

# A ritka betegségek kezelésére szolgáló terápiák elérhetőségének hazai és európai kihívásai

Doktori tézisek

**Dr. Szegedi Márta**

Semmelweis Egyetem  
Elméleti Orvostudományok Doktori Iskola



Témavezető: Dr. Molnár Mária Judit, DSc., egyetemi tanár

Hivatalos bírálók: Dr. Lám Judit Ph.D., egyetemi docens  
Dr. Zrubka Zsombor Ph.D., egyetemi adjunktus

Komplex vizsga szakmai bizottság:

Elnök: Dr. Kovalszky Ilona, DSc, egyetemi tanár

Tagok: Dr. Papp Csaba, Ph.D., egyetemi docens

Dr. Rencz Fanni, Ph.D., egyetemi docens

Budapest  
2019

## 1. Bevezetés

A ritka betegségek (RB) és kezelésükre szolgáló, nagy költségvonzatú árva gyógyszerek a fejlett országok, így Magyarország egészségügyi ellátó rendszerének egyik kiemelt problémaköre. Az orvostudomány eddigi ismeretei alapján mintegy 8000 RB ismert. Bár egyes kórképek extrém alacsony prevalencia ill. incidencia értékekkel jellemezhetőek; valamennyi – eddigiekben ismert – RB összesen a populáció 6-8%-át is érintheti: becslések szerint világszerte több mint 300 millió; az Európai Unióban 27-36 millió, Magyarországon összesen közel 600 ezer ember is szenvedhet RB-ben.

A ritka kórképek 95%-a esetében jelenleg nincs elfogadott, törzskönyvezett gyógyszeres terápia. Több, mint 80%-a mögött ritka genetikai etiológia áll; 60-70%-a esetén neurológiai érintettséggel kell számolni.

A rendkívül kis betegszám, a kemény végpontú klinikai vizsgálatok és a megfelelő evidenciaszintek hiánya, vagy a sajátságos etikai vonatkozások jelentős limitáló tényezők mind a medicina, mind pedig az egészséggazdaság aspektusából.

A RB-ek kezelésére indikált 'árva gyógyszer' (Ágy) /angolul: orphan drug/ státusz összetett fogalom – tudományos;

forgalomba hozatali engedélyezési; árképzési-, finanszírozási; gyógyszer-hozzáférési aspektuson alapuló entitás. Az Ágy-ek költségvonzata általánosságban nagyságrendekkel meghaladja egyéb betegségek terápiájára szolgáló készítményekét. Költséghatékonyságuk nem értelmezhető hagyományos módon, ami jelentős akadálya a transzparens társadalombiztosítási támogatási rendszerbe való beillesztésnek, a RB-ben szenvedők megfelelő terápiához való hozzáféréseinek. Számos készítmény olyan árral jellemezhető, amely több uniós tagállam számára megkérdőjelezi, illetve átlépi a megfizethetőség határát, így az egészségügyi ellátás finanszírozásának fenntarthatóságát próbára teszi, illetve veszélyezteti annak működőképességét.

Különösképpen e gyógyszerkör esetén kiemelt fontossággal bírnak a valós környezetből származó ún. „real world” adatok, amelyek a klinikai kutatási és vizsgálati körülményektől eltérően a valós intézeti/kórházi/otthoni körülmények között lévő individuális betegekről nyújtanak tényleges információhalmazt.

A kezelőorvos a megfelelő terápiát igyekszik ritka betegek számára biztosítani. Azonban a modern, 21. századi orvoslás terminológiájában a megfelelő terápia meghatározása összetett. Az egyén (azaz a beteg) és annak szűkebb illetve tágabb

szociális terének (vagyis a család és a társadalom) tényezőit is feltételezi. Egy terápia esetében nem „pusztán” az elérhetőségen, a lehetőségen van a hangsúly, hanem a racionalitáson alapuló indikáción is.

## **2. Célkitűzés**

Kutatómunkánk célja az Ágy-ek elérhetőségének, beteghozzáféréseinek és közfinanszírozási terheinek elemzése Magyarországon és az Európai Unió különböző attribútumaival rendelkező tagállamaiban.

### **2.1. Hazai Ágy-ek elérhetősége és közfinanszírozása**

Tanulmányunk egyik pillére az Ágy-ek elérhetőségének, közterheinek elemzése Magyarországon, továbbá a hazai RB-ekben szenvedők gyógyszerhozzáféréseinek analízise az alábbi kérdések mentén:

**2.1.a)** Magyarországon 2012-ben hány darab ÁGy érhető el a RB-ben szenvedők számára társadalombiztosítási támogatás keretében?

**2.1.b)** Milyen hazai közfinanszírozási technikák által érhetőek el a támogatott ÁGy-ek? Az egyes finanszírozási technikák

befolyásolják-e az adott gyógyszer betegek általi elérhetőségét és a „real-world” hatásossági adatok gyűjtését?

**2.1.c)** Mekkora betegszámot illetően, milyen mértékű a közfinanszírozott készítmények költségvonzata?

**2.1.d)** A magyar társadalombiztosítás keretében finanszírozott ÁGy-ek mekkora része neurológiai érintettséggel járó betegség kezelésére indikált? Mekkora betegszámot érintően és milyen mértékű e készítmények költségvonzata?

## **2.2. Az ÁGy-ek elérhetősége és a nemzeti közkiadások az Európai Unióban**

Kutatómunkánk másik pillére továbbá, hogy feltérképezzük 83db, az Európai Gyógyszerügyi Hatóság (EMA) által forgalomba hozatali engedéllyel bíró ÁGy elérhetőségét, közfinanszírozásának módjait és terhét az EU 8 különböző gazdasági helyzetű és népességű tagállamában és hazánkat pozicionáljuk a vizsgált tagállamok rangsorában. A kutatásaink során vizsgált 8 ország a következő volt: Ausztria, Belgium, Bulgária, Csehország, Franciaország, Lengyelország, Magyarország, Szlovénia. Következésképpen az alábbi kérdésekre kerestük a válaszokat:

**2.2.a)** Egyértelmű összefüggést mutat a gyógyszerek számbeli elérhetősége a tagállamok gazdasági státuszával (- a szegényebb közép-kelet-európai országokban kevesebb ÁGy elérhető)?

**2.2.b)** Rendszerszintű automatizmusok vagy rendhagyó módon, egyedi finanszírozási módszerek által, fekvő-, ill. járóbeteg-ellátás keretében jutnak a gyógyszerekhez a különböző tagállamok RB-ben szenvedő páciensei?

**2.2.c)** A költségvetési hatás uniós elemzése során van összefüggés a tagállamok általános gazdasági helyzete és a készítmények közkiadásainak mértéke között?

**2.2.d)** Az Európai Unió ritka betegeinek ÁGy-ekhez történő hozzáférése vonatkozásában mutatkoznak egyenlőtlenségek egyes konkrét orphan készítmények esetében tagállami szinten?

### **3. Módszerek**

Kutatómunkánkhoz szükséges adatgyűjtés céljából 8 európai uniós tagállam akadémiai szektorban kutató, forgalomba hozatali engedélyező/finanszírozó hatósági, ill. egyéb egészségügyi háttérintézményi, valamint egészségügyi kormányzati csúcshintézmény képviselőit kerestük meg „nemzetközi orphan munkacsoportunk” tagjainak

közvetítésével. Qualitatív adatokat 8 tagállam (Ausztria, Belgium, Bulgária, Csehország, Franciaország, Lengyelország, Magyarország, Szlovénia) szolgáltatott. Qualitatív és kvantitatív – egészségügyi összkiadások: egészségügyi és gyógyszerkasszára vonatkozó – adatokat kutatómunkánk zárásáig Franciaország kivételével az előző 7 tagállamtól kaptunk. A demográfiai és gazdasági adatok (populáció mérete, devizaárfolyamok, GDP) az Eurostat weboldaláról származnak. Ausztria esetében demográfiai adatok az Eurostat weboldalán nem voltak elérhetőek, ezért ezen információkat az OECD adatbázisából vettük.

A módszerek a célkitűzések felsorolásának alapján kerülnek kifejtésre.

### **3.1. Az ÁGy-ek elérhetőségének és közfinanszírozásának vizsgálata Magyarországon**

**3.1.a)** 2012-ben európai forgalomba hozatali engedéllyel rendelkező ÁGy-ek Orphanet portálon szereplő listája szerint a magyar egészségbiztosító - az Országos Egészségbiztosítási Pénztár (OEP) - publikus gyógyszertörzséből kiválogattuk a magyar közfinanszírozott ÁGy-eket. Lekértük az OEP adatbázisából a gyógyszertámogatás automatizmusa alapján nem támogatott, de rendhagyó módon – egyedi méltányosság

keretében finanszírozottá válható RB-ek kezelésére indikált termékek listáját és valamennyi készítmény betegszámait és finanszírozási adatait.

**3.1.b)** A gyógyszereket támogatási módjuk és kategóriájuk szerint rendszereztük – melyek elérhetőek közfinanszírozás keretében *rendszeresen* (ártámogatás, ill. intézeti finanszírozás) illetve egyéb *rendhagyó* finanszírozási metódus (egyedi méltányosság) által?

**3.1.c)** Az OEP adatbázisából készítményenként meghatároztuk a betegszámokat és a költségvonzatokat, valamint az egyes támogatás típusokon belül szummáztuk az összesített betegszámokat és a támogatási összköltségeket.

**3.1.d)** Megvizsgáltuk, hogy 2012-ben a hazai Egészségbiztosítási Alapból gyógyszertámogatásra kiáramló összeg hány százalékát tették ki a neurológiai indikációval bíró ÁGy-ek támogatására fordított kiadások.

## **3.2. Az ÁGy-ek elérhetősége és a nemzeti közkiadások az Európai Unióban**

**3.2.a)** Az Orphanet 2015. évi adatbázisában 83db. orphan státusszal rendelkező gyógyszerkészítményt szelektáltunk,



amelyek az EMA gyógyszerészeti adatbázisában forgalomba hozatali engedéllyel validáltak voltak.

**3.2.b)** 8 tagállamban kérelmeztük az előbbieken említett 83 ÁGy-re vonatkozóan az alábbi specifikus információkat:

- Az egyes tagállamokban mely orphanok elérhetőek közfinanszírozás keretében rendszerszerűen (ártámogatás, ill. intézeti finanszírozás) illetve egyéb rendhagyó finanszírozási módszerek (pl.: egyedi méltányosság) által?
- A társadalombiztosítási támogatási módszereket négy kategóriára csoportosítottuk:

(1) ***Rendszerszintű finanszírozás járó-, és fekvőbeteg-ellátás keretében*** (Orvosi vény alapú, közforgalmi gyógyszertárakhoz kötött, klasszikus ártámogatás és egészségügyi ellátó intézeti felhasználás)

(2) ***Rendszerszintű finanszírozás járóbeteg-ellátás keretében*** (Orvosi vény alapú, közforgalmi gyógyszertárakhoz kötött, klasszikus ártámogatás)

(3) ***Rendszerszintű finanszírozás fekvőbeteg-ellátás keretében*** (Egészségügyi ellátó intézményi felhasználás)

(4) ***Rendhagyó finanszírozási módszerek*** - nem a rendszerszintű támogatás automatizmusán alapulnak, hanem individuális betegkérelmeken.

**3.2.c)** A nemzeti adatbázisokból a 2013. és 2014. évekre vonatkozóan orphan készítményenként meghatározásra kerültek a betegszámok és a költségvonzatok, valamint az egyes támogatás típusokon belül szummáztuk az összbetegszámokat és a támogatási összköltségeket. A 2013. és a 2014. évekre vonatkozó tagállami, évenkénti, átlagos összesített közkiadásokat egy főre kalkuláltuk és a *nemzeti GDP, a teljes tagállami gyógyszer-, és egészségügyi kassza* arányaiban számszerűsítettük. A nemzeti devizanemen megadott számértékeket az Eurostat adatbázisából származó, adott évekre vonatkozó átlagos árfolyamokon váltottuk át Euro pénznemre. Az eddigiekben részletezett metódusok alapján kalkulált tagállami értékeket összehasonlítva vontuk le következtetéseinket.

**3.2.d)** A 83 ÁGy közül ún. indikátorokat választottunk ki, amelyeknek a 2013. és 2014. években összesített nemzeti közkiadásainak átlagát vettük 100.000 lakosra vonatkoztatva. Az így kapott tagállami számértékeket összehasonlítottuk. Az indikátorok kiválasztásánál koncepciónk az volt, hogy egy heterogén, reprezentatív csoportot vizsgáljunk olyan attribútumok alapján, mint az indikációs terület diverzifikálása, már létező/nem létező terápiás alternatíva, relatív hatékonyság

(potenciálisan kuratív/nem kuratív terápia), gyakoriság (orphan/ultra-orphan státusz), valamint a költségvonzat. Indikátor hatóanyagok és indikációik: alglükózidáz-alfa – Pompe-kór (II.típusú Glikogén-tárolási betegség), ekulizumab – Paroxysmális nocturnális hemoglobinuria vagy Atípusos hemolitikus uraemiás szindróma, ikatibant – Herediter angioedema, idurszulfáz – II.típusú Mukopolyszacharidózis, nelarabin - T-sejtes akut lymphoblastos leukaemia és T-sejtes lymphoblastos lymphoma, rufinamid – Lennox–Gastaut szindróma, romiplosztim – Idiopátiás thrombocytopeniás purpura, szapropterin – Phenylketonuria, sildenafil – Pulmonális artériás hipertónia, trabektedin – szarkómák és ovariális neoplasmák.

#### **4. Eredmények**

Az eredmények a célkitűzések felsorolásának alapján kerülnek kifejtésre.

##### **4.1. Az ÁGy-ek elérhetősége és közkiadásai hazánkban**

**4.1.a)** 2012-ben Magyarországon **36 RB kezelésére indikált gyógyszer** volt elérhető társadalombiztosítás keretében - 33 készítmény rendelkezett árva minősítéssel.

#### 4.1.b)

**I. Ártámogatás alapon támogatott ÁGy-ek: járóbeteg-ellátás keretében, orvosi vény alapon, közforgalmú gyógyszertárakhoz kötötten:**

- *Kizárólag ártámogatás („klasszikus” gyógyszertámogatás) kategóriáiban: EÜ100% támogatási kategóriában 5 készítmény, EÜ90% támogatási kategóriában 1 készítmény*

- *A készítmények legnagyobb része, 19 termék ártámogatás alapú egyedi méltányossági támogatás (méltányossági gyógyszertámogatás) keretében részesülhetett támogatásban, amely finanszírozási mód nem a társadalombiztosítási támogatási rendszer automatizmusa, hanem egy rendhagyó lehetőség a támogatásra.*

- **8 készítmény** „klasszikus” gyógyszertámogatás és méltányossági gyógyszertámogatás keretében is támogatott volt indikációtól függően.

**II. Speciális beszerzésű ÁGy-ek: fekvőbeteg-ellátás keretében, intézményi (kórházi) felhasználáshoz kötötten, tételes elszámolás alapján: 3 készítmény**

#### 4.1.c)

**I. Ártámogatás alapon támogatott ÁGy-ek: járóbeteg-ellátás keretében, orvosi vény alapon, közforgalmú gyógyszerárakhoz kötötten:** 2012-ben az OEP 14 db készítményre, **2337 beteg** részére **11,8 milliárd forint** ártámogatási összeget folyósított. *Méltányossági gyógyszerátamogatás* keretében 27 db gyógyszerre, **293 beteg** számára, **4,1 milliárd forint** összegű támogatást engedélyezett.

**II. Speciális beszerzésű ÁGy-ek: fekvőbeteg-ellátás keretében, intézményi (kórházi) felhasználáshoz kötötten, tételes elszámolás alapján: 29 beteg** részére, **387 millió forint** értékben finanszírozott az Egészségbiztosító éves szinten.

Magyarországon az ÁGy-ek összes TB támogatása 2012-ben **2659 beteg** részére **16,3 milliárd Ft** volt, az egy főre jutó költsége **530 ezer - 165 millió Ft/ fő** között szóródott.

**Ártámogatás alapú egyedi méltányosság keretében finanszírozott orphan gyógyszerek adatainak elemzése**

2012. évi költségvetési törvényben a méltányossági gyógyszerátamogatás előírányzott összege 3 milliárd forint volt, amely előírányzat **6,3 milliárd forintra** módosult. Az egyedi

méltányossági kasszából *csak az öt enzimpótló készítmény finanszírozása* meghaladta a **3 milliárd forintot**.

**4.1.d)** 2012-ben Magyarországon **a 33 közfinanszírozott ÁGy** közül **14 készítmény** ritka idegrendszeri kórkép kezelésére indikált. Összességében ritka neurológiai betegség terápiájára a 2012. évben **17 közfinanszírozott készítmény** rendelkezett forgalomba hozatali engedéllyel.

**I. Ártámogatás alapon támogatott ÁGy-ek: járóbetegellátás keretében, orvosi vény alapon, közforgalmú gyógyszertárakhoz kötötten:**

- EÜ100% ill. 90%-os támogatással **1 – 1 készítmény**
- *Ártámogatás alapú egyedi méltányosság keretében: 13 készítmény + 1 készítmény* ún. indikáción túli alkalmazás („off label use”) esetén. Mindezen produktumok közül a 10 legnagyobb költségvonzatú gyógyszerkészítmény indikációja közül 9 ritka idegrendszeri kórkép volt.

**II. Speciális beszerzésű ÁGy-ek: fekvőbeteg-ellátás keretében, intézményi (kórházi) felhasználáshoz kötötten, tételes elszámolás alapján: 2 készítmény.**

A RB-ek gyógyszer-támogatásának **30%-a** ritka neurológiai kórképek kezelésére fordítódott. Egyetlen készítménytől eltekintve – mely emelt, EÜ90% támogatási kategóriában támogatott –, társadalombiztosítás keretében **teljes mértékben finanszírozott** gyógyszerek voltak. A ritka idegrendszeri kórképek kezelésére szolgáló nagy költségvonzatú készítmények társadalombiztosítási támogatási összege 2012-ben 387 beteg részére **több mint 4,5 milliárd forint** volt, amely a teljes gyógyszerkassza 1,4% - a. Az egy főre jutó átlagos terápiás költség: **280 ezer – 92 millió Ft / fő** között szóródott a 2012. évi költségadatok alapján.

#### **4.2. Az ÁGy-ek elérhetősége és a nemzeti közkiadások az Európai Unióban**

**4.2.a)** A 2015. évben a résztvevő tagállamokban a 83 db. orphan készítmény **29,4-92,8%-a** valamely módon közfinanszírozott volt, beleértve az egyedi méltányosság alapú speciális támogatási technikákat.

**4.2.b)** A nem rendszerszintű finanszírozási metódusok **0-41%** között szóródtak országonként.

**4.2.c)** Az ÁGy-ek teljes közkiadási összegei a 7 vizsgált tagállamban 2013-ban **1,13-21,95 €/fő** (átlag: 7,36 €/fő) értékekről 2014-ben **1,69-25,04 €/fő** (átlag: 8,66 €/fő) összegekre emelkedtek. Az egy főre eső abszolút költségek **16,7-szeres** különbségeket mutattak a tagállamok között a legalacsonyabb és a legmagasabb költségek tekintetében.

2013. és 2014. években az orphanokra fordított átlagos költségek az egyes tagállamokban a teljes állami gyógyszerkasszák **2,25-6,51%** közötti részeit képezték, valamint a teljes egészségügyi közkiadások tekintetében **0,44-0,96%** ráfordítást jelentettek

**4.2.d)** A kutatásban résztvevő tagállamok átlagos költségértékeit összehasonlítva, megállapítható, hogy a nyugat-európai tagállamok és Szlovénia szignifikánsan az átlagos költségadatokat átlagához viszonyítva többet fordít az orphan készítményekre, mint a közép-kelet európai tagállamok. A kedvezőbb gazdasági helyzetű országok egy főre jutó ÁGy költsége magasabb, mint az alacsonyabb jövedelmű országok mutatói.



## 5. Következtetések

### Hazai megállapítások:

**5.1.a)** Az ÁGy-ek hazai elérhetőségét tekintve három évre vonatkozó százalékos arányszám (2010: 67%, 2012: 52%, 2015: 45%) számtani közepe 55%-ot eredményez. Tehát az ÁGy-ek elérhetőségét illetően Magyarországon az aktuális évben forgalomba hozatali engedéllyel rendelkező orphan készítmények átlagosan **55%-a** elérhető.

**5.1.b)** Hazánkban 2012-ben a társadalombiztosítás által támogatott ÁGy-ekhez három féle támogatási technika révén juthattak hozzá a ritka betegek (klasszikus gyógyszer-ártámogatás, ártámogatás alapú egyedi méltányosság, speciális finanszírozás tételes elszámolás keretében). Domináns közfinanszírozási metódus az *ártámogatás alapú egyedi méltányosság* volt, amely nem rendszerszintű finanszírozási metódus, hanem individuális betegkérelmeken alapuló, rendhagyó támogatási lehetőség.

Ez a finanszírozási metódus azonban optimális módja az ún. „real-world” hatásossági adatok gyűjtésének.

**5.1.c)** Számos diszkrepancia nyert megállapítást az ÁGy-ek költségvonzatának elemzése során:

- Az ártámogatás alapú egyedi méltányosság támogatási

kategória éves költségvetésének **50%-át** tette ki 5 db. nagy értékű enzimpótló terápia (amely a teljes ártámogatási méltányossági gyógyszerkör mindössze **2%-át** jelentette).

- A költségvetésének **70%-a** a RB-ek kezelésére törzskönyvezett 27 db. árva gyógyszerkészítményre fordítódott (a teljes ártámogatási méltányossági gyógyszerkör **11%-a**).
- Az ártámogatáson alapuló méltányossági gyógyszerkassza fennmaradó **30%-a** a körülbelül 223 db., nem RB kezelésére indikált készítmény (a teljes ártámogatási méltányossági gyógyszerkör **87%-a**) támogatásának összköltsége volt.

**5.1.d)** Magyarországon a közfinanszírozott ÁGy-eknek **50%-a** ritka neurológiai betegségekre indikált. A RB-ek gyógyszerértémtámogatásának **30%-a** ritka neurológiai kórképek kezelésére fordítódott. Következésképpen a ritka idegrendszeri betegségek gyógyszereinek egészséggazdasági jelentősége megkérdőjelezhetetlen.

## **5.2. Az Európai Unió tagállamait vizsgálva az alábbi eredményekre jutottunk:**

**5.2.a)** Az ÁGy-ek elérhetősége nem mutat egyértelmű összefüggést a gazdasági státusszal, bár Nyugat- Kelet felé haladva egyre kevesebb ÁGy elérhető.

**5.2.b)** Rendszerszintű versus egyedi közfinanszírozási metódusok fekvő-, ill. járóbeteg-ellátás keretében eltérő súllyal bírnak az egyes uniós tagállamokban. Az Európai Unió számos tagországában – a magyar közfinanszírozási gyakorlattól eltérően – általában rendszerszintű és intézményi alapú a finanszírozás.

**5.2.c)** A kedvezőbb gazdasági helyzetben lévő tagállamok többet költenek az orphanok finanszírozására az államháztartás, ill. a gyógyszer-, és egészségügyi kassza terhére.

Tanulmányunk nem igazolta, hogy az alacsonyabb GDP-vel bíró tagállamok számára nagyobb terhet jelentene az ÁGy-ek közfinanszírozása

Azonban a relatív kisebb piacok (pl.: Szlovénia) nem a legalacsonyabb gyógyszerárakkal jellemezhetőek. E mögött feltételezhetően a kisebb népességű országok korlátozott érdekérvényesítési lehetősége állhat.

**5.2.d)** A beteghozzáférés egyenlőtlenségeinek feltárása vonatkozásában levonható az a konzekvencia, amely szerint a beteghozzáférés egyértelmű nyugat-kelet irányú degresszív tengelyt mutat.

## 6. SAJÁT KÖZLEMÉNYEK JEGYZÉKE

### Az értekezés alapjául szolgáló közlemények:

- Szegedi M, Zelei T, Arickx F, Bucsics A, Cohn-Zanchetta E, Fürst J, Kamusheva M, Kawalec P, Petrova G, Slaby J, Stawowczyk E, Vocelka M, Zechmeister-Koss I, Kaló Z, Molnár MJ. (2018) The European challenges of funding orphan medicinal products. Orphanet J Rare Dis, 13:184.  
**IF: 3,687**
- Zelei T, Molnar MJ, Szegedi M, Kaló Z. (2016) Systematic review on the evaluation criteria of orphan medicines in Central and Eastern European countries. Orphanet J Rare Dis, 11(1): 72. <sup>1</sup>A közlemény típusa miatt nem kerül feltüntetésre  
(IF: 3,478)<sup>1</sup>
- Szegedi M, Kosztolányi Gy, Boncz I, Molnár MJ. (2016) Ritka idegrendszeri betegségek kezelésére szolgáló gyógyszerek támogatása. Ideggyogy Sz, 69(1-2):37-45.  
**IF: 0,322**
- Szegedi M, Molnár MJ. (2015) A ritka betegségek és kezelésükre szolgáló árva gyógyszerek. Gyermekgyógyászati Továbbképző Szemle, 1-4. IF: 0,0

- Szegedi M, Molnár MJ, Boncz I, Kosztolányi Gy. (2014) Hangsúlyeltolódások a hazai gyógyszerek finanszírozásában: a ritka betegségek kezelésére szolgáló árva gyógyszerek támogatása. Árva gyógyszerek finanszírozása hazánkban. Orv Hetil, 155(44):1735-41.

IF: 0,0

Az értekezéshez kapcsolódó publikációkra vonatkozó összesített impakt faktor: **4,009**

#### **Egyéb közlemények:**

Péntek M, Herczegfalvi Á, Molnár MJ, Szőnyi L, Kosztolányi Gy, Pfliegler Gy, Melegh B, Boncz I, Brodszky V, Baji P, Szegedi M, Pogány G, Gulácsi L. (2016) Duchenne-féle izomdisztrófiával élő betegek és gondozóik betegségterhei. Ideggyogy Sz, 69:5-6 **IF: 0,322**

Összesített impakt faktor: **4,331**

#### **Könyvfejezet:**

Molnár MJ, Szegedi M. A ritka kórképekben szenvedő betegek biztonsága. In: Baranyai Zs - Harsányi L (szerk.), Betegbiztonság. Medicina, Budapest, 2016: 239-252