



MINISTER ZDROWIA

MZ-PLA-460-12499-992/LP/13

KANCELARIA SENATU RP
GABINET MARSZAŁKA SENATU

wpłynęło dn. 23.12.13

nr. 6073 podpis. [signature]

Warszawa, 2013 -11- 28

Pan

Bogdan Borusewicz

Marszałek Senatu

Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku!

W odpowiedzi na oświadczenie złożone przez senatora Jarosława Obremskiego podczas 43. Posiedzeniu Senatu RP w dniu 13 listopada 2013 r., przesłane przy piśmie z dnia 18 listopada 2013 r. (BPS/043-43-1873/13), uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Polityka lekowa stanowi całokształt działań organizacyjno – prawnych, na podstawie których Minister Zdrowia realizuje zadania dotyczące zagwarantowania obywatelom dostępu do skutecznych i bezpiecznych produktów leczniczych oraz wyrobów medycznych, przy jednoczesnym zmniejszeniu udziału pacjentów w kosztach leczenia. Ministerstwo Zdrowia prowadzi transparentną i racjonalną politykę lekową w oparciu o możliwości finansowe Narodowego Funduszu Zdrowia oraz opinię Rady Przejrzystości Agencji Oceny Technologii Medycznych i rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych. Dla zapewnienia efektywności prowadzonych działań w zakresie finansowania ze środków publicznych technologii medycznych, na mocy ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122 poz. 696, z późn. zm) została powołana Komisja Ekonomiczna, której zadaniem jest prowadzenie negocjacji cenowych oraz monitorowanie realizacji całkowitego budżetu na refundację. Decyzje o refundacji podejmowane są w oparciu o efekt końcowy negocjacji, a ocena skuteczności technologii medycznych dokonywana jest w oparciu o zasady Medycyny Opartej Na Dowodach (*Evidence Based Medicine*).

Do Ministra Zdrowia został złożony wniosek przez podmiot odpowiedzialny o objęcie refundacją i ustalenie ceny urzędowej produktu leczniczego Zavesca (*miglustat*) w ramach programu lekowego *Leczenie choroby Niemann-Picka typu C*.

Zgodnie z art. 12 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.) Minister Zdrowia wydaje decyzję administracyjną o objęciu refundacją i ustaleniu urzędowej ceny zbytu, uwzględniając następujące kryteria:

- 1) Stanowisko Komisji Ekonomicznej
- 2) Rekomendacja Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych
- 3) Istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wnioski o objęcie refundacją
- 4) Skuteczność kliniczna i praktyczna
- 5) Bezpieczeństwo stosowania
- 6) Relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania
- 7) Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotyczących refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym
- 8) Konkurencyjność cenowa
- 9) Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców
- 10) Istnienie alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania
- 11) Wiarygodność i precyzja oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3-10
- 12) Priorytety zdrowotne określone w przepisach wydanych na podstawie art. 31a ust. 2 ustawy o świadczeniach
- 13) Wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz. U. Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia

W rekomendacji nr 120/2012 z dnia 26 listopada 2012 r. Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych, w ślad za stanowiskiem Rady Przejrzystości, nie zarekomendował objęcia refundacją przedmiotowego produktu leczniczego. Powyższe podyktowane zostało trudnymi do jednoznacznej interpretacji danymi o efektywności klinicznej *miglustatu* oraz bardzo wysokim kosztem terapii. Na chwilę prowadzenia prac przez Agencję Oceny Technologii Medycznych w jedynym dostępnym badaniu RCT zaobserwowano istotną statystycznie


poprawę tylko w odniesieniu do: redukcji poziomego ruchu sakadowego gałek ocznych (HSEM) oraz problemów z połykaniem. W przedmiotowym badaniu nie uległa poprawie ostrość słuchu (niepogorszenie), wskaźnik (upośledzenia) poruszania się (SAI) oraz zmiana ≥ 2 punkty w skali MMSE (krótka skala oceny stanu psychicznego) oceniającej funkcje poznawcze, dodatkowo w odniesieniu do większości parametrów nie określono istotności statystycznej zaobserwowanych zmian. Jak przywołuje w swojej opinii Prezes Agencji dodatkowo trudno jednoznacznie stwierdzić czy uwzględnione punkty końcowe przekładają się na rzeczywistą poprawę jakości życia pacjentów z chorobą Niemann - Picka typu C (NP-C). Wyniki, otrzymane podczas prowadzonej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych oceny wniosku, wskazują, iż zastąpienie terapii standardowej (leczenie objawowe i fizjoterapia) leczeniem produktem Zavesca nie przynosi istotnych korzyści dla pacjentów w zakresie poprawy jakości życia i rokowania. W analizach dołączonych do wniosku o objęcie refundacją przedmiotowego leku nie wykazano istotnie statystycznego wpływu na funkcje bezpośrednio przekładające się na zachowanie lub poprawę samodzielności pacjenta.

Dodatkowo pragnę nadmienić, iż wnioskowana technologia medyczna była już przedmiotem prac Agencji w 2011 r. i uzyskała również negatywną opinię Rady Konsultacyjnej (Stanowisko RK Nr 28/2011 z dnia 29.03.2011 r.), która uważała za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie choroby Niemann-Picka typu C” z zastosowaniem substancji czynnej *miglustat* w ramach programu zdrowotnego, jako świadczenia gwarantowanego.

Jako, że postępowanie z 2011 r. w przedmiocie finansowania ze środków publicznych leku Zavesca zostało zakończone, rekomendacje/opinie AOTM z 2011 r. nie odnoszą się do obecnie prowadzonego postępowania refundacyjnego, w którym Wnioskodawca przedstawił nowe analizy, stanowiące podstawę do opinii/rekomendacji AOTM w 2012 r.

W oparciu o wszystkie kryteria w art. 12 ustawy o refundacji leków, w tym ofertę cenową stanowiącą wynik negocjacji z Zespołem Negocjacyjnym Komisji Ekonomicznej z Wnioskodawcą, w świetle w/w rekomendacji Prezesa AOTM, Minister Zdrowia nie zaakceptował propozycji cenowej Wnioskodawcy i wydał w dniu 17 czerwca br. decyzję w której postanowił odmówić objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leku Zavesca.

W chwili obecnej trwa postępowanie odwoławcze, którego rozpatrzenie, zgodnie z ustawą o refundacji leków, trwa nie dłużej niż 180 dni.


Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Igor Radziejewicz-Winnicki