuomonių, amerikiečiai nusprendavo, kaip jiems gydytis, ir gerbė laisvą savo kaimynų valią. Tais laikais pastebėtas vaistų toksiškumas daugiausia reikšdavosi įvairiais šalutiniais poveikiais, kurių pagal tuometinį medicinos mokslo lygį nebuvo galima numatyti. Pavyzdžiui, šiandien žinome, kad kai kurie vaistai visiškai nekenksmingi vartojant juos kartą ar du, bet vartojami dažnai yra gana toksiški. Tačiau ančiaus pradžioje šitoks vaistų poveikis dėl jų ilgesnio vartojimo nebuvo pastebėtas. Ir štai ant daugiau nei 100 žmonių, kurie periodiškai vartojo vietinius antiseptikus, turinčius sidabro druskų, odos atsirado melsvai pilkų apnašų. Talis, kurio yra žiurkių nuodų sudėtyje, buvo sėkmingai vartojamas gydant kerpligę. Tačiau net 32 moterys mirė nuo jo toksiško poveikio, nuolat vartodamos kremą plaukams šalinti, savo sudėtyje turintį talio. Tokie atvejai paskatino periodiškai vartojamus šiuolaikinius vaistus išbandyti su gyvuliais prieš skiriant net vienkartinę dozę žmogui.

Deja, atliekant bandymus su gyvuliais, ne visada pavyksta nustatyti vaistų toksiškumą. Vaistai, neturintys jokio poveikio gyvuliui, žmogui gali sukelti siaubingą šalutinį poveikį. Dinitriferolis, vartotas ketvirtojo dešimtmečio pradžioje kaip dietinės piliulės, 177 moterims sukėlė kataraktą, nors nedarė jokio poveikio gyvuliams. Ketvirtojo dešimtmečio pradžioje vartotas amidopirinas Jungtinėse Valstijose nuvarė į kapus 1600 žmonių, o ispanams, turintiems kitokią genetinę struktūrą, jis nedarė jokio neigiamo poveikio. Dėl genetinio poveikio parafenilendiaminas apakino vieną iš 120 moterų, dažiusių blakstienas „Lash Lure“ tušu.

Šį idiosinkratinį (individualų) poveikį, nepastebimą atliekant bandymus su gyvuliais, sunku numatyti ir šiandien.

Svarbiausias dalykas tas, kad nėra tokių vaistų, kurie būtų visiems vienodai nekenksmingi. Net didysis gyvybės gelbėtojas penicilinas numarino ne vieną jam alergišką žmogų. Taigi reikia gerai pamatuoti riziką, susijusią su nenuspėjamu pašaliniu poveikiu, ir įsitikinti, ar verta rizikuoti dėl naudos, kurios tikimės iš vienu ar kitu medikamentu. Iki PVKV pradėtos licencijų įstatymų agresijos žmonės taip ir elgėsi ir netrukde to daryti kitiems. Žmonės gerbė savo artimo laisvą valią. Vieni buvo linke

rizikuoti daugiau, kiti mažiau, kai kuriems apskritai nepatiko vartoti vaistų. Kiekvienas atsakė už save ir gerbė kitų sprendimus.

Dauguma gamintojų suprato, kad kliento numarėjimas nepadeda klestėti verslui, ir prieš parduodami atlikdavo bandymus, padedančius nustatyti, ar vaistai nekenksmingi. Atsargūs vaistų gamintojai įtikinėdavo žmones ir didino pelną, sakykim, taip reklamuodami savo prekes: „Mes ligi šiol negavome nė vieno pranešimo apie staigią mirtį žmonių, vartojančių mūsų antitoksina“, arba teigdavo, kad jų gaminius išbandė ir aprobavo kelios nevietinės laboratorijos. Lojalumas firmos vardui buvo atlygis tam vaistų gamintojui, kuris visada duodavo klientui, ką pažadėjęs. Gamintojai plovė tai, ką pasėjo. Abejotinos vertės produkcijos gamintojai paprasčiausiai turėdavo per mažai klientų, kad išlaikytų savąjį verslą.

Tačiau kai kurie gamintojai nebūdavo tokie atsargūs. Pats tragiškiausias tokio neatsargumo pavyzdys — sulfanilamido eliksyras. Jo sudėtyje buvo nekenksmingas vaistas, ištirpintas kenksmingame tirpale, ir prieš pradėdant jį pardavinėti 1937 m. nebuvo atlikti jokie laboratoriniai tyrimai. Rezultatas — 107 žmonių mirtys. AMA nebuvo šio eliksyro patvirtinusi; rinkos ekosistema apgynė tuos, kurie atsargiai laukė jo laboratorinio tyrimo, tuo pat metu gerbdami valią tų, kurie manė, kad rizika, vartojant nepriklausomų ekspertų vertintą produktą, jų reikalas.

Šis incidentas parodė amerikiečiams, kaip svarbu kritiškai įvertinti farmacijos gaminį. Jeigu rinkos ekosistemoje nebūtų atsiradusi agresija, AMA ir kiti nepriklausomi vertintojai po sulfanilamido eliksyro tragedijos būtų skyrę daugiau dėmesio vaistų įvertinimui. Imant iš gamintojų mokesčių už produkcijos tyrimus, būtų atsiradusi galimybė sukurti fondus tai sistemai išlaikyti. Atsargūs vartotojai rinkdavosi tik aprobuotus gaminius.

Iš gamintojų, melagingai išreklamavusių savo gaminius, reikėjo pareikalauti kompensacijų jų aukoms ar šeimoms, kaip aprašyta 13 skyriuje (*Antroji galvosūkių pusė*). Kompensacija ne tik padėtų atlyginti padarytą žalą, ji sustabdytų tolesnę agresiją. Net mirties atveju piniginis atlygis aukos šeimai yra geriau negu nieko. Jie nusprendė pažaboti agresorius, patys jais tapdami. Šitaip jie sukūrė gydymą, baisesnį už pačią ligą...

### **Agresija suardo rinkos ekosistemą**

1938 m. buvo išleistas įstatymas, pagal kurį kiekvienas gamintojas, prieš pradėdamas savo vaistų pardavimą, turėjo gauti PVKV palaiminimą (t. y. licenciją). PVKV visų pirma galėjo remtis tuo vaistų įvertinimu, kurį gaudavo po pačių gamintojų atliekamų tyrimų vaistų kenksmingumui nustatyti. Jei žmonės norėdavo pirkti vaistus anksčiau, nei PVKV nusprendavo, ar vaistai tinkami vartoti, valstybės įstatymų priežiūros atstovai uždrausdavo gamintojui — jei reikdavo, ir prievarta — tuos vaistus pardavinėti. PVKV reikalaujant vis daugiau ir daugiau tyrimų, daug smulkių liaudies medicinos priemonių gamintojų uždarė savo įmones, — žmonės prarado vaistų įvairovę, atsirado palankesnė dirva didžiosioms firmoms. Kaip visuomenė, mes jau nebegerbiame mūsų artimo laisvos valios; mes griebiamės prievartos ir verčiame kitus „jū labai“ elgtis taip, kaip norime. Augant atliekamų bandymų skaičiui, reikėjo ir

daugiau laiko jiems atlikti. Kaip ir visais su licencijomis susijusių apribojimų atvejais, sumažėjo naujų gydymo būdų pasiūla.

### Apsaugos iliuzija: talidomidas

*...bausmės už neveiksmingų vaistų pardavinėjimą iki 1962 m., kurias nustatė rinka, nepaliko daug erdvės reguliavimo įstaigų pataisoms.*

— Samas Peltzmanas,  
FARMACINIŲ  
NAUJOVIŲ  
REGULIAVIMAS.

*...nepaisant griežtesnių apribojimų ir reikalavimų pateikti smulkiausias detales, JAV medikamentų aprobavimo sistema nepasirodė esanti tiek efektyvi, kad uždraustų pardavinėti vaistus, kurių gamyba saugumo sumetimais yra nutraukta.*

— Olavas Bakke'as ir kiti,  
Gydymo priemonių plėtros centras,  
Ročesterio universitetas, Niujorkas

Paprastai nauji vaistai pasirodydavo JAV vaistinių lentynose praėjus ne vieneriems metams po to, kai juos pradėdavo pardavinėti užsienio šalyse, neturinčiose tokių drakoniškų licencijų įstatymų. Kartais šitoks atsilikimas apsaugodavo nuo medikamentų, turinčių šalutinių poveikių, kurių sunku numatyti atlikus bandymus su gyvuliais. Pavyzdžiui, talidomidas jau keletą metų buvo pardavinėjamas Europoje kaip raminantis vaistas, o jo gamintojai stengėsi gauti leidimą šį vaistą pardavinėti Jungtinėse Valstijose. Septintojo dešimtmečio pradžioje nebuvo skiriama daug dėmesio tam, kad dar negimęs kūdikis jau gali būti jautrus vaistams, kurie yra visiškai nekenksmingi motinai, taigi gydytojai pradėjo skirti talidomidą nėščioms moterims, nors nebuvo atlikti bandymai su jauniklių laukiančiais gyvuliais.

Talidomidas sustabdo dar negimusią žmonių, beždžionių ir vienos rūšies triušių vaisiaus normalų rankų ir kojų vystymąsi. Jei būtų buvę atlikti bandymai su įprastais bandomaisiais gyvuliais (žiurkėmis ir šunimis), talidomidas tikriausiai būtų pasirodęs besąs saugus. Deja, žmogaus vaisiui jis nėra nekenksmingas. Apie 12 000 vaikų Europoje gimė su galūnių defektais. Amerikoje nukentėjo nedaug kūdikių, nes šalyje tebuvo išplatinta tik keletas tyrimų pavyzdžių. PVKV atstovas, delsęs sankcionuoti šių vaistų vartojimą JAV, gavo specialų prezidento apdovanojimą. Šitai mes išmokėme PVKV garantuoti mūsų saugumą, vartojant prievartą — mūsų gyvybės kaina. Kitos šalys, atsakydamos į talidomido sukeltą tragediją, vis dėlto ženkliai nepakeitė savo licencijų įstatymų, o JAV Kongresas davė PVKV mandatą dar nuožmesnei agresijai. Gamintojams teko atlikti įvairiapusių bandymus su žmonėmis, įrodančius, kad jų vaistai yra efektyvūs.

Suprantama, gamintojai ir anksčiau darydavo bandymus, bet ne tokius sudėtingus, kokių dabar reikalavo PVKV. Reikėjo atlikti ilgesnius ir visapusiškesnius tyrimus. Bandymai, atlikti užsienyje, tik retais atvejais patenkindavo PVKV, ir gamintojams tekdavo iš naujo atlikti tyrimus, jau atliktus svetur. Tuo pat metu gamintojams buvo uždrausta — jei reikėdavo, ir prievarta — tuos vaistus pardavinėti.

Ar šie papildomi tyrimai apgynė mus nuo neefektyvių vaistų? Žinoma, ne! Atlikti tyrimai rodo, kad nereikalingos vartotojų išlaidos perkant neefektyvius vaistus menkai tepasikeitė po to, kai 1962 m. buvo išleistas įstatymas atlikti papildomus vaistų tyrimus. Matyt, paprastai patys pacientai ir gydytojai gali pasakyti, ar vaistai duoda



norimą efektą, ir nutraukti jų vartojimą, jei šie neveiksmingi. Kompanijos, norinčios gauti pelną, greitai supranta turį įtikti savo klientams.

Ar 1962 m. nuostatai išgelbėjo mus nuo šalutinio vaistų poveikio? Turbūt ne: ką tik aprobuotų vaistų išėmimo iš apyvartos procentas Jungtinėse Valstijose buvo toks pat kaip ir Didžiojoje Britanijoje, kuri po talidomido skandalo smarkiai nepakeitė savo licencijų išdavimo tvarkos.

*Kongresas retai — jei iš viso kada nors tai darė — nagrinėdavo bylas, susijusias su tuo, kad PVKV neaprobuodavo naujų medikamentų; bet jis išklaušė šimtus bylų, kuriose dažnai nepagrįstai buvo teigiama, kad PVKV padarė klaidų aprobuodama naujus vaistus... Naujo svarbaus vaisto nepatvirtinimas gali būti taip pat pražūtingas žmonių sveikatai kaip ir blogų vaistų aprobavimas.*

— Alexanderis Schmidtas, buvęs PVKV atstovas

*...kaip teigia George'as Hitchingas, 1988 m. medicinos Nobelio premijos laureatas bendraautoris, dėl PVKV kaltės penkerius metus pavėlavęs antibakterinio vaisto septrą aprobavimas 80 000 amerikiečių kainavo gyvybę.*

— Samas Kazmanas, Konkurencijos studijų institutas

### Mokame savo gyvybę

Britai ir toliau buvo laimingi gaudami naujų vaistų savo ligoms gydyti, o Amerikoje tegalėjai gauti pusę iš jų ir tik po daugelio metų laukimo. Vienas iš tokių naujų vaistų, kurių neturėjo amerikiečiai, buvo propranololis, pirmasis betablokeris, plačiai vartojamas ir hipertonijai gydyti.

Vaistai pasirodė JAV praėjus tik trejiems metams po to, kai jie atsirado JK; kasmet apie 10 000 amerikiečių mirdavo, nes įstatymai draudė gydytojams gydyti savo pacientus propranololiu. Netgi 1968 metais, kai propranololis pasirodė Jungtinėse Valstijose, jį leido vartoti tik išimtiniais atvejais. Iki 1973 ir atitinkamai iki 1976 m. buvo draudžiama reklamuoti propranololį kaip vaistą išeminei ligai ir hipertonijai gydyti, taigi mirė dar daugiau amerikiečių, nes gydytojai nesiryžo skirti vaistų, kurių vis dar nebuvo aprobavusi PVKV.

Kai PVKV pagaliau šį vaistą aprobavo, Kongreso komitetas ją kritikavo už tai, jog visuomenei siūlomas vaistas, galintis turėti šalutinį poveikį! Prisimenant, kad kiekvieni vaistai skirtingiems žmonėms turi kažkokį šalutinį poveikį, reikalavimas, kad PVKV teišduotų licencijas tiems vaistams, kurie visiškai nekenksmingi, yra reikalavimas, kad ji neaprobuotų išvis jokių vaistų!

Agresija, nukreipta į šį vienintelį vaistą, kainavo ne mažiau kaip 30 000 amerikiečių gyvybių. Britanijoje taip pat esama licencijų įstatymų agresijos, bet ne tokio masto, kaip Jungtinėse Valstijose. Jei jos išvis nebūtų, gal būtų pavykę

išgelbėti tūkstančius gyvybių.

## Mirtys, apie kurias galime tik spėlioti

Kuo daugiau bandymų turi atlikti farmacinė firma, tuo daugiau laiko jai reikia. Papildomi bandymų metai reiškia, kad vaistų negalima pardavinėti tol, kol beveik baigiasi jų patente nustatytas laikas. Todėl kompanijos sutelkia dėmesį į vaistus, kuriuos galima vartoti be apribojimų, ir atlieka mažai mokslinių tyrimų, skirtų rečiau pasitaikančių ligų gydymui. Nepatentuoti gydymo būdai

*...vietinių, valstybinių ir federalinių tarnybų kišimasis į mokslą iš normalios kontrolės peraugo į kažką tokio, ką beveik būtų galima pavadinti chaotišku smaugimu.*

— Donaldas Kenedy, buvęs PVKV atstovas

*Jei bent vieni nauji vaistai, turintys penicilino ar digitalio savybių, buvo nepagrįstai uždrausti ir nukišti į kompanijų sandėlių lentynas dėl ypatingai griežtų įstatymų reikalavimų, žmonėms buvo padaryta daugiau žalos negu visas toksiškumas, pastebėtas per visą šiuolaikinių vaistų gamybos istoriją.*

— Williamas Wardellas, Ročesterio universiteto Niujorke profesorius

*...ekonomistai gana vieningai nutarė, kad PVKV vykdomas reguliavimas nėra „saugus ir efektyvus“, nes jos nustatyti medikamentų aprobavimo kriterijai neišlaikė egzamino.*

— Dale'as Gieringeris, Wall Street Journal

— gydymas vitaminais ir mineralais — nėra nei tiriami, nei plėtojami, nes gamintojas, negaudamas kokių nors lengvatų, negali susigrąžinti PVKV numatytiems bandymams išleistų pinigų.

Dirbdama mokslo tiriamąjį darbą didelėje farmacinėje firmoje, aš betarpiškai susidūriau su licencijų įstatymais, reglamentuojančiais vaistų pardavimą. Darbas buvo susijęs su natūraliais prostaglandiniais hormonais ar jų sintetiniais pakaitais, galinčiais šiek tiek sustabdyti įvairių toksinių medžiagų žalingą poveikį kepenims.

Kasmet daugiau nei 100 000 žmonių miršta nuo alkoholinės kepenų ligos, kurios vienintelis ir dažniausiai neefektyvus gydymo būdas — lovos režimas ir abstinencija. Aš pasiūliau firmos vadovybei, mano nuomone, puikią idėją: išbandyti, ar, pridėjus prostaglandinų į alkoholinius gėrimus, nesumažėtų tikimybė susirgti alkoholine kepenų liga. Mano darbdavys būtų gavęs pelną ir padėjęs užkirsti kelią ligai ir mirčiai.

Deja, PVKV jokiu būdu nesutiko su mano pasiūlymu, nes bijojo, kad neatrodytų, jog mes skatiname žmones gerti. Buvo kalbama, kad didelė alkoholinių gėrimų įmonė, siekdama to paties tikslo, bandė į alkoholinius gėrimus įdėti vitamino B<sub>1</sub>, bet įstatymų sergėtojai šią žinią sutiko labai nepalankiai. Prostaglandiną būtų galima išleisti piliulėmis, kurias mėgstantis išgerti vartotų kiekvieną dieną, bet tada reikėtų gydytojo recepto, ir žmonės, kurie gėdytusi pasakyti gydytojui vartoja daug alkoholinių gėrimų, verčiau atsisakytų tokio gydymo. Jei visgi būtume nutarę imtis šio reikalo, mums būtų tekę atlikti PVKV reikalavimus atitinkančius tyrimus ir įrodyti, kad galime 95% garantuoti tinkamą vaistų poveikį. Kadangi alkoholinė kepenų liga išsivysto

per daugelį metų ir ją išgydyti reikia taip pat daug laiko, mums būtų tekę daugybę metų tirti šimtus žmonių. Tai būtų buvę ne tik brangu, mat tikri girtuokliai ne visada reguliariai vartoja jiems paskirtus vaistus. Norėdami būti tikri, kad turėsime pakankamai žmonių, iš tikrųjų vartojančių prostaglandiną, būtume turėję dar labiau

padidinti tiriamųjų skaičių. Be to, mes nežinojome, kaip galėtume tiksliai nustatyti gydymo rezultatus. Tegalėjome laukti, kol žmonės numirs, nes nebuvo kitokių vaistų, galinčių sumažinti alkoholio poveikį kepenims. Mes galėjome metų metus rinkti duomenis ir galiausiai išsiaiškinti, kad to kiekio pacientų, kurių turėjome, pakanka įrodyti mūsų hipotezei tik 80% tikslumu, o tai neatitinka PVKV reikalavimų. O tuo metu būtų besibaigias patento galiojimo laikas. Neturėdami juridškai saugančio patento, mes negalėtume atgauti visų šiam tyrimui išleistų pinigų. Gamintojai mums taip pat tinkamai nesumokėtų, nes jiems patiems rūpėtų atgauti bandymams išleistas pasakiškas pinigų sumas. Visiems palanki situacija liko nepanaudota dėl licencijų įstatymų agresijos, nes mes negalėjome legaliai pardavinėti prostaglandino kaip vaisto, kuris išties galėtų pagelbėti. Mano darbdavys prarado tik pajamų šaltinį; bet žmonės, sergantys alkoholine kepenų liga, ir toliau, ko gero, beprasmiškai tebemiršta.

Deja, tai ne vienintelis atvejis. Aspirinas suluošina beveik visų gyvulių rūšių negimusius jauniklius, išskyrus žmogaus vaisių, ir šiandien jo tikrai nebūtų galima pardavinėti, jei jam tektų pereiti visus PVKV aprobavimo labirintus kaip naujam vaistui! Penicilinas, digitalis ir fluroksenas galėjo susilaukti panašaus likimo, ir už tai būtume sumokėję tūkstančiais gyvybių. Apskritai dėl licencijų įstatymų agresijos praradome gerokai daugiau žmonių, nei jų buvo išgelbėta.

### **Situacija, kurioje pralaimi visi**

Licencijų įstatymai nebuvo priimti tam, kad kažkam būtų blogai. Mes tik norėjome apsiginti nuo tų savanaudžių kitų, kurie galėjo mums parduoti ne gydančius, o žudančius medikamentus. Kas gi atsitiko?

Priemonė, kurią pasirinkome gynybai, — tai agresyvūs licencijų įstatymai, nuskurdinę sveikatos apsaugą. Kaip licencijų išdavimas gydytojams sumažino praktikuojančių gydytojų skaičių ir kartu pablogino medicinos paslaugų kokybę, taip ir vaistų licencijavimas sumažina galimybę jų įsigyti ir padidina medikamentų, galinčių išgelbėti gyvybę, kainas.

Jei dvejus metus pavėluojame aprobuoti vėžį gydančius vaistus, kurie galėtų sumažinti mirtingumą bent 10%, — to vėlavimo kaina yra apie 60 000 amerikiečių gyvybių, ir tai gerokai daugiau, nei šį šimtmetį nuo vaistų toksiškumo mirusiųjų skaičius. Galybė mirčių dėl vieno vienintelio vaisto — propranololio vėlavimo — tai tragiškas ir labai realus agresijos rezultatų pavyzdys. Iki licencijų įstatymų priėmimo akivaizdžiausias vaistų gamintojų aplaidumo pavyzdys — beprasmės 107 žmonių mirtys nuo sulfanilamido eliksyro. Pats geriausias vartotojo angelas sargas — rinkos ekosistema, kurioje nėra agresijos.

Licencijų išdavimas gydytojams sukūrė kartelį, kuris išstumia visus naujovių siekiančius žmones ir didina mokesčius už paslaugas, o didelės farmacinės firmos gauna didesnę pelną mažųjų sąskaita. Vis didėjančios dėl agresyvių įstatymų gamybos išlaidos sukuria mažosioms firmoms labai nepalankią terpę. Didėjant reikalavimams, firmos priverstos jungtis, ir todėl sumažėja jų skaičius. Kai nauji verslininkai išstumiami dėl didelių išlaidų, atsirandančių stengiantis patenkinti PVKV reikalavimus,

ima dominuoti, keletas stambių firmų. Šios didžiulės išlaidos atsispindi visų parduodamų vaistų kainose.

Tačiau didžiųjų farmacinių firmų privilegijos yra tik iliuzija. Jos moka didesnius mokesčius įstatymų priežiūros atstovų, nekuriančių jokių gėrybių, algoms išmokėti. Kai pablogėja tautos sveikatingumas, sutrikdomas ir gėrybių kūrimas. Netgi tada, kai didieji gamintojai gauna didesnę Turtinio Pyrago gabalą, jo absoliutusias dydis yra mažesnis nei tas, kurį jie galėtų gauti, jei nebūtų agresijos. Niekas nelaimi.

Tragedija paliečia kiekvieną — ir farmacinio kartelio žmones, ir pačią PVKV. Pačią didžiausią kainą už savo agresiją mokame tada, kai mylimi žmonės miršta nuo „nepagydomų“ ligų.

## **Puiki išėitis**

Jei licencijų įstatymai pridaro daugiau blogo nei gero, kaipgi pasiekti, kad vaistai būtų nekenksmingi ir veiksmingi?

Sustabdžius licencijų įstatymų agresiją, ligoniai ir jų gydytojai galėtų pirkti visus, jų manymu, galinčius pagelbėti vaistus, nekreipdami dėmesio į tai, ar šie pakankamai išbandyti. Negalėdami patys tinkamai įvertinti vaistų, jie galėtų pasikliauti profesionalų ar vartotojų grupių nuomone apie jiems rūpimus vaistus. Ligoniai ir gydytojai galėtų pasikliauti vienu iš šių „autoritetų“, bet niekas neverstų būtinai laikytis jų nuomonės.

Tokios konsultacinės grupės buvo Amerikoje iki pasirodant licencijų įstatymams. Amerikos medikų asociacijos Aprobacijos ženkle programa ir vartotojų tyrimo grupės bandydavo medikamentus ir kosmetikos priemones savo laboratorijose, o ne tik įvertindavo, kaip dabar tai daro PVKV, gamintojų bandymus. AMA nebuvo aprobavusi sulfanilamido eliksyro<sup>18</sup>, ligoniai ir jų gydytojai, laukę sertifikato prieš pirkdami naujus vaistus, buvo apsaugoti nuo mirtį nešančio poveikio. Rinkos ekosistema gynė juos be jokios agresijos ir netrukdydama įsigyti vaistų, reikalingų gyvybei išgelbėti, jei šie juos pasirinko iki AMA aprobavimo.

Šiandienines medikamentų bandymo ir įvertinimo grupes galėtų finansuoti suinteresuoti žmonės. Anksčiau tai darydavo moterų klubai. Tos grupės galėtų dirbti savo nariams naudingą darbą, kurį anksčiau dirbo AMA ir Vartotojų tyrimo grupė, jos galėtų imti iš gamintojų mokesčių už vaistų įvertinimą arba už nedidelį mokesčių teikti informaciją žmonėms. Būsimas pelnas paskatintų daugiau grupių įsitraukti į šią veiklą. Turėtume nešališkų įvertinimų, o ne vien PVKV atliekamą gamintojų duomenų patikrinimą.

Šiuolaikinio nešališko vaistų įvertinimo pavyzdys yra žurnalas „Medicininio pobūdžio laišakai apie vaistus ir gydymo būdus“, kurio pelnas gaunamas tik iš prenumeratorių — gydytojų, medicinos studentų, farmacinių ir farmacinių kompanijų. Atsisakydami licencijų įstatymų agresijos (t. y. atsisakydami įvairių įstatų), galėtume turėti daug daugiau įvairesnių nekenksmingų ir veiksmingų vaistų, nei turime šiandien.

Tačiau įstatų nebuvimo privalumus gali sumenkinti sukčiavimo agresija. Vaistus gaminančios kompanijos, mėginančios apgauti vartotojus melagingais

tvirtinimais — esą jos turinčios vaistų sertifikatus ar aprobavimo ženklus, suardo natūralią rinkos ekosistemos pusiausvyrą. 13 skyriuje (*Antroji galvosūkių pusė*) sužinosime, kaip antrasis neagresyvumo principas — atlyginimas už padarytą žalą — gražina pusiausvyrą ir užkerta kelią būsimai agresijai. Tačiau prieš pradėdant detalią šios sąvokos analizę, reikia išsamiau patyrinėti problemas, kurioms atsirasti padeda mūsų agresija.

*Visą dr. Mary J. Ruwart knygos GYDYKIME SERGANTI PASAULI tekstą anglų k. galima rasti tinklapyje <http://www.ruwart.com/Healing/>*

Jeigu jūs ar jūsų šeimos narys sirgtų pavojų gyvybei keliančia liga, ar jūs norėtumėte turėti laisvę išbandyti eksperimentinį vaistą?

O kas būtų, jeigu jūs ar jums brangus žmogus sirgtų sunkia, bet gyvybei pavojaus nekeliančia liga?

Esant dabartiniam FDA vaistų aprobavimo procesui, jūs neturite laisvės pasirinkti neapčiuotų vaistų. Dar daugiau, spartėjant medicininių inovacijų tempui, naujaisi perspektyvūs vaistai, kurie vėžlio greičiu keliauja per FDA klinikinių bandymų stadijas, FDA aprobuotus vaistus pavers atgyvenusiais preparatais.

Pasak Barto Maddeno, FDA „reforma“ - tai ne sprendimas. Šioje trumpoje studijoje jis siūlo Dviejų kelių sistemą, kurioje pacientai ir jų gydytojai turėtų laisvę pasirinkti FDA aprobuotus vaistus arba eksperimentinius vaistus pasinaudodami Vaistų rizikos-naudos vertinimo duomenų baze (TED) informuotiems sprendimams priimti.

*„Bart Madden kelia sau uždavinį nuodugniai išnagrinėti visus klausimus, į kuriuos privalu atsižvelgti, bei išreiškia gilų susirūpinimą dėl būtinybės tobulinti FDA procesus reglamentuojančias taisykles. Tai yra studija, kurią gali produktyviai nagrinėti visi suinteresuotieji. Ji yra iš pagrindų nešališka ir būtent šitaip turi būti skaitoma.“*

Vernon L. Smith  
2002 m. Nobelio ekonomikos mokslų premijos laureatas  
Ekonomikos mokslų institutas  
Chapman universitetas