



Minister Zdrowia

Warszawa, 07 lipca 2021

PLR.050.251.2021.PB

Pan
Tomasz Grodzki
Marszałek Senatu RP

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na oświadczenie Senatora Wojciecha Koniecznego złożone podczas 26. posiedzenia Senatu RP w dniu 18 czerwca 2021 r. w sprawie leków dla pacjentów z mukowiscydozą, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Zasady finansowania ze środków publicznych produktów leczniczych określone zostały w przepisach ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r. poz. 523).

Minister Zdrowia uprzejmie wyjaśnia, iż Ministerstwo Zdrowia działa na wniosek podmiotu odpowiedzialnego, co oznacza, że wyłącznie wpłynięcie wniosku rozpoczyna postępowanie administracyjne w przedmiocie objęcia refundacją. Każda sprawa jest rozpatrywana indywidualnie w oparciu o zgromadzony materiał w postępowaniu administracyjnym. Obecność produktu leczniczego na wykazie refundacyjnym wymaga zarówno złożenia wniosku, jak i – w przypadku nowych substancji lub nowych wskazań – dokonania jego oceny przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Obecnie zostały złożone wnioski refundacyjne dla leków Symkevi (Tezacaftorum + Ivacaftorum) oraz Kaftrio (Ivacaftorum + Tezacaftorum + Elexacaftorum), które po etapie oceny formalno-prawnej i uzgodnieniu programu lekowego wnioski zostały przekazane do Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji celem sporządzenia ekspertyzy.

- W rekomendacji nr 67/2021 z dnia 11 czerwca 2021 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie oceny leku Symkevi (tezacaftorum/ivacaftorum) + Kalydeco (ivacaftorum) we wskazaniu: w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)” Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją produktów leczniczych we wskazaniu: w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu tezakaftoru i iwakaftoru w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)” na zaproponowanych warunkach. Podstawowym argumentem podnoszonym przez Prezesa Agencji jest koszt, który skutkuje znacznym przekroczeniem progu opłacalności.
- W rekomendacji nr 68/2021 z dnia 10 czerwca 2021 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor) i Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy przy zastosowaniu iwakaftoru w skojarzeniu z tezakaftorem i eleksakaftorem” u pacjentów w wieku co najmniej 12 lat, którzy są homozygotyczni lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR z minimalną wartością funkcji Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją produktu leczniczego Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor) i Kalydeco (iwakaftor). Podstawowym argumentem wskazywanym w rekomendacji jest koszt, który skutkuje znacznym przekroczeniem progu opłacalności.

Następnym etapem będą negocjacje cenowe prowadzone pomiędzy Wnioskodawcą a Zespołem Negocjacyjnej Komisji Ekonomicznej.

Wydanie negatywnej rekomendacji w powyższym zakresie oznacza, że dla danych produktów leczniczych zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 47 f ust. 3 pkt 3 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r. poz. 1398, z późn. zm.), co zobowiązuje Ministra Zdrowia do umieszczenia w/w leków na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych (zwanej dalej „RDTL”). Umieszczenie danego produktu leczniczego na w/w wykazie powinno nastąpić niezwłocznie po stwierdzeniu występowania okoliczności eliminujących dany lek z finansowania w ramach procedury RDTL. Dodatkowo na uwagę zasługuje fakt, że w okresie 23 lipca 2017 r. – 31 maja 2021 r., a więc w okresie obejmującym zarówno finansowanie leczenia w ramach

procedury RDTL oparte na decyzjach administracyjnych wydawanych przez Ministra Zdrowia, jak również finansowanie leczenia z puli środków Funduszu Medycznego, o możliwość leczenia mukowiscydozy z zastosowaniem terapii skojarzonej lekami Kaftrio oraz Kalydeco nie wystąpił żaden świadczeniodawca uprawniony do korzystania z leczenia w ramach procedury RDTL.

Odnosząc się do kwestii wydawania przez Agencję negatywnych rekomendacji w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych opcji terapeutycznych, które aktualnie nie podlegają takiemu finansowaniu, należy zaznaczyć że w procesie opracowania rekomendacji Agencja bierze pod uwagę nie tylko czynniki stricte medyczne w postaci dowodów naukowych świadczących o potencjalnej skuteczności danego leku, ale również liczne czynniki farmakoekonomiczne, w tym korzyści zdrowotne odnoszone przez pacjentów w relacji do nakładów poniesionych na leczenie danej populacji pacjentów.

Należy jednocześnie wskazać, że wydanie rekomendacji Agencji w zakresie zasadności finansowania danego leku ze środków publicznych jest jednym z wielu etapów postępowania o objęcie refundacją systemową danego leku w danym wskazaniu. Nawet w przypadku wydania przez Agencję negatywnej rekomendacji nie jest wykluczone objęcie leku refundacją w przypadku pomyślnego przebiegu dalszych etapów postępowania refundacyjnego.

Ponadto Minister Zdrowia uprzejmie informuje, że do refundacji wszedł lek Kalydeco (Ivacaftorum) podawany bezpłatnie w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy (ICD-10 E84)”. Do programu mogą zostać włączeni pacjenci spełniający następujące kryteria:

- 1) Potwierdzone rozpoznanie mukowiscydozy;
- 2) Potwierdzone wystąpienie jednej z poniżej wymienionych mutacji, w przynajmniej 1 allelu genu CFTR: mutacja bramkująca genu CFTR (klasy III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N lub S549R u chorych w wieku 12 miesięcy i starszych.
- 3) Regularna opieka ośrodka specjalizującego się w opiece nad chorymi na mukowiscydozę (minimum 3 udokumentowane konsultacje lekarskie w ciągu ostatnich 12 miesięcy)
- 4) Pozytywna opinia minimum 2 lekarzy, w tym jednego z co najmniej 10-letnim doświadczeniem klinicznym w pracy z chorymi na mukowiscydozę.

Ponadto Minister Zdrowia uprzejmie informuje, że dostępny jest program lekowy B.27. LECZENIE PRZEWLEKŁYCH ZAKAŻEŃ PŁUC U ŚWIADCZENIOBIORCÓW Z MUKOWISCYDOZĄ (ICD-10 E 84), w ramach którego podawana jest bezpłatnie tobramycyna dla pacjentów z udokumentowanym przewlekłym zakażeniem płuc wywołanym przez *Pseudomonas aeruginosa*, oraz z opornością na kolistynę lub udokumentowana nietolerancją kolistynę

Minister właściwy do spraw zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, wyda decyzję administracyjną o objęciu refundacją lub o odmowie objęcia refundacją, przy uwzględnieniu 13 kryteriów ustawowych.

Minister Zdrowia pragnie zapewnić, iż Ministerstwo Zdrowia podejmuje wszelkie możliwe działania mające na celu zwiększenie dostępu pacjentom do skutecznej i bezpiecznej farmakoterapii w ramach dostępnych środków publicznych. Realizując politykę zdrowotną 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. Należy zaznaczyć, iż środki finansowe przeznaczone na refundację są ograniczone, zatem istotne jest racjonalne wprowadzanie na wykazy kolejnych produktów leczniczych.

Z poważaniem
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Maciej Miłkowski
Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/