Minister Zdrowia

PLR2.050.37.2024.SGÓ
Warszawa, 20 sierpnia 2024

Pani
Małgorzata Kidawa-Błońska
Marszałek Senatu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowna Pani Marszałek,

w związku z oświadczeniem senatora Pana Jacka Treli - w sprawie refundacji leków na mukowiscydozę od 2 r.ż., złożonym na 17 posiedzeniu Senatu - 25 lipca 2024 r., 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. Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 ustawy o refundacji, Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją produktu we wnioskowanym wskazaniu.

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 17 czerwca 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych obowiązującego od 1 lipca 2024 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.

System refundacyjny w Polsce jest systemem wnioskowym, co oznacza dobrowolność Wnioskodawcy zarówno w przystąpieniu do postępowania (złożenie wniosku) jak i udziału w nim (możliwość złożenia w każdej chwili pisma z prośbą o umorzenie postępowania).

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 przygotowania rekomendacji przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Szczegóły dotyczące niniejszego zlecenia znajduje się pod adresem:

https://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2024/1033-materialy-2024/8580-114-2024-zlc

Odnosząc się do zapytania przedłożonego w oświadczeniu złożonym przez senatora Jacka Trelę na 17. posiedzeniu Senatu w dniu 25 lipca 2024 r. dotyczącego potencjalnego terminu rozszerzenia dostępu do leku Kaftrio w leczeniu mukowiscydozy dla pacjentów w wieku co najmniej 2 lat należy podkreślić,

iż po zakończonej ocenie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji postępowania zostaną skierowane na negocjacje cenowe. Prace Komisji Ekonomicznej zostaną zakończone wraz z podjęciem uchwały. Następnie, 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.

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. Należy zaznaczyć, iż środki finansowe przeznaczone na refundację są ograniczone, zatem istotne jest racjonalne wprowadzanie na wykazy kolejnych opcji terapeutycznych.

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