Minister Zdrowia

PLR2.050.73.2024.DG
Warszawa, 09 stycznia 2025

Pani
Małgorzata Kidawa-Błońska
Marszałek Senatu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowna Pani Marszałek,

w odpowiedzi na oświadczenie złożone przez Pana Senatora Wadima Tyszkiewicza na 25. posiedzeniu Senatu 19 grudnia 2024 r. w sprawie refundacji leku o nazwie Daybue (*trofinetyd*), Minister Zdrowia przekazuje poniższe informacje.

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, dalej „ustawa o refundacji").

W myśl zapisów wspomnianej ustawy, objęcie refundacją produktu leczniczego jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej, wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera). Zgodnie z art. 10 ustawy o refundacji, wnioskowanie o systemowe objęcie refundacją możliwe jest co do leku który spełni podstawowe warunki:

1) jest dopuszczony do obrotu lub pozostaje w obrocie w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. - Prawo farmaceutyczne;
2) jest dostępny na rynku;
3) posiada numer GTIN zgodny z systemem GS1.

Złożony do Ministerstwa Zdrowia wniosek musi zawierać wszystkie elementy, określone w art. 25 ustawy o refundacji.

Wniosek o objęcie refundacją nowej substancji czynnej lub nowego wskazania dla finansowanej już substancji czynnej podlega ocenie przez Agencję Oceny

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

ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT, Agencja). W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto, instrumentów dzielenia ryzyka oraz wskazania, w którym produkt ma być ostatecznie refundowany.
Minister Zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, wydaje decyzję administracyjną o objęciu refundacją i ustaleniu ceny zbytu netto przy uwzględnieniu kryteriów wymienionych w art. 12 ustawy o refundacji.

Minister Zdrowia informuje, iż lek Daybue nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej zgodnie z art. 3 ustawy Prawo Farmaceutyczne (Dz. U. z 2024 r. poz. 686, z późn. zm.), a co za tym idzie aktualnie nie ma możliwości złożenia wniosku o jego objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto.

W przypadku konieczności zastosowania w terapii pacjenta produktu leczniczego, który nie jest dopuszczony do obrotu w Polsce lub który jest niedostępny, możliwe jest sprowadzenie go z zagranicy w trybie importu docelowego, na podstawie art. 4 ustawy Prawo farmaceutyczne. Podstawą sprowadzenia z zagranicy produktu leczniczego jest zapotrzebowanie na sprowadzenie z zagranicy, wystawione przez lekarza za pośrednictwem Systemu Obsługi Importu Docelowego, potwierdzone przez Ministra Zdrowia na okoliczność braku wystąpienia przesłanek, o których mowa w art. 4 ust. 3 ustawy Prawo farmaceutyczne (tj. w odniesieniu do danego produktu leczniczego: nie wydano decyzji o odmowie wydania pozwolenia, odmowie przedłużenia okresu ważności pozwolenia, cofnięcia pozwolenia oraz nie posiada on odpowiedników, czyli produktów zawierających tę samą lub te same substancje czynne, tę samą dawkę i postać co leki dopuszczone do obrotu i dostępne na terytorium Polski).

Jeśli pacjent chce ubiegać się o refundację sprowadzanego produktu, składa pocztą tradycyjną lub poprzez platformę ePUAP wniosek o wydanie zgody na refundację sprowadzanego z zagranicy produktu leczniczego, kopię dokumentu poświadczającego ubezpieczenie pacjenta oraz zaświadczenie lekarskie wraz z opisem dotychczasowego leczenia. Jeśli Minister Zdrowia wyda zgodę na refundację wnioskowanego leczenia, pacjent odbierając lek z apteki wnosi opłatę

ryczałtową, czyli 3,20 zł za opakowanie produktu leczniczego. Brak zgody Ministra Zdrowia na refundację oznacza możliwość nabycia leku sprowadzonego z zagranicy wyłącznie za 100% odpłatnością.

Należy wskazać, że zgodnie z zapisami art. 39 ust. 3c ustawy o refundacji, Minister Zdrowia, rozpatrując wniosek o wyrażenie zgody na refundację wnioskowanego produktu leczniczego, jest zobowiązany wziąć pod uwagę kryteria, o których mowa w art. 12 pkt 3-6 i 8-10 ustawy o refundacji, tj. kryteria:

- istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,
- skuteczności klinicznej i praktycznej,
- bezpieczeństwa stosowania,
- relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania,
- konkurencyjności cenowej,
- wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców,
- istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania,

- 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, a także rekomendację Prezesa Agencji, jeżeli została wydana oraz inne opinie, w szczególności konsultantów krajowych lub wojewódzkich, uzyskane w trakcie rozpatrywania wniosku.

Minister Zdrowia informuje, iż w dniu 28 grudnia 2023 r. Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji wydał Rekomendację nr 144/2023 w odniesieniu do produktu leczniczego Daybue (trofinetyd), w której nie rekomendował wydawania zgód na refundację ww. leku we wskazaniu: zespół Retta. Zgodnie z obowiązującymi przepisami art. 39 ust. 3e pkt 1 ustawy o refundacji, **Minister odmawia wydania zgody na refundację** leku lub środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, jeżeli z rekomendacji, o której mowa w ust. 3, wynika, że nie jest zasadne ich finansowanie ze środków publicznych w tym wskazaniu.

Minister Zdrowia informuje, iż w przypadku wpłynięcia do Ministerstwa Zdrowia kompletnego wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto przedmiotowego produktu leczniczego, co będzie możliwe po wydaniu przez właściwy organ decyzji o dopuszczeniu do obrotu, postępowanie administracyjne w zakresie objęcia leku Daybue refundacją systemową (na podstawie art. 24 ustawy o refundacji) będzie prowadzone na warunkach określonych w ustawie o refundacji.

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

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

ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa