KANCELARIA SENATU
Kancelaria Ogólna
19. 06. 2019
nr RPW 17156/2019 zał.

03980200192503
RPW/17156/2019 P
2019-06-19

Minister Zdrowia

Warszawa, 13 czerwca 2019

PLR.070.98.2019.PB

dot. BPS1043-79-2269/19

Pan
Stanisław Karczewski
Marszałek Senatu RP

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na oświadczenie Pana Macieja Łuczaka i grupy senatorów złożone podczas 79. posiedzenia Senatu RP w dniu 28 maja 2019 r. w sprawie refundacji leku Zavesca w chorobie Niemanna-Picka, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

W sprawie refundacji leku Zavesca (miglustat) należy wskazać, że zgodnie z aktualnie obowiązującym Obwieszczeniem Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych ww. lek nie jest refundowany. Zgodnie z art. 24 ust. 1 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2019 r. poz. 784, z póxn. zm.), zwana dalej „ustawą o refundacji", wnioskodawca może złożyć wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego. Zgodnie z art. 2 pkt 27 ustawy o refundacji wnioskodawcą w tej sprawie może być podmiot odpowiedzialny, przedstawiciel podmiotu odpowiedzialnego lub podmiot uprawniony do importu równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne. Oznacza to, że warunkiem podjęcia działań mających na celu objęcie refundacją leku Zavesca (miglustat), jest złożenie adekwatnego wniosku o objęcie refundacją. Taki wniosek jak dotąd do Ministra Zdrowia nie wpłynął.

Ministerstwo Zdrowia
ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa
Telefon: (22) 63 49 460
e-mail: kancelaria@mz.gov.pl
www.mz.gov.pl

niepodległa

W przypadku otrzymania wniosku o refundację leku, który nie posiada odpowiednika refundowanego we wnioskowanym wskazaniu określonym w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Minister Zdrowia przesyła wniosek wraz ze złożoną dokumentacją Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w celu przygotowania: analizy weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa. W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje m.in. w zakresie ustalenia urzędowej ceny zbytu, poziomu odpłatności oraz wskazania, w którym lek ma być refundowany. Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 ww. ustawy, Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją leku we wnioskowanym wskazaniu.

Odnośnie aktualnie dostępnych opcji terapeutycznych wskazuję, iż do niedawna nie była znana żadna skuteczna metoda leczenia choroby Niemanna-Picka. Obecnie z zebranych informacji wynika, że prowadzone są intensywne badania nad substancjami pomocnymi w walce z tą jednostką chorobową, a coraz więcej nowych cząsteczek chemicznych jest poddawana badaniom klinicznym. Toczące się badania dla nowych terapii można odnaleźć na stronie https://clinicaltrials.gov//.

W tym miejscu należy wspomnieć, iż w niektórych krajach preparat o nazwie Zavesca (Miglustat) jest stosowany w leczeniu chorych na chorobę Niemanna-Picka typu C. Problematyka objęcia refundacją przedmiotowego leku w Polsce znana jest Ministrowi Zdrowia. Trzeba wyjaśnić, że na przestrzeni ostatnich lat przedmiotowa technologia medyczna została aż sześciokrotnie poddana ocenie, podczas której dokonano analizy jej skuteczności klinicznej, bezpieczeństwa stosowania oraz efektywności cenowej w oparciu o cały dostępny materiał naukowy zebrany w tym zakresie. W poniższej tabeli przedstawiono wyniki w/w raportów

Opiniowanie	Rok	Wynik	Uwagi
Stanowisko Rady Konsultacyjnej Nr 28/2011 z dnia 29.03.2011 r.	2011	Negatywne	Rada Konsultacyjna uważa za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie choroby Niemanna-Picka typu C" z zastosowaniem substancji czynnej miglustat w ramach programu zdrowotnego, jako świadczenia gwarantowanego.

Rekomendacja nr 20/2011 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych z dnia 29 marca 2011 r. w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „leczenie choroby Niemanna-Picka typu C z zastosowaniem substancji czynnej miglustat (Zavesca) w ramach programu zdrowotnego" jako świadczenia gwarantowanego.	2011	Warunkowo pozytywna	Prezes Agencji rekomenduje i opowiada się za okresowym, trzyletnim finansowaniem ze środków publicznych świadczenia opieki zdrowotnej leczenie choroby Niemanna-Picka typu C z zastosowaniem substancji czynnej miglustat (Zavesca) w ramach programu zdrowotnego, pod warunkiem obniżenia ceny leku lub partycypacji podmiotu odpowiedzialnego w kosztach leczenia. Ponadto powinien być prowadzony ścisły rejestr leczonych pacjentów, który umożliwi ocenę skuteczności leczenia i bezpieczeństwa terapii. Realizacja powyższych warunków umożliwi pacjentom dostęp do jedynego leczenia (poza leczeniem paliatywnym) przy akceptowalnym poziomie kosztów, jak również przyczyni się do poznania faktycznej przydatności stosowania substancji czynnej miglustat
Rekomendacja nr 120/2012 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych z dnia 26 listopada 2012 r. w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Zavesca (miglustat) w ramach programu lekowego: „Leczenie choroby Niemanna-Picka typu C (NP-C) z wykorzystaniem substancji czynnej miglustat".	2012/2013	Negatywna	Prezes Agencji, w ślad za stanowiskiem Rady Przejrzystości, uważa za niezasadne finansowanie produktu leczniczego Zavesca (miglustat). Powyższe podyktowane jest trudnymi do jednoznacznej interpretacji danymi o efektywności klinicznej miglustatu oraz bardzo wysokim kosztem terapii.
Stanowisko Rady Przejrzystości nr 130/2012 z dnia 26 listopada 2012 w sprawie zasadności finansowania Zavesca (miglustat) we wskazaniu: leczenie postępujących objawów neurologicznych u pacjentów dorosłych oraz u dzie.ci z chorobą Niemanna-Picka typu C.	2012/2013	Negatywne	Rada uważa za niezasadne finansowanie produktu leczniczego Zavesca (miglustat). Przy wysokiej cenie terapii efekty kliniczne miglustatu wydają się wątpliwe.
Opinia Rady Przejrzystości nr 314/2016 z dnia 24 października 2016 roku w sprawie skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania, relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, oraz niepewności oszacowań leku Zavesca (miglustat) we wskazaniu: leczenie choroby Niemanna-Picka.	2016	Negatywna	Wyniki analiz serii przypadków oraz badań obserwacyjnych wskazują na słaby wpływ leczenia miglustatem na niektóre objawy neurologiczne i jakość życia. W pojedynczych przypadkach może przyczyniać się także do zahamowania progresji choroby, zwłaszcza u osób z późnym początkiem objawów. Dostępne dane wskazują na akceptowalną tolerancję leczenia miglustatem. Należy jednakże podkreślić, że w chwili obecnej praktycznie brak jest dowodów na skuteczność leku pochodzących z badań klinicznych wysokiej jakości, należy jednak wziąć pod uwagę, że ze względu na bardzo małą populację dotkniętą chorobą możliwości przeprowadzenia większej liczby badań są ograniczone. Nie ma również dowodów, że stosowanie miglustatu ma wpływ na przedłużenie życia pacjentów. Wobec powyższego wnioskowanie dotyczące skuteczności klinicznej miglustatu w chorobieNiemanna-Picka typu C jest obarczone wysokim ryzykiem niepewności. Przez ostatnie 6 lat nie pojawiły się żadne nowe dowody naukowe na skuteczność tej terapii.

Opinia Prezesa Agencji przy piśmie BP.434.17.2016.JTM z dnia 2.12.2016 r. w sprawie skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania, relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, oraz niepewności oszacowań leku Zavesca (miglustat) we wskazaniu: leczenie choroby Niemanna-Picka.	2016	Negatywna	Prezes stoi na stanowisku, że finansowanie ocenianej technologii nie znajduje uzasadnienia. Prezes ma świadomość, że rzadkie występowanie choroby może utrudniać przeprowadzenie badań RCT wysokiej jakości, jednakże w dostępnych dowodach naukowych zakres badanych punktów końcowych nie jest adekwatny do istoty i charakteru choroby NPC. Nie badano wpływu ocenianej interwencji na przeżycie pacjentów, natomiast wyniki dotyczące jakości życia nie wykazały istnienia różnic istotnych statystycznie między grupą leczoną miglustatem a grupą stosującą terapię standardową.

Na zakończenie uprzejmie dodaję, że realizując politykę lekową państwa, Minister Zdrowia kieruje się zasadami medycyny opartej na dowodach naukowych (EBM) oraz oceny technologii medycznych (HTA), co zapewnia przejrzystość i racjonalność podejmowanych decyzji o alokacji środków publicznych. Ponadto warto zaznaczyć, iż środki finansowe przeznaczone na refundację są ograniczone, zatem istotne jest racjonalne wprowadzanie na wykazy produktów leczniczych z uwzględnieniem ich efektywności klinicznej, kosztowej, a także możliwości finansowych płatnika publicznego.

Z poważaniem

z upoważnienia Ministra Zdrowia

Maciej Miłkowski

Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/

Potwierdzam zgodność kopii wydruku z dokumentem elektronicznym:

Identyfikator dokumentu	1707131.4227945.3529560
Nazwa dokumentu	Minister Zdrowia z upoważnienia.pdf
Tytuł dokumentu	Minister Zdrowia z upoważnienia
Sygnatura dokumentu	PLR.070.98.2019
Data dokumentu	2019-06-13
Skrót dokumentu	41FB8E4A8D145F855A993F939CD9155A3C50BDE7
Wersja dokumentu	1.7
Data podpisu	2019-06-13 21:55:39
Podpisane przez	Maciej Grzegorz Miłkowski Podsekretarz Stanu

EZD 3.90.65.65.14538

Data wydruku: 2019-06-18

Autor wydruku: