Dvacet pět let inovací ve farmacii: Jak se změnil vývoj léčiv a co nás čeká dál

28.3.2025 - | Asociace inovativního farmaceutického průmyslu

Čtvrtstoletí je ve farmacii nesmírně dlouhá doba. To, co kdysi působilo jako revoluční objev, se dnes stává běžnou součástí léčby. Vývoj nových léčiv se výrazně posunul, a to nejen ve smyslu technologických inovací, ale i v přístupu ke zdravotní péči. Spolupráce mezi farmaceutickým průmyslem, odborníky a dalšími zdravotnickými partnery přinesla zásadní pokrok v diagnostice, personalizované medicíně a cílené léčbě. Díky tomu dnes dokážeme efektivněji zvládat nemoci, které dříve znamenaly výrazné zkrácení života nebo zhoršení jeho kvality.

Od univerzálních léků k personalizované medicíně

Jedním z nejvýznamnějších trendů posledních dekád je přechod od léčby podle univerzálních doporučených postupů pro určitou diagnózu k personalizované medicíně. To znamená, že se zohledňují konkrétní okolnosti u jednotlivých pacientů, například genetické a enviromentální faktory, věk, sociální, rodinné a pracovní prostředí, nebo dokonce i způsob života. V onkologii se uplatňuje i molekulární charakteristika nádorových buněk. To umožňuje přesnější a účinnější léčbu s nižším rizikem nežádoucích účinků. Obrovský posun nastal zejména v oblasti imunoterapie a biologické léčby, jež zásadně mění prognózu pacientů.

Onkologie jako tahoun inovačních aktivit

Onkologická léčba patří mezi nejdynamičtější oblasti farmaceutického výzkumu. Více než polovina klinických studií se dnes zaměřuje právě na léčbu nádorových onemocnění. Kromě biologické léčby a imunoterapie nabývají na významu i nové typy radiofarmaceutik, která díky metodám používaným v nukleární medicíně přinášejí přesnější diagnostiku a terapeutický zásah přímo v nádorové buňce. V posledních letech došlo k zásadním změnám v léčbě naprosté většiny onkologických onemocnění.

Genová terapie a léčba vzácných onemocnění

Genové terapie představují další milník ve vývoji léčiv. V posledních letech zásadně změnily prognózu pacientů s některými geneticky podmíněnými poruchami včetně vzácných onemocnění. Právě v oblasti vzácných onemocnění dobře zafungovala evropská legislativa. Nařízení o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění (OMP) přijaté v roce 2000 vytvořilo podmínky pro vývoj léčby, která by jinak neměla šanci vzniknout. Mezi lety 2007 a 2020 bylo v EU schváleno přes 160 léčiv na tato onemocnění, což představuje 88% nárůst oproti předchozím obdobím. Přesto však 95 % pacientů na svou léčbu stále čeká. Je proto zásadní pokračovat v podpoře výzkumu a zajistit, aby se nové terapie k pacientům dostávaly co nejrychleji.

Neurodegenerativní onemocnění a kardiometabolická léčba

V posledních 25 letech zaznamenala léčba roztroušené sklerózy neuvěřitelný pokrok – z neléčitelné choroby vedoucí během několika let k trvalé dysabilitě se stala nemoc, s níž pacienti žijí desítky let s dobrou kvalitou života, většina z nich pracuje, žijí uspokojivým rodinným i společenským životem. V následujících letech očekáváme významné pokroky také v léčbě neurodegenerativních onemocnění, jako jsou Parkinsonova a Alzheimerova choroba. Nové terapie cílí na zpomalení progrese těchto nemocí a zlepšení kvality života pacientů. Podobně i léčba kardiovaskulárních a metabolických

onemocnění prošla významnou změnou – některé léky původně vyvinuté pro jiné indikace se ukázaly jako velmi účinné i v dalších oblastech, například při léčbě srdečního selhání nebo obezity.

Pandemie katalyzátorem inovací

Pandemie covidu-19 urychlila vývoj vakcín a antivirotik. Technologie mRNA vakcín pomohla nejen zvládnout pandemii, ale také otevřela dveře k novým možnostem vakcinace proti pneumokokovým infekcím, chřipce nebo HIV. Výzkum nyní směřuje i k novým aplikačním formám vakcín, například perorálním variantám.

Spolupráce mezi lékaři a průmyslem je cestou vpřed

Za posledních 25 let se posunulo i vnímání spolupráce mezi farmaceutickým průmyslem a lékaři například v oblasti klinického výzkumu. V současnosti probíhá v České republice více než 480 klinických studií, nejčastěji v oblasti onkologie, imunologie, infekčních onemocnění, nemocí srdce nebo dýchacích cest. Vývoje nových léčiv se v posledních letech účastnilo přes 2 300 výzkumných týmů, což představuje 23% nárůst oproti roku 2021. Velmi si této spolupráce vážíme.

Nejde však jen o klinická hodnocení. Neméně důležité je i sdílení znalostí na světových kongresech a propojení se špičkovými vědeckými poznatky. V tomto směru je spolupráce mezi odbornou veřejností a farmaceutickým sektorem klíčová.

Budoucnost: Jak zajistit dostupnost inovací?

Navzdory pokroku zůstává otázkou, jak zajistit co nejrychlejší dostupnost nových léčiv pro pacienty. Data z celoevropské studie *EFPIA W.A.I.T. Indicator* ukazují, že i když se v Evropě k pacientům postupně dostávají nová léčiva, jejich reálná dostupnost se v jednotlivých zemích výrazně liší. Česká republika patří mezi státy s velmi přísnými indikačními omezeními, což zpomaluje zavádění nových terapií do praxe. V poslední době dochází k pozitivním změnám – v roce 2024 byla praktickým lékařům umožněna preskripce zhruba tisíce léčivých přípravků, jež mohli dříve předepisovat pouze specialisté, což vnímám jako krok správným směrem.

Dalším klíčovým faktorem je prevence. Česká republika stále zaostává v prevenci onemocnění, která lze ovlivnit včasným záchytem a léčbou. Investice do screeningu, zvyšování zdravotní gramotnosti a osvěty jsou stejně důležité jako vývoj nových léčiv. V této oblasti narážíme na legislativní bariéry zejména v oblasti zastaralé regulace reklamy na léčivé přípravky. Ta výrazně ztěžuje přístup pacientů a nelékařských pracovníků ve zdravotnictví k informacím o aktuálních terapeutických možnostech. Oceňujeme proto, že se ministerstvo zdravotnictví v této oblasti snaží o posun vpřed a zamýšlí oblast více otevřít. Aktuální ministerský návrh novely zákona bohužel považuje prakticky veškeré informace o lécích za reklamu, což přístup k informacím ještě více zpřísňuje.

Potřebujeme jasnou vizi

Farmaceutický výzkum se za posledních 25 let posunul mílovými kroky. Podle aktuálních dat Evropské lékové agentury bylo za jediný rok doporučeno ke schválení více než 100 nových léčiv a preventivních přípravků. Mezi nimi jsou terapie, které přinášejí naději pacientům s různými typy nádorových onemocnění, hemofilií nebo plicní arteriální hypertenzí a dalšími nemocemi.

Vývoj nových léčiv sám o sobě nestačí – zásadní je jejich efektivní začlenění do systému a zajištění dostupnosti pro pacienty. V posledních letech došlo k prvním krokům ke zlepšení, například rozšíření některých terapií do regionálních center. Tyto změny ale neznamenají zvýšení celkových výdajů na léky, které se dlouhodobě drží na stabilní úrovni. Náklady na léky hrazené z veřejného zdravotního

pojištění tvoří 17 až 18 % celkových zdravotnických výdajů a patří mezi nejefektivněji regulované oblasti zdravotnictví.

Pokud chceme udržet a zlepšovat kvalitu zdravotní péče, je nutné zaměřit se na systémové změny, které umožní udržitelný rozvoj celého zdravotnictví. Jsem přesvědčen, že je dobře, že v jednotlivých terapeutických oblastech vznikají strategické plány. Aby se však skutečně propsaly do praxe a přinesly dlouhodobý efekt, je potřeba ucelená vize zdravotnictví. Plány jsou důležité, ale klíčová je otázka – jaký je konečný cíl? Odpověď na ni bude určující pro budoucnost celého sektoru.

https://aifp.cz/cs/dvacet-pet-let-inovaci-ve-farmacii-jak-se-zmenil-v