Minister Zdrowia

Warszawa, 11 sierpnia 2021

PLR.050.288.2021.PB

Pan
Tomasz Grodzki
Marszałek Senatu RP

Szanowny Panie Marszałku,
w odpowiedzi na oświadczenie złożone przez senatorów Pana Wadima Tyszkiewicza, Krzysztofa Kwiatkowskiego i Panią Beatę Małecką-Liberę na 27. posiedzeniu Senatu w dniu 23 lipca 2021 r., 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, z późn. zm.).

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 zgormadzony w postępowaniu administracyjnym materiał. 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 o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla leków Symkevi (Tezacaftorum + Ivacaftorum) oraz Kaftrio (Ivacaftorum + Tezacaftorum + Elexacaftorum), które są po etapie oceny formalno-prawnej. Ponadto, po 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

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

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 między wnioskodawcą a Zespołem Negocjacyjnym Komisji Ekonomicznej.

Wydanie negatywnej rekomendacji w powyższym zakresie oznacza, że dla danych produktów leczniczych zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 47f ust. 3 pkt 3 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r. poz.1285), 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.

Koszty terapii wnioskowanymi lekami, a także wpływ na budżet płatnika publicznego zostały przedstawione w analizach dołączonych do wniosków refundacyjnych, a także zweryfikowane przez Prezesa Agencji w rekomendacjach, które znajdują się pod poniższymi adresami.

1) https://www.aotm.gov.pl/aktualnosci/najnowsze/rekomendacja-prezesa-kaftrio-iwakaftor-tezakaftor-eleksakaftor-i-kalydeco-iwakaftor/
2) https://www.aotm.gov.pl/aktualnosci/najnowsze/rekomendacja-prezesa-symkevi-tezacaftorum-ivacaftorum-kalydeco-ivacaftorum/

W powyższych dokumentach przedstawione zostały także inne kryteria dotyczące oceny przedmiotowych wniosków. Jednocześnie ze względu na trwające postępowania administracyjne, w tym negocjacje cenowe, nie jest możliwe podanie kosztów w niniejszej odpowiedzi.

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 udokumentowaną nietolerancją kolistyn

Ponadto w resorcie zdrowia procedowany jest wniosek refundacyjny dla leku **Orkambi (Lumacaftorum + Ivacaftorum)** w ramach programu lekowego „Leczenie mukowiscydozy lumakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem (ICD-10 E84)". W rekomendacji nr 79/2019 z dnia 20 września 2019 r. Prezesa Agencji, Prezes nie rekomenduje objęcia refundacją. Wniosek został rozstrzygnięty przez Ministra Zdrowia, ale decyzja nie została jeszcze wydana.

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

Sławomir Gadomski

Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/