



MINISTER ZDROWIA

MZ-PLO-079-16391-199/PR/13

dot. BPS-043-41-1771/13

Warszawa, 2013 - 11 - 07

Pan

Bogdan Borusewicz

Marszałek Senatu

Rzeczypospolitej Polskiej

GABINET MARSZAŁKA SENATU

wpłynęło dn. 3.12.13.

nr. 5484 podpis *Borusewicz*

SECRETARIAT

Biura Prac Senackich

Wpłynęło dn. 4.12.13

nr. 9887 podpis *M*

Szanowny Panie Marszałku!

W odpowiedzi na oświadczenie złożone przez Panią Senator Alicję Chylicką na 41 posiedzeniu Senatu w dniu 17 października 2013 r., w sprawie „objęcia refundacją leku *Mnesis (Idebenone)* we wskazaniu: *Ataksja Friedricha*”, niniejszym informuję, co następuje.

Kwestią zasadniczą dla udzielenia odpowiedzi na powyższe oświadczenie, jest przedstawienie wyjaśnień w odniesieniu do statusu substancji pn. *Idebenone*.

Zgodnie z informacją Państwowej Inspekcji Sanitarnej, według dostępnych danych składnik *Idebenone* jest syntetycznym odpowiednikiem koenzymu Q10. Koenzym Q10 (ubichinon) jest organicznym związkem chemicznych z grupy chinonów, występującym w mitochondriach komórek roślinnych i zwierzęcych. Uprzejmie informuję, iż koenzym Q10 jest składnikiem suplementów diety wprowadzanych do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej. Zaznaczam jednak, iż składnik ten może być obecny w składzie suplementów diety w ilości, która nie wykazuje właściwości farmakologicznych.

Zgodnie bowiem z art., 3 ust. 3 pkt 39 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz. U, z 2010 r. Nr 136 poz. 914, z późn. zm.) suplement diety jest środkiem spożywczym, którego celem jest uzupełnienie normalnej diety, będącym skoncentrowanym źródłem witamin lub składników mineralnych lub innych substancji wykazujących efekt odżywczy lub inny fizjologiczny, pojedynczych lub złożonych, wprowadzanym do obrotu w formie umożliwiającej dawkowanie, w postaci: kapsułek, tabletek, drażetek i w innych podobnych postaciach, saszetek z proszkiem, ampułek z płynem, butelek z kroplomierzem i w innych podobnych postaciach płynów i proszków przeznaczonych do spożywania w małych, odmierzonych ilościach jednostkowych.

W świetle powyższego nasuwa się realna wątpliwość czy omawiana substancja (czy też określony produkt ją zawierający) może być w ogóle przedmiotem refundacji.

Wskazać należy, że zgodnie z art. 39 ust. 1 *ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*, zwanej dalej „*ustawą o refundacji*”, Minister Zdrowia może wydać zgodę na refundację dla indywidualnego pacjenta w odniesieniu do **produktów leczniczych** nieposiadających pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej i sprowadzanych z zagranicy na warunkach określonych w art. 4 *ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.)*.

Produkt *Idebenone (Idebenonum)* nie posiada ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu. Jeżeli przyjąć, że omawianą substancję można klasyfikować jako lek, mogłaby ona być sprowadzana w za pomocą instrumentu tzw. „importu docelowego”. Agencja Oceny Technologii Medycznych poinformowała wszakże, że *Idebenone* znajduje się na liście substancji stosowanych w programie chorób wrodzonych kanadyjskiego ministerstwa zdrowia jako produkt będący **suplementem diety** dostępnym bez recepty

W przedmiocie możliwości refundacji produktu *Idebenone*, należy wyjaśnić, że art. 12 ust. 2-6 *ustawy o refundacji* stanowi, iż Minister Zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, wydaje decyzję administracyjną o objęciu refundacją **[leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego]** przy uwzględnieniu rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych (Prezesa AOTM), istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wnioski o objęcie refundacją, skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania oraz relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania.

Niezależnie od powyższego, w oświadczeniu Pani Senator Chybickiej mowa jest o tym, że produkt *Mnesis* zawierający omawianą substancję, stosowany jest w leczeniu choroby rzadkiej – Ataksji Friedricha, a tym samym kwalifikować ma się jako tzw. „lek sierocy”. W świetle wcześniejszych wyjaśnień, z twierdzeniem Pani Senator nie mogę się zgodzić.

Leki sieroce są to leki dopuszczane do obrotu w tzw. „procedurze scentralizowanej”, przeprowadzanej na szczeblu unijnym. Oznacza to, że na mocy decyzji Komisji, leki te dopuszczane są do obrotu (w sensie formalnym) we wszystkich – bez wyjątku – państwach członkowskich równocześnie. Tym samym, wraz z aktem wydania rzeczony decyzji, leki te uzyskują status leków dopuszczonych do obrotu również w Rzeczypospolitej Polskiej. Co do zasady, w odniesieniu dla umożliwienia refundacji leków dopuszczonych do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej na rzecz świadczeniobiorców, wnioskodawca musiałby

złożyć stosowny wniosek o objęcie leku refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w trybie art. 24 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.) Niekorzystny stosunek relacji kosztów do efektywności, bardzo wysokie ceny leków sierocych, słabe zaplecze faktograficzne w odniesieniu do danych na temat bezpieczeństwa i skuteczności ich stosowania (ze względu na znikome populacje), czy też brak alternatywnych metod leczenia, stanowią istotne czynniki, ze względu na które producenci zasadniczo nie wnioskują o refundację tego konkretnego rodzaju produktów leczniczych.

W świetle powyższych argumentów, w odniesieniu do ew. oceny – przez właściwe organy państwowe – wniosków refundacyjnych dla leków sierocych, nie podzielam także opinii na temat tego, że „zbyt mała liczba dowodów potwierdzających skuteczność leku sierociego nie powinna stanowić kryterium podważającego jego skuteczność, a tym samym wpływać negatywnie na decyzję o refundacji”. Dowiedziona skuteczność leku jest kluczowym elementem procesu refundacyjnego, na który składa się również wartościowanie przedmiotu wniosku w ramach tzw. „oceny technologii medycznych”. Tym samym skuteczność nie jest miernikiem, którego istnienie domniemywa się z góry, a wymaga potwierdzenia naukowego – czy to na etapie badań klinicznych, czy też rejestracyjnych badań skuteczności (co wszakże – wobec niewielkiej liczebności populacji osób cierpiących na choroby rzadkie – jest bardzo trudne).

Ponadto decyzja o objęciu danego leku refundacją wiąże się w istocie z rozdysponowywaniem środków publicznych. Określone wymogi zarówno formalne, jak i dotyczące merytorycznej zawartości dokumentacji dołączanej do wniosków refundacyjnych, nie są w tym względzie wyjątkiem jeżeli chodzi o pewne standardy celowości i gospodarności w ramach szeroko rozumianej dyscypliny operowania publicznymi środkami finansowymi.

W tym kontekście pragnę podkreślić, że nie odnaleziono żadnych oficjalnych danych dotyczących zakresu i sposobu finansowania *Idebenone* ze środków publicznych w krajach Unii Europejskiej.

Mając jednak na względzie znaczące rozbieżności w opiniach konsultantów, Minister Zdrowia, w dniu 24 kwietnia 2013 r. w trybie określonym w art. 31e ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.), wystąpił do Prezesa AOTM z prośbą o zbadanie zasadności wydawania zgód na refundację produktu *Idebenone* (*Idebenonum*), tabl. á 150mg oraz *Mnesis* (*Iidebenonum*), tabl. á 45mg we wskazaniach takich jak: ataksja

Friedreicha, zespół MELAS, zespół Leigha oraz zespół Kearns-Sayre'a. W dniu 20 maja 2013 r. została wydana rekomendacja nr 57/2013 Prezesa AOTM, w której organ ten uznał za niezasadne wydawanie zgód na refundację powyższych produktów, w zleconych przez Ministra Zdrowia wskazaniach.

Powołując się na uzasadnienie powyższej rekomendacji, jedynie w przypadku zespołu MELAS, zespołu Leigha i zespołu Kearns-Sayre'a dostępne są opisy pojedynczych przypadków zastosowań omawianej substancji. Według opinii wielu badaczy skuteczność i bezpieczeństwo *Idebenone* powinno być przedmiotem dalszych badań. Ponadto nie odnaleziono rekomendacji klinicznych odnoszących się do stosowania *Idebenone* w terapii Ataksji Friedreicha, a zatem produkt nie ma jednoznacznie potwierdzonej skuteczności i profilu bezpieczeństwa w odniesieniu do tego konkretnego zastosowania.

Konkludując, Minister Zdrowia przychylił się do rekomendacji Prezesa Agencji. W świetle zgromadzonych dowodów dotyczących pojedynczych przypadków zastosowań leku oraz wartości ich wyników, wydaje się, że nie stanowią one wystarczającej podstawy dla finansowania przedmiotowego produktu dla wskazania: Ataksja Friedricha ze środków publicznych.

Z powierzenia

Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Igor Radziejewicz-Winnicki