



Minister
Zdrowia

DLG.050.18.2024.DG
Warszawa, 02 maja 2024

Pani
Małgorzata Kidawa-Błońska
Marszałek Senatu RP

Szanowna Pani Marszałek,

w odpowiedzi na oświadczeniu złożone przez Pana senatora Krzysztofa Kwiatkowskiego w dniu 9 kwietnia 2024 r., uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji w odpowiedzi na pytania zadane w oświadczeniu Pana senatora.

1. Jakie są obecnie powszechnie dostępne źródła wiedzy dla chorych na NPC zawierające informacje, gdzie szukać fachowej pomocy medycznej.

W Ministerstwie Zdrowia powstała II edycja dokumentu Plan dla Chorób Rzadkich na lata 2024 -2025. Dokument ma charakter operacyjny i ma na celu usprawnienie opieki nad chorymi na choroby rzadkie i ultraradkie.

Zaplanowano prace nad wdrożeniem tzw. „Karty Pacjenta z Chorobą Rzadką” w formie elektronicznej. Będzie to regularnie aktualizowany zasób informacji na temat pacjenta oraz jego schorzenia, który będzie mógł zostać udostępniony świadczeniodawcom. Rozwiązanie to ułatwi kontakt z lekarzami, którzy po raz pierwszy spotykają pacjenta z danym schorzeniem. Dzięki Karcie Pacjenta chorzy będą mieli możliwość uzyskania opieki medycznej zgodnej ze swoimi indywidualnymi potrzebami.

Zgodnie z zapisami Planu powstanie Rejestr Chorób Rzadkich co umożliwi monitorowanie chorób i problemów zdrowotnych. Dzięki temu będzie można określić skalę problemu, zapotrzebowanie na określone świadczenia opieki zdrowotnej i ocenić efekty podejmowanych działań terapeutycznych.

W konsekwencji tych zmian pacjenci z chorobami rzadkimi ultraradkimi staną się „lepiej widoczni” w systemie ochrony zdrowia a opieka nad nimi będzie skuteczniejsza.

Już teraz funkcjonuje Platforma Informacyjna o Chorobach Rzadkich (www.chorobyrazdkie.gov.pl), gdzie znajduje się m.in. wyszukiwarka placówek medycznych (Ośrodki Eksperckie Chorób Rzadkich), które w ramach Europejskiej Sieci Referencyjnej wymieniają się doświadczeniami i wiedzą na temat rzadkich schorzeń. Jest to szczególnie ważne, jeżeli w jakimś kraju dane schorzenie nie zostało jeszcze opisane. Na Platformie znajduje się również katalog organizacji zrzeszających i wspierających pacjentów z chorobami rzadkimi i ultraradkimi.

W Planie dla Chorób Rzadkich zapisano również zadanie związane z realizacją ogólnopolskiej kampanii społecznej poświęconej problematyce chorób rzadkich. W ramach kampanii przewiduje się m.in. prowadzenie działań edukacyjnych przez organizacje pacjentów, towarzystwa naukowe i ekspertów, opracowanie materiałów informacyjnych.

2. Czy Ministerstwo Zdrowia dysponuje informacjami o liczbie prowadzonych terapii lekiem zawierającym substancję aktywną miglustat w ramach programu RDTL od stycznia do grudnia 2023 r.? Czy terapie te mają charakter stały, czy też leki są podawane tymczasowo?

W ramach informacji dotyczących realizacji zadań finansowanych z Funduszu Medycznego, w tym finansowania leczenia w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”), Ministerstwo Zdrowia otrzymuje od Narodowego Funduszu Zdrowia informacje dotyczące finansowania leczenia w ramach procedury RDTL w poszczególnych miesiącach danego roku kalendarzowego.

Na podstawie sprawozdania rocznego za okres styczeń - grudzień 2023 r. można stwierdzić, że w 2023 r. w ramach procedury RDTL prowadzono terapię z zastosowaniem miglustatu u 12 pacjentów. Łączna kwota przeznaczona na finansowanie leczenia miglustatem w ramach procedury RDTL wyniosła 1 121 185,58 zł.

Co najmniej 5 z 12 pacjentów leczonych miglustatem w ramach procedury RDTL kontynuowało leczenie (przy czym w jednym przypadku była to kontynuacja leczenia rozpoczętego w 2022 r., a pozostali pacjenci kontynuowali terapię miglustatem w 2024 r.). Należy jednocześnie wskazać, że decyzja o kontynuacji leczenia danego pacjenta lub też o zaprzestaniu terapii z zastosowaniem danego leku, zarówno w przypadku procedury RDTL, jak i każdej innej procedury leczniczej należy każdorazowo do lekarza prowadzącego terapię danego pacjenta.

3. Czy Ministerstwo Zdrowia przeprowadziło analizę sytuacji i posiada informacje, jakiej liczbie pacjentów i na jakiej podstawie odmówiono ewentualnego finansowania terapii lekiem zawierającym substancję aktywną miglustat w ramach programu RDTL od stycznia do grudnia 2023 r.?

Ministerstwo Zdrowia nie posiada informacji na temat liczby pacjentów, którym odmówiono dostępu do terapii miglustatem finansowanej w ramach procedury RDTL oraz podstaw do odmowy tego finansowania. Departament Polityki Lekowej i Farmacji wskazuje jednocześnie, że ewidencja wniosków o wydanie zgody na pokrycie kosztów leku w ramach procedury RDTL prowadzona jest przez Narodowy Fundusz Zdrowia w ramach Centralnej Bazy Wniosków i Decyzji, do której nie posiada dostępu Minister Zdrowia. Powyższa baza zawiera wszelkie dane dotyczące wniosków o wydanie zgody na finansowanie leczenia w ramach procedury RDTL, w tym również dane dotyczące wniosków pozostawionych bez rozpoznania z przyczyn formalnych, wycofanych przez świadczeniodawców oraz ewentualnych odmów, które mogą wynikać m.in. z negatywnej opinii właściwego konsultanta lub niespełnienia przez świadczeniodawcę wymagań formalnych

4. Czy była przeprowadzona, a jeśli nie, to czy jest planowana, analiza efektywności obecnej ścieżki leczenia choroby?

Analizą terapii lekowych, na podstawie dostępnych danych klinicznych, zajmuje się Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) na zlecenie Ministra Zdrowia. Jak wspomniano w przedmiotowym oświadczeniu ostatnia analiza zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Zavesca (miglustat), kapsułki 100 mg, we wskazaniu: choroba Niemann-Picka typu

C (ICD-10: E75.2), dotyczyła refundacji miglustatu w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) i została wykonana w 2019 r. W ramach tworzenia opinii analizowane są m. in. skuteczność (kliniczna i praktyczna) oraz bezpieczeństwa stosowania, w tym ocena relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania oraz alternatywne technologie medyczne możliwe do zastosowania w danym wskazaniu.

Zgodnie z opinią AOTMiT - RDTL nie wydaje się być właściwy w przypadku stosowania miglustatu w chorobie Niemann-Picka typu C (NPC). Zgodnie z zapisami Charakterystyki Produktu Leczniczego Zavesca skuteczność leczenia objawów neurologicznych produktem Zavesca u pacjentów z NPC powinna być badana regularnie (np. co 6 miesięcy), zaś kontynuacja leczenia powinna być ponownie zatwierdzona po upływie co najmniej 1 roku leczenia produktem Zavesca. Tym samym 3-miesięczny okres terapii miglustatem w ramach RDTL może być zbyt krótki do wykazania wpływu terapii na występujące objawy neurologiczne i potwierdzenia zasadności finansowania terapii ze środków publicznych. Pomimo powyższego produkt nie widnieje obecnie na liście leków niepodlegających finansowaniu w ramach RDTL i może być finansowany w tym trybie z uwagi na zmiany wprowadzone w art. 47f ust. 3 ustawy o świadczeniach, w związku z wejściem w życie, z dniem 26 listopada 2020 r., ustawy o Funduszu Medycznym z dnia 7 października 2020 r (Dz. U. z 2023 r. poz. 1758 z późn. zm.).

5. Czy Ministerstwo Zdrowia może przeprowadzić analizę faktycznej refundacji leku zawierającego substancję aktywną miglustat we wszystkich krajach członkowskich Unii Europejskiej?

Ministerstwo Zdrowia ma dostęp do platformy EURIPID. Jest to dobrowolne przedsięwzięcie nienastawione na zysk, skupiające głównie organy europejskie odpowiedzialne za ustalanie cen i refundację produktów farmaceutycznych. Państwa, które są zainteresowane tworzeniem bazy danych, aktualizują informacje o dostępności, oficjalnych cenach oraz refundacji poszczególnych leków na swoim terytorium. Zgodnie z najlepszą wiedzą Ministerstwa Zdrowia produkty lecznicze Zavesca lub Miglustat Accord refundowane są obecnie w 17 krajach UE/EFTA.

6. Jakie w ocenie Ministerstwa Zdrowia są przesłanki uniemożliwiające wprowadzenie leku zawierającego substancję aktywną miglustat na listę leków refundowanych?

Kwestie związane z refundacją reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826 z późn. zm.), zwana dalej „ustawą o refundacji”. W celu rozpoczęcia procesu refundacyjnego podmiot odpowiedzialny musi przedłożyć wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego. Departament Polityki Lekowej i Farmacji informuje, że na dzień tworzenia opracowania niniejszego pisma nie został złożony wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto dla żadnego leku zawierającego miglustat. Problematyka objęcia refundacją przedmiotowego leku jest znana Ministerstwu Zdrowia od lat. Na przestrzeni ponad dekady AOTMiT kilkakrotnie poddawał przedmiotową technologię analizie skuteczności klinicznej, bezpieczeństwa stosowania oraz efektywności cenowej. W oparciu o cały dostępny materiał naukowy wydano negatywne rekomendacje dotyczące finansowania omawianej technologii lekowej, w tym negatywne opracowania Rady Przejrzystości i Prezesa Agencji w związku z procedowaniem wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla leku Zavesca (wniosek Actelion Pharma z 28.03.2012r., zakończony wydaniem negatywnej decyzji refundacyjnej w I i w II instancji). Minister Zdrowia, idąc naprzeciw oczekiwaniom i sygnałom napływającym do Ministerstwa, zwrócił się w 2021 roku do dwóch podmiotów

odpowiedzialnych posiadających w swoim portfolio lek z miglustatem w sprawie rozważenia złożenia wniosku refundacyjnego. Firmy nie przychyliły się do prośby Ministra, wyrażając jednocześnie brak zainteresowania wystąpieniem o refundację w Polsce.

7. Czy Ministerstwo Zdrowia ma plany dotyczące zwiększenia dostępności leczenia chorych w ramach programów oferujących bezpłatne leki w terapii choroby NPC?

Na chwilę obecną, zgodnie z ustawą o refundacji oraz ustawą o świadczeniach, leki z miglustatem mogą być finansowane jedynie w trybie RDTL. W celu objęcia leków refundacją systemową wymagany jest wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto przedłożony Ministerstwu Zdrowia przez podmiot odpowiedzialny.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Wojciech Konieczny
Sekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/