Oświadczenie złożone przez senatorów Wadima Tyszkiewicza, Krzysztofa Kwiatkowskiego i Beatę Małecką-Liberę na 27. posiedzeniu Senatu w dniu 23 lipca 2021 r.

Oświadczenie skierowane do ministra zdrowia Adama Niedzielskiego

Szanowny Panie Ministrze!

Mukowiscydoza (zwłóknienie torbielowate) to najczęściej występująca choroba genetyczna u ludzi. Należy do rzadkich chorób przewlekłych, ogólnoustrojowych i kompleksowych, co oznacza, że w miarę jej postępowania następuje dysfunkcja różnych narządów wewnętrznych. Przyczyną choroby jest mutacja genu odpowiedzialnego za syntezę błonowego kanału chlorkowego CFTR. Mukowiscydoza jest chorobą ogólnoustrojową, objawiającą się przede wszystkim przewlekłą chorobą oskrzelowo-płucną oraz niewydolnością enzymatyczną trzustki z następowymi zaburzeniami trawienia i wchłaniania. Gruczoły potowe wydzielają pot o podwyższonym stężeniu chloru i sodu (tzw. słony pot). Według szacunków WHO ok. 5% ludzkiej populacji jest nosicielem zmutowanego genu CFTR. Ocenia się, że blisko 2 miliony mieszkańców naszego kraju posiada ten gen. Liczbę osób chorujących w Polsce na zwłóknienie torbielowate szacuje się w przedziale od ok. 1 tysiąca 500 do ok. 2 tysięcy.

Tyle głosi medyczna definicja, która w sposób pozbawiony emocji i uczuć stwierdza suche fakty, opisuje przyczyny oraz wylicza objawy i symptomy tej nieuleczalnej, a de facto śmiertelnej jednostki chorobowej, oznaczonej systemowym kodem E-84.

Istnieje jednak zupełnie inna „definicja" tej choroby, o bez porównania bardziej ludzkim obliczu, pełna empatii i głębokiego zrozumienia w odniesieniu do osób dotkniętych bezpośrednio tą chorobą oraz ich najbliższych. Oto treść tej definicji: „Mukowiscydoza to codzienna walka chorych – dzieci i młodych dorosłych – o oddech. To tysiące godzin poświęcone fizjoterapii, setki tysięcy tabletek, miesiące spędzane w szpitalach, ogromne dawki antybiotyków i kroplówek, żywienie dojelitowe, tlenoterapia, przeszczepy płuc i wątroby. To determinacja i zaangażowanie rodziców, lekarzy, pielęgniarek, fizjoterapeutów, psychologów". Dokładnie w taki, a nie inny sposób postrzegają tę chorobę chorzy oraz ich bliscy, którzy od 30 – z górą – lat, tworząc ruchy społeczne, towarzystwa, fundacje itp., mają zaliczone w życiorysie setki rozmów, wystąpień i spotkań w Sejmie i Senacie, w różnych ministerstwach, ponadto niezliczone kampanie społeczne inicjowane oddolnie przez nich samych.

Życie tej niewielkiej grupy społecznej tak na dobrą sprawę stanowi walkę o to, by wyrwać chorobie kolejne lata życia, by doczekać przełomu w leczeniu mukowiscydozy dającego nadzieję na to, że z mukowiscydozą będzie można dożyć starości. Jak dotąd była to jednak w najczęstszych przypadkach, niestety, walka z wiatrakami. Jeszcze parę lat wstecz jedyną formą leczenia była terapia zachowawcza, polegająca na łagodzeniu objawów choroby (stosowanie antybiotyków, zabiegi fizjoterapeutyczne, tlenoterapia).

Pierwszy dwuskładnikowy lek przyczynowy Symkevi (tezakaftor/ iwakaftor) został zatwierdzony na rynku Unii Europejskiej w listopadzie 2018 r. W kolejnych latach doszły kolejne zaawansowane leki przyczynowe Kalydeco i Kaftrio (3 składniki czynne: eleksakaftor, tezakaftor i iwakaftor). Leki te są stosowane parami w terapii zespolonej Symkevi i Kalydeco oraz Kaftrio i Kalydeco, co pozwala na znaczącą poprawę skuteczności leczenia oraz objęcie leczeniem większej liczby osób z różnymi wariantami mutacji genu CFTR. Prof. Dorota Sands z Instytutu Matki i Dziecka w Warszawie, kierownik Centrum Lecenia Mukowiscydozy w Dziekanowie Leśnym, stwierdziła w wywiadzie dla PAP (11.04.2021) „Gdyby ta potrójna kombinacja leków była refundowana, to u blisko 90% pacjentów w Polsce mukowiscydoza przekształciłaby się z choroby znacznie skracającej życie w chorobę przewlekłą. To gigantyczne osiągnięcie medycyny, prawdziwy przełom".

Spośród 3 wymienionych leków jedynie Kalydeco znalazł się na liście środków farmakologicznych dofinansowywanych z budżetu państwa, opublikowanej w 2020 r. Niestety 2 pozostałe, Symkevi i Kaftrio, otrzymały negatywną rekomendację prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie objęcia refundacją obu tych produktów leczniczych. W dniu 2 lipca br. na stronach Ministerstwa Zdrowia została opublikowana lista leków niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych, co oznacza, że nie będzie można starać się o sfinansowanie zakupu tych terapii lekowych w ramach RTDL.

W tym miejscu warto przytoczyć zapis art. 47f ust. 3 pkt 3 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych: w przypadku gdy została wydana rekomendacja, o której mowa w art. 35 ust. 6 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, w odniesieniu do danej substancji czynnej w tym wskazaniu, lek nie jest finansowany w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Jednak komunikat ministra zdrowia opublikowany 2 lipca br. wraz z wspomnianą wyżej listą leków niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych mówi: „Pacjenci, którzy rozpoczęli leczenie produktem leczniczym niepodlegającym finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych przed wpisaniem leku na właściwy wykaz, mają prawo do kontynuacji leczenia, pod warunkiem udowodnienia skuteczności dotychczasowego leczenia. Informacja o zamiarze kontynuacji leczenia powinna zostać przekazana przez świadczeniodawcę do właściwego lokalnego oddziału Narodowego Funduszu Zdrowia".

W nawiązaniu do informacji i faktów przytoczonych powyżej, zwracamy się do Pana Ministra z prośbą o udzielenie odpowiedzi na poniższe pytania.

1. Jakie jest uzasadnienie ze strony ministerstwa w odniesieniu do dopuszczenia do refundacji w listopadzie 2020 r. leku przyczynowego Kalydeco (choć do leczenia tym produktem farmakologicznym kwalifikuje się w Polsce zaledwie ośmioro pacjentów) oraz odmowy takiego dopuszczenia w przypadku leków Kaftrio i Symkevi (chociaż w tym przypadku, co potwierdza prof. Dorota Sands, leczeniem zespolonym wspominanej śmiertelnej choroby mogłoby zostać objętych nawet 90% pacjentów, czyli znacznie ponad tysiąc osób)?

2. Jakie są szczegółowe kryteria oceny zastosowane w procedurze dopuszczenia konkretnego produktu leczniczego do refundowania jego zakupu przez chorych ze środków NFZ lub odrzucenia możliwości refundacji produktu? Jakie konkretne aspekty tej oceny (kryteria finansowe, społeczna skala problemu związana z daną jednostką chorobową, inne szczególne aspekty związane z konkretną chorobą) rozstrzygają o podjęciu przez komisję i prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji negatywnej bądź pozytywnej decyzji?

3. Czy w trakcie procedury dopuszczenia lub odrzucenia leków Kaftrio i Symkevi prowadzonej przez AOTMiT zostały wyliczone jednostkowe koszty rocznej terapii dla jednego pacjenta? Jeżeli tak, to jaka jest wysokość tej kwoty? Jakie byłoby łączne obciążenie dla budżetu państwa, jeżeli uwzględni się objęcie leczeniem wszystkich chorych kwalifikujących się (szacunkowo ok. 1 tysiąc 500 osób) do tej terapii?

4. Jak wygląda kwestia dostępu do informacji publicznej w przypadku danych zawartych w dokumentacji sporządzanej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w trakcie procedury dopuszczania konkretnego produktu do refundacji z pieniędzy publicznych? Czy senatorowie i posłowie, a przede wszystkim osoby dotknięte danym schorzeniem, jak też ich rodziny oraz fundacje, stowarzyszenia i ruchy społeczne tworzone przez samych chorych i ich bliskich, nie mają prawa wglądu do tej dokumentacji? W końcu jednostka administracji państwowej rozstrzyga tu o przeznaczeniu środków publicznych, na które składają się wszyscy podatnicy. Jeżeli są to informacje udostępniane publicznie, to zwracamy się z prośbą o ich przekazanie wszystkim parlamentarzystom izby niższej i izby wyższej.

5. W znacznej większości krajów Unii Europejskiej, nie tylko w tych wysoko rozwiniętych (Francja, Niemcy, Austria, Dania), lecz również w państwach unijnych o zbliżonym do polskiego PKB (Rumunia, Czechy, Węgry, Portugalia, Słowenia) leczenie mukowiscydozy jest refundowane z publicznych pieniędzy pozostających w gestii stosownych państwowych systemów opieki zdrowotnej. Jakie względy stanowią o tym, że Polska staje się niechlubnym wyjątkiem w gronie państw Unii Europejskiej?

6. Czy z uwagi na wysokie ceny leków przyczynowych nowej generacji, co przekłada się w praktyce na ich trudną dostępność dla wielu osób cierpiących na tę nieuleczalną, a w istocie śmiertelną chorobę, polski rząd rozważa zastosowanie innych – poza refundowaniem ze środków publicznych – mechanizmów, które pozwoliłyby w znaczącym dla pacjentów stopniu obniżyć ceny tych produktów leczniczych? Jeżeli tak, to jakie konkretne mechanizmy (np. szczególne koncesje dla producenta tych leków, firmy Vertex Pharmaceuticals z USA) mogłyby to być?

Wadim Tyszkiewicz
Krzysztof Kwiatkowski
Beata Małecka-Libera