GABINET MARSZAŁKA SENATU
wpłynęło dn. 04.08.2017 r.
nr 4173 podpis

Minister Zdrowia

Warszawa, 18-07-2017

IK: 1008898 (ISO)

SEKRETARIAT
Biura Prac Senackich
Wpłynęło dn. 7.08.17 zał.
nr 4341 podpis

Pan
Stanisław Karczewski
Marszałek Senatu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku

W odpowiedzi na złożone w dniu 29 czerwca 2017 r. na 44. posiedzeniu Senatu oświadczenie Pana Senatora Waldemara Kraski w sprawie refundacji leku Translarna (ataluren) stosowanego u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a, uprzejmie proszę o przyjęcie następujących informacji.

Kwestie związane z refundacją poszczególnych technologii lekowych reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji. Zgodnie z ww. ustawą Minister Zdrowia podejmuje decyzje dotyczące refundacji produktów leczniczych mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, uwzględniając następujące kryteria:

1) stanowisko Komisji Ekonomicznej;
2) rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji;
3) istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją;
4) skuteczność kliniczną i praktyczną;
5) bezpieczeństwo stosowania;
6) relacja korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania;
7) stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym;

Ministerstwo Zdrowia
ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

Telefon: (22) 634 96 00
e-mail: kancelaria@mz.gov.pl
www.mz.gov.pl

8) konkurencyjność cenową;

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 precyzję 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

- biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny.

Należy zaznaczyć, iż w Polsce – podobnie jak we wszystkich krajach – priorytetem systemu opieki zdrowotnej jest sprawiedliwe społecznie gospodarowanie publicznymi środkami przeznaczonymi na finansowanie świadczeń zdrowotnych. Ustawa o refundacji nakłada na ministra właściwego ds. zdrowia obowiązek gospodarowania środkami pochodzącymi ze składek obywateli w sposób racjonalny, tj. zapewniający wszystkim obywatelom mającym zróżnicowane potrzeby zdrowotne sprawiedliwy dostęp do skutecznych terapii. Podstawą tak rozumianej sprawiedliwości społecznej jest podejmowanie decyzji dotyczących alokacji publicznych zasobów systemowych w oparciu o jednolite, powtarzalne i przejrzyste kryteria stosowania wobec zróżnicowanych potrzeb zdrowotnych wielu grup pacjentów.

Narzędziem stosowanym do obiektywizacji oceny skuteczności, efektywności oraz bezpieczeństwa porównywanych ze sobą różnych leków jest ocena technologii medycznych, która pozwala na obiektywizację podejmowanych decyzji poprzez ocenę tzw. koszt-efektywności. Niezwykle istotne jest określenie poziomów akceptowalności społecznej kosztów technologii medycznej i zasad realizacji naczelnej zasady równości obywateli i sprawiedliwości w aspekcie refundacji leków.

Za racjonalny próg akceptowalnego społecznie, sprawiedliwego kosztu terapii uznaje się w różnych krajach 1,5-3,0 PKB za 1 rok życia skorygowanego o jakość, tj. w warunkach polskich 3xPKB per capita tj. 130 002 zł/QALY.

W dniu 20 czerwca 2016 r. do Ministerstwa Zdrowia wpłynął wniosek o objęcie refundacją tego leku w ramach programu lekowego „Leczenie dystrofii mięśniowej typu Duchenne'a powodowanej mutacją nonsensowną (nmDMD) (ICD-10 G71.0)". Wniosek został oceniony przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT).

Prezes Agencji biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości, uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Translarna we wnioskowanym wskazaniu. Treść rekomendacji Prezesa Agencji oraz stanowisko Rady Przejrzystości są dostępne jest na stronie internetowej AOTMiT:

http://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2016/195/SRP/U_43_479_20161205_stanowisko_125_Translarna_125_mg.pdf

http://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2016/195/REK/RP_Translarna_75_2016_KW.pdf

Należy wskazać, że zgodnie ze stanowiskiem Rady Przejrzystości proponowany koszt leczenia dystrofii mięśniowej lekiem Translarna ponad trzydziestokrotnie przekracza próg ustawowy, co zdaniem Rady czyni tę technologię skrajnie nieefektywną kosztowo.

Decyzja administracyjna w przedmiocie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leku Translarna w ramach ww. programu lekowego nie została jeszcze wydana.

Minister Zdrowia po przeanalizowaniu całokształtu zgromadzonych materiałów dowodowych, uwzględniając ostatnią ofertę cenową złożoną przez Wnioskodawcę (firmę PTC Therapeutics International Limited) oraz w oparciu o kryteria wymienione w art. 12 ustawy o refundacji w terminie do 14 sierpnia 2017 r. wyda decyzję w przedmiotowej sprawie.

Z poważaniem

Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Marek Tombarkiewicz