Minister Zdrowia

PLR2.050.9.2025.SGÓ
Warszawa, 14 lutego 2025

Pani
Małgorzata Kidawa-Błońska
Marszałek Senatu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowna Pani Marszałek,

w odpowiedzi na oświadczenie złożone przez Senatora Jacka Trelę podczas 27. posiedzenia Senatu RP w dniu 22 stycznia 2025 r., w sprawie dostępu do optymalnego leczenia dla chorych na mukowiscydozę, Minister Zdrowia informuje jak niżej.

Na wstępie należy wskazać, iż 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 2024 r. poz. 930, z późn. zm.), zwana dalej jako „ustawa o refundacji".

Zgodnie z art. 24 ustawy o refundacji, w odniesieniu do produktów leczniczych, które są dostępne na terenie Rzeczypospolitej Polskiej, w zakresie wskazań rejestracyjnych, Minister Zdrowia może podjąć działania w sprawie objęcia refundacją bądź zmiany wskazań w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera). Powyższe oznacza, iż **objęcie refundacją produktu dokonywane jest zawsze na wniosek podmiotu odpowiedzialnego.**

Złożony wniosek, o którym mowa wyżej, jest poddawany ocenie formalno-prawnej, a następnie, w przypadku produktu leczniczego, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, jest przesyłany do oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (zwanej dalej też jako „Agencja") celem przygotowania analizy weryfikacyjnej, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa. Prezes Agencji, biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości, jakość dostępnych dowodów naukowych oraz wiarygodność

telefon: +48 22 250 01 46
adres email: kancelaria@mz.gov.pl
www.gov.pl/zdrowie

ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

porównań i wyników przeprowadzonych analiz, wydaje rekomendację w sprawie objęcia refundacją wnioskowanego leku w danym wskazaniu. Następnie prowadzone są negocjacje z Komisją Ekonomiczną, która prowadzi z podmiotami odpowiedzialnymi negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto oraz wskazań, w którym lek ma być refundowany.

Minister Zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, wydaje decyzję administracyjną o objęciu refundacją, przy uwzględnieniu następujących kryteriów z art. 12 ustawy o refundacji:

1) stanowiska Komisji Ekonomicznej, o której mowa w art. 17 ustawy o refundacji,
2) rekomendacji Prezesa Agencji, o której mowa w art. 35 ust. 6 ustawy o refundacji,
3) istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,
4) skuteczności klinicznej i praktycznej,
5) bezpieczeństwa stosowania,
6) relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania,
7) stosunku kosztów do uzyskanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym,
8) konkurencyjności cenowej,
9) wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców,
10) istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r. poz. 146, z późn. zm.), zwaną dalej ustawą o świadczeniach, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania,
11) wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3-10,
12) mapy potrzeb zdrowotnych, o której mowa w art. 95a ust. 1 ustawy o świadczeniach,
13) wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu

Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz. U. z 2021 r. poz. 151), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu – koszt uzyskania dodatkowego roku życia - biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny,

14) zobowiązania do zapewnienia ciągłości dostaw, o którym mowa w art. 25 pkt 4
- biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek.

Na podstawie przepisów art. 37 ustawy o refundacji Minister Zdrowia ogłasza, co do zasady raz na 3 miesiące, w drodze obwieszczenia wykaz refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobów medycznych.

Zgodnie z treścią aktualnie obowiązującego obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych obowiązującego od 1 stycznia 2025 r., w ramach programu lekowego **B.112. - Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)**, dostępne są dla pacjentów następujące schematy leczenia:

1) Kalydeco (iwakaftor) w monoterapii:

- leczenie chorych z potwierdzonym wystąpieniem 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**;

2) Orkambi (lumakaftor /iwakaftor):

- **leczenie chorych w wieku co najmniej 2 lat** z potwierdzonym wystąpieniem mutacji F508del genu CFTR na obu allelach;

3) Symkevi (tezakaftor /iwakaftor) + Kalydeco (iwakaftor):

- **leczenie chorych w wieku co najmniej 6 lat** homozygotyczni pod względem mutacji F508del lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del i mający jedną z następujących mutacji genu CFTR: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G i 3849+10kbC→T;

4) Kaftrio (eleksakaftor/tezakaftor /iwakaftor) + Kalydeco(iwakaftor):

- leczenie chorych w wieku co najmniej 12 lat homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del z mutacją o minimalnej wartości funkcji (MF) genu CFTR.

Należy podkreślić, że firma Vertex w 2022 r. złożyła wnioski dotyczące objęcia refundacją leczenia skojarzonego Kaftrio + Kalydeco dla pacjentów w wieku co najmniej 6 lat, którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu mukowiscydozowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa. Podmiot odpowiedzialny 20 października 2023 r. zwrócił się do Ministra Zdrowia z wnioskiem o umorzenie ww. postępowań, natomiast Minister Zdrowia, uwzględniając żądanie strony, umorzył postępowania w dniu 26 października 2023 r., tym samym kończąc procedurę administracyjną.

Następnie 22 kwietnia 2024 r. firma Vertex ponownie złożyła wnioski dotyczące objęcia refundacją leczenia skojarzonego Kaftrio + Kalydeco dla pacjentów w wieku co najmniej 2 lat, którzy mają co najmniej jedna mutacja F508del genu mukowiscydozowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa. Wnioski obecnie są na etapie rozstrzygnięcia przez Ministra Zdrowia.

Odnosząc się do planowanego terminu rozpatrzenia wspomnianych powyżej wniosków refundacyjnych o objęcie refundacją leczenia skojarzonego Kaftrio + Kalydeco dla pacjentów w wieku co najmniej 2 lat należy podkreślić, iż Minister Zdrowia po zebraniu i zapoznaniu się z całością zebranego materiału dowodowego podejmie decyzję (pozytywną lub negatywną) w zakresie niniejszego rozszerzenia wskazania refundacyjnego. Mając na względzie złożoność procesu refundacyjnego wskazanie potencjalnego okresu zakończenia wspomnianych postępowań nie jest obecnie możliwe. Należy natomiast wskazać, iż Minister Zdrowia, zgodnie z art. 36a ust. 2 ustawy o refundacji, jest zobowiązany rozpatrzeć sprawę w terminie nieprzekraczającym roku od dnia złożenia wniosku, gdyż w przeciwnym razie

postępowanie zostanie umorzone. Wnioski, jak wskazano wyżej zostały złożone 22 kwietnia 2024 r., a więc ustawowy rok mija 23 kwietnia 2025 r.

Odnosząc się do twierdzenia restrykcyjnego dostępu do terapii Kaftrio jak w Polsce należy podkreślić, iż taka opinia jest błędna i szkodliwie powielana, powodując dezinformację wśród lekarzy, chorych i ich rodzin.

Zapisy programów lekowych podlegają złożonemu procesowi opiniowania, który określa m.in. ustawa o refundacji w art. 16a. Proces ten obejmuje opiniowanie przez odpowiedniego Konsultanta Krajowego lub Konsultanta Wojewódzkiego, Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT), a w uzasadnionych przypadkach również medycznego towarzystwa naukowego z danej dziedziny medycyny. Dodatkowo, Minister Zdrowia każdorazowo w procesach refundacyjnych dla nowych terapii finansowanych w programach występuje o stanowisko Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) w kwestii jego zapisów. Jednocześnie, za zdefiniowanie wskazania refundacyjnego, a więc populacji kwalifikującej się do danej terapii refundowanej w ramach programu lekowego odpowiedzialny jest przede wszystkim podmiot wnioskujący o objęcie refundacją. Ustawa o refundacji w art. 25 określa wymagania formalno-prawne obowiązujące podczas składania wniosków o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto, zgodnie z którymi to Wnioskodawca już na etapie przedkładania wniosku zobowiązany jest przedstawić wnioskowane warunki objęcia refundacją, w szczególności:

a) *wskazania, w których lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny ma być refundowany,*
b) *proponowaną cenę zbytu netto,*
c) *kategorię dostępności refundacyjnej, o której mowa w art. 6 ust. 1,*
d) *poziom odpłatności,*
e) *instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 5,*
f) *okres obowiązywania decyzji o objęciu refundacją,*
g) *projekt opisu programu lekowego, jeżeli dotyczy, zawierający:*
   - *nazwę programu,*
   - *cel programu,*
   - *opis problemu medycznego,*

– *opis programu obejmujący: kryteria włączenia do programu, dawkowanie i sposób podawania, monitorowanie programu, w tym monitorowanie leczenia i sposób przekazywania informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych, a także kryteria wyłączenia z programu.*

Z powyższego jednoznacznie wynika, że to **podmiot odpowiedzialny na etapie przygotowywania wniosku refundacyjnego określa zakres wskazań klinicznych oraz opis programu lekowego**. Następujący po złożeniu wniosku etap opiniowania programu ma na celu uzupełnienie i weryfikację projektu przedłożonego przez Wnioskodawcę w dokumentacji, a nie tworzenie od podstaw nowych zapisów oderwanych od przedmiotu wnioskowania.

Ustawa o refundacji nakłada na ministra właściwego ds. zdrowia obowiązek gospodarowania środkami pochodzącymi ze składek obywateli w sposób racjonalny, tj. zapewniający wszystkim obywatelom mającym zróżnicowane potrzeby zdrowotne sprawiedliwy dostęp do skutecznych terapii. Podstawą tak rozumianej sprawiedliwości społecznej jest podejmowanie decyzji dotyczących alokacji publicznych zasobów systemowych w oparciu o jednolite, powtarzalne i przejrzyste kryteria stosowania wobec zróżnicowanych potrzeb zdrowotnych wielu grup pacjentów. Przy tworzeniu wykazu refundowanych leków, środków medycznych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, uwzględnia się wartość terapeutyczną leku, bezpieczeństwo jego stosowania oraz koszt terapii.
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.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Marek Kos
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/