



Minister Zdrowia

Warszawa, 26 sierpnia 2022

PLR.4504.912.2022.PT

Pan
Marcin Wiącek
Rzecznik Praw Obywatelskich

Szanowny Panie Rzeczniku,

w odpowiedzi na pismo nr V.7013.61.2022.ETP z 23 sierpnia 2022 r. w sprawie warunków refundacji terapii genowej stosowanej u pacjentów cierpiących na SMA, proszę o przyjęcie poniższych informacji.

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 2022 r. poz. 463, z późn. zm.), zwana dalej „ustawą o refundacji”.

Na mocy art. 37 przywołanej ustawy minister właściwy do spraw zdrowia ogłasza, raz na dwa miesiące, w drodze obwieszczenia, wykazy refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych w stosunku do których wydano decyzje o objęciu refundacją – aktualne dostępne jest m.in. na stronie internetowej Ministerstwa Zdrowia.

Od września 2022 r. zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 22 sierpnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 września 2022 r. (Dz. Urz. Min. Zdrow. poz. 90), produkt leczniczy Zolgensma finansowany będzie w ramach programu lekowego B.102.FM. Leczenie Chorych Na Rdzeniowy Zanik Mięśni (ICD-10:

G12.0, G12.1). Poniżej zestawiono wszystkie dostępne dla pacjentów opcje terapeutyczne w ramach niniejszego programu lekowego od 1 września 2022 r.

Substancja czynna	Nazwa postaci i dawka leku	Zawartość opakowania	Numer GTIN	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Wysokość limitu finansowania	Program lekowy	Poziom odpłatności	Wysokość dopłaty świadczeniobiorcy
Nusinersenum	Spinraza, roztwór do wstrzykiwań, 12 mg	1 fiol. 5 ml	05713219500975	325080,00	341334,00	341334,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	1 fiol. 5,5 ml + 2 fiol. 8,3 ml	05397227701106	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	1 fiol. 5,5 ml + 3 fiol. 8,3 ml	05397227701137	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	1 fiol. 5,5 ml + 4 fiol. 8,3 ml	05397227701168	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	1 fiol. 5,5 ml + 5 fiol. 8,3 ml	05397227701199	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	1 fiol. 5,5 ml + 6 fiol. 8,3 ml	05397227702844	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	1 fiol. 5,5 ml + 7 fiol. 8,3 ml	05397227702875	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 5,5 ml + 1 fiol. 8,3 ml	05397227701090	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 5,5 ml + 2 fiol. 8,3 ml	05397227701120	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 5,5 ml + 3 fiol. 8,3 ml	05397227701151	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 5,5 ml + 4 fiol. 8,3 ml	05397227701182	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 5,5 ml + 5 fiol. 8,3 ml	05397227702837	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 5,5 ml + 6 fiol. 8,3 ml	05397227702868	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 5,5 ml + 7 fiol. 8,3 ml	05397227702899	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0

Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 5,5 ml + 8 fiol. 8,3 ml	05397227702905	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	2 fiol. 8,3 ml	05397227701083	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	3 fiol. 8,3 ml	05397227701113	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	4 fiol. 8,3 ml	05397227701144	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	5 fiol. 8,3 ml	05397227701175	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	6 fiol. 8,3 ml	05397227702820	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	7 fiol. 8,3 ml	05397227702851	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	8 fiol. 8,3 ml	05397227702882	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Onasemnogenum abeparvovecum	Zolgensma, roztwór do infuzji, 2 x 10 ¹³ vg/ml	9 fiol. 8,3 ml	05397227702912	9018000,00	9468900,00	9468900,00	B.102.FM.	bezpłatny	0
Risdiplamum	Evrysdi, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 0,75 mg/ml	1 but. po 80 ml	07613326029896	38475,23	40398,99	40398,99	B.102.FM.	bezpłatny	0

Lek Zolgensma został objęty finansowaniem w ramach Funduszu Medycznego ujętego w ustawie z dnia 7 października 2020 r. (Dz.U. z 2020 r. poz. 1875) o Funduszu Medycznym, jako technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności (TLI). Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji, TLI to technologia lekowa stosowana w onkologii lub chorobach rzadkich, która uzyskała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską i która została umieszczona w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (art. 2 pkt 24 b ustawy o refundacji).

Ustalenie poziomu innowacyjności technologii lekowych stosowanych w onkologii lub chorobach rzadkich oraz ustalenie danych gromadzonych w rejestrze medycznym, w

tym między innymi wskaźników oceny efektywności terapii i oczekiwanych korzyści zdrowotnych dokonywane jest przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, zwanej dalej „Agencją”. Agencja określa populację docelową oraz szczegółowe warunki stosowania technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności. Agencja ustala poziom innowacyjności oraz zasady tworzenia wykazu, uwzględniając wiedzę z zakresu oceny technologii medycznych, w szczególności oczekiwane efekty zdrowotne, biorąc pod uwagę między innymi siłę interwencji, jakość danych naukowych, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, wielkość populacji docelowej oraz priorytety zdrowotne.

Minister Zdrowia po zasięgnięciu opinii Rady Przejrzystości, konsultantów krajowych z danej dziedziny medycyny oraz Rzecznika Praw Pacjenta, podjął decyzję o umieszczeniu leku Zolgensma na pierwszej liście technologii o wysokim poziomie innowacyjności na podstawie wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności przekazanego przez Agencję.

Należy również podkreślić, iż refundacja leków (technologii lekowych o wysokiej innowacyjności) ze środków Funduszu Medycznego charakteryzuje się odmienną ścieżką procedowania względem trybu dla innych leków wynikającego z ustawy o refundacji. Aby technologia lekowa o wysokiej innowacyjności (TLI) została objęta refundacją i została ustalona dla niej urzędowa cena zbytu, wniosek taki przechodzi procedurę opisaną w ustawie o refundacji dotyczącą wniosków złożonych w trybie wynikającym z art. 24 ust.1 pkt. 1b ustawy o refundacji. Wniosek o objęciu refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności rozpatruje się w krótszym terminie, z tym, że w przypadku konieczności uzupełnienia danych niezbędnych do rozpatrzenia wniosku, bieg tego terminu ulega zawieszeniu do dnia otrzymania uzupełnienia danych albo do dnia upływu terminu uzupełnienia wniosku. Wnioskodawcy wnioskując o refundację w trybie TLI nie są zobowiązani do przedstawiania pełnych analiz HTA. Ponadto, tryb TLI nie wymaga oceny przeprowadzanej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Przygotowanie Analizy Weryfikacyjnej przez AOTMiT podlega opłacie określonej w art. 35 ust. 3 ustawy o refundacji, a więc dla podmiotu odpowiedzialnego składającego wniosek w trybie TLI oznacza to zwolnienie z ww. opłaty.

Odmienne też, w porównaniu do standardowej ścieżki, przedstawia się proces uzgadniania treści programu lekowego.

Od września br. technologia lekowa Zolgensma dostępna będzie w ramach programu lekowego B.102.FM. LECZENIE CHORYCH NA RDZENIOWY ZANIK MIĘŚNI (ICD-10: G12.0, G12.1). Program lekowy to świadczenie gwarantowane, w ramach którego stosowane jest leczenie z zastosowaniem innowacyjnych i kosztownych substancji czynnych, które nie są finansowane w ramach innych świadczeń gwarantowanych. Leczenie jest prowadzone w wybranych jednostkach chorobowych i obejmuje ściśle zdefiniowaną treścią programu grupę pacjentów.

W opisie programu lekowego wyszczególnione są elementy takie, jak:

- kryteria kwalifikacji do programu
- kryteria uniemożliwiające kwalifikację do programu
- schemat dawkowania leków
- lista badań wykonywanych przy kwalifikacji pacjenta do leczenia oraz podczas monitorowania jego przebiegu
- sposób dokumentowania przebiegu leczenia
- kryteria wyłączenia z programu lekowego.

Warunkiem włączenia do programu lekowego jest spełnienie kryteriów kwalifikacji zawartych w jego opisie jak i wykluczenie czynników wyłączających. W tym miejscu należy wskazać, że decyzja o kwalifikacji i włączeniu do programu lekowego i wyłączeniu chorego z programu, leży w kompetencji lekarza prowadzącego terapię pacjenta. Lekarz kierując się aktualną wiedzą medyczną, korzystając z dostępnych metod diagnostyczno-terapeutycznych decyduje o postępowaniu w określonym stanie klinicznym. Obowiązujący od września br. program lekowy B.102.FM. umożliwi terapię lekiem Zolgensma pacjentom, którzy spełnili łącznie wszystkie poniższe kryteria kwalifikacji:

- 1) pacjenci przedobjawowi i objawowi z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni (SMA) 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2 badani w ramach Rządowego Programu Badań Przesiewowych Noworodków w Polsce lub prenatalnie w Polsce;*
- 2) wiek do 6 miesięcy życia (<180 dni) w momencie podania leku;*
- 3) zachowana zdolność połykania w ocenie lekarza kwalifikującego;*
- 4) ocena w skali CHOP – INTEND powyżej 12 punktów w momencie podania leku;*
- 5) posiadanie aktualnych informacji o szczepieniach obowiązkowych;*
- 6) brak jakiegokolwiek wcześniejszego leczenia z powodu SMA, w tym:*

- a) brak wcześniejszego leczenia z wykorzystaniem substancji czynnej nusinersen lub rysdyplam w ramach niniejszego programu lekowego;
- b) brak wcześniejszego leczenia SMA w ramach badań klinicznych;
- c) brak wcześniejszego leczenia SMA w ramach programów wczesnego dostępu;
- d) brak wcześniejszego leczenia SMA w ramach innego sposobu finansowania terapii;

7) świadoma zgoda rodziców lub opiekunów prawnych pacjenta na warunki programu lekowego oraz harmonogram wizyt.

Agencja przygotowując opracowanie analityczne oceny technologii w ramach Funduszu Medycznego dotyczące produktu Zolgensma, opierała się na dostępnych wówczas badaniach rejestracyjnych: AVXS-101-CL-303¹, AVXS-101-CL-101², AVXS-101-LT-001³ (badanie obserwacyjne do badania zostali włączeni pacjenci, którzy otrzymali lek Zolgensma w badaniu klinicznym AVXS-101-CL-101, genowej terapii zastępczej w SMA typu 1), AVXS-101-CL-304⁴. Kryterium wiekowe wynika bezpośrednio z głównego badania rejestracyjnego leku Zolgensma AVXS-101-CL-303, w którym to jednym z kryteriów włączenia do badania był wiek pacjentów od 0,5 do 5,9 miesięcy (< 6 miesięcy). Niemniej jednak, w każdym z ww. badań rejestracyjnych produktu lekowego Zolgensma jednym z głównych kryteriów kwalifikacji do badania było kryterium wiekowe, a nie masa ciała uczestnika.

W rozdziale dotyczącym skuteczności i bezpieczeństwa leczenia charakterystyki produktu leczniczego Zolgensma⁵, przytaczane są wyniki badania:

- AVXS-101-CL-303, badanie III fazy u pacjentów z SMA typu 1 – gdzie średni wiek 22 pacjentów w czasie leczenia wyniósł 3,7 miesiąca (od 0,5 do 5,9 miesięcy).
- AVXS-101-CL-302, badanie III fazy z udziałem pacjentów z SMA typu 1 – gdzie średni wiek 33 pacjentów w momencie leczenia wynosił 4,1 miesiąca (zakres od 1,8 do 6,0 miesięcy).

¹ Źródło: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03306277?term=NCT03306277&draw=2&rank=1> (dostęp 25.08.2022 r.)

² Źródło: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02122952?term=NCT02122952&draw=2&rank=1> (dostęp 25.08.2022 r.)

³ Źródło: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03421977?term=NCT03421977&draw=2&rank=1> (dostęp 25.08.2022 r.)

⁴ Źródło: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03505099?term=NCT03505099&draw=2&rank=1> (dostęp 25.08.2022 r.)

⁵ Źródło: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information_pl.pdf (dostęp 25.08.2022 r.)

- AVXS-101-CL-304, badanie fazy III u pacjentów z SMA przed pojawieniem się objawów choroby – gdzie oceniany lek podawano noworodkom w wieku do 6 tygodni przed pojawieniem się objawów choroby.

Badania III fazy stanowią ostateczne potwierdzenie skuteczności i bezpieczeństwa badanej technologii w stosunku do populacji docelowej. Wyniki tych badań stanowią podstawę rejestracji produktów leczniczych stosowanych u ludzi, a w przypadku przedmiotowej terapii genowej były to badania przeprowadzane na populacji we wczesnym wieku. Europejska Agencja Leków (*European Medicines Agency*) w swoim raporcie EPAR (*European Public Assessment Report*) oceniającym produkt leczniczy Zolgensma⁶, również podkreśliła wspomniane powyżej kryterium wiekowe.

Należy mieć również na uwadze, iż zapisy programów lekowych uzgadniane są każdorazowo z gronem specjalistów klinicznych w odpowiedniej dziedzinie medycyny. W kwestii przedmiotowego programu lekowego nie było wyjątku. Zespół ekspertów kilkakrotnie opiniował aspekty kliniczne programu lekowego B.102.FM., a jego ostateczny kształt został zaakceptowany przez wszystkie strony uczestniczące w procesie jego wdrażania, w tym również podmiot odpowiedzialny.

Niezależnie od powyższego, od września 2022 r. pacjenci, którzy nie zostaną zakwalifikowani do leczenia wspomnianą terapią genową nie pozostają bez możliwości skutecznego leczenia. Jak wskazano w stanowisku Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych oraz Fundacji SMA⁷, „*nieprawdą jest, że jakimkolwiek dziecku choremu na SMA w Polsce grozi śmierć*”, przez wzgląd na dostęp do nowoczesnego leczenia nusinersenem w pełni finansowanego z budżetu państwa od 2019 r. Zaznaczono wówczas, iż większość dzieci, dla których prowadzone są zbiórki na lek Zolgensma, wykazuje bardzo dobrą odpowiedź na leczenie prowadzone z użyciem refundowanej technologii. Jednocześnie, stanowisko wskazało na brak dowodów przemawiających za przewagą terapii genowej nad nusinersenem, a także poruszona została kwestia działań niepożądanych i ustalonych w związku z tym ograniczeń dotyczących stosowania terapii genowej. W świetle powyższego, wszyscy pacjenci w Polsce mają dostęp do finansowanej ze środków publicznych, skutecznej terapii rdzeniowego zaniku mięśni.

⁶ Źródło: https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/zolgensma-epar-public-assessment-report_en.pdf (dostęp 25.08.2022 r.)

⁷ Wspólne stanowisko Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych oraz Fundacji SMA w sprawie leczenia genowego w rdzeniowym zaniku mięśni; Gdańsk / Warszawa, 10 października 2020 r.

Od września br. poza włączeniem do finansowania ze środków publicznych produktu Zolgensma, udostępniono nową, dodatkową opcję terapeutyczną dla pacjentów cierpiących na SMA – rysdyplam (lek Evrysdi). Lek ten ma postać roztworu do podania doustnego, który przyjmuje się raz dziennie. Ponieważ lek podawany jest doustnie, a z rdzeniowym zanikiem mięśni u części chorych wiąże się ze znaczącym skrzywieniem kręgosłupa, doustna droga podania jest preferowana u chorych, u których nakłucie lędźwiowe może być trudne do wykonania lub przeciwwskazane. W związku z tym, do leczenia rysdyplamem w ramach programu lekowego B.102.FM. kwalifikowani są pacjenci w wieku 2 miesięcy i starsi z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub pacjenci posiadający od jednej do czterech kopii genu SMN2, u których stwierdzone zostały przeciwwskazania do leczenia nusinersenem.

Warto również podkreślić, iż od ponad trzech lat w Polsce ze środków publicznych finansowane jest leczenie rdzeniowego zaniku mięśni, gdyż od 1 stycznia 2019 r. Minister Zdrowia objął refundacją lek Spinraza (nusinersen) w ramach programu lekowego „Leczenie rdzeniowego zaniku mięśni” w populacji przedobjawowych i objawowych pacjentów z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzonego badaniem genetycznym. Powyższe oznacza, że od ponad trzech lat cała populacja chorych jest zabezpieczona w skuteczne i bezpłatne leczenie. W ocenie środowiska medycznego wspomniany powyżej lek nusinersen (Spinraza) zapoczątkował przełom w leczeniu pacjentów cierpiących na SMA.

W tym miejscu należy również podkreślić to, jak znaczącą rolę w wykrywaniu chorób u najmłodszych pacjentów ma Rządowy program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022. W ramach Programu prowadzone i finansowane są badania przesiewowe, które umożliwiają wykrycie kilkudziesięciu chorób wrodzonych. Wykrycie chorób i wprowadzenie właściwego leczenia zapobiegają zaburzeniom rozwoju i ciężkiej niepełnosprawności intelektualnej i fizycznej wykluczającej samodzielne funkcjonowanie osoby chorej w społeczeństwie. Program przesiewowy skierowany jest do wszystkich dzieci urodzonych w Rzeczypospolitej Polskiej, bez względu na narodowość opiekunów prawnych oraz status ubezpieczenia.

Realizatorem tego programu jest Instytut Matki i Dziecka (IMiD) w Warszawie. W ramach programu prowadzone są badania w kierunku zdiagnozowania m.in.:

- wrodzonej niedoczynności tarczycy (hipotyreozy);
- fenyloketonurii (PKU);

- mukowiscydozy (CF);
- rzadkich wad metabolizmu metodą MS/MS (grupa 24 chorób);
- wrodzonego przerostu nadnerczy;
- deficytu biotynidaz;
- rdzeniowego zaniku mięśni (SMA).

Pacjenci poddani zostają padaniom już w pierwszych dobach życia. Badania przesiewowe SMA w ramach niniejszego programu polityki zdrowotnej, zostały zainicjowane w kwietniu 2021 w ramach pilotażu. Jednakże, od 28 marca 2022 r. badania przesiewowe noworodków w kierunku SMA objęły całą populację. Zgodnie z najnowszymi informacjami przekazanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia, od początku wdrożenia badań przesiewowych ukierunkowanych na SMA – kwiecień 2021, zdiagnozowano 38 noworodków z SMA na 281 817 zbadanych noworodków. W efekcie, możliwym jest diagnozowanie noworodków chorych na SMA jeszcze przed wystąpieniem objawów choroby i zastosowanie odpowiedniego leczenia.

Ministerstwo Zdrowia w ostatnim czasie w znacznym stopniu wspiera polskich pacjentów cierpiących na choroby rzadkie, gwarantując im dostęp do innowacyjnych i kosztownych terapii w ramach finansowania ze środków publicznych. Najlepszym wyznacznikiem powyższego są statystyki za pierwsze półrocze roku 2022 r. obejmujące obwieszczenia nr 61, 62 i 63, gdzie spośród 46 nowych cząsteczko-wskazań, aż 20 dotyczyło wskazań w chorobach rzadkich. Niewątpliwie warto również podkreślić, iż ostatnio opublikowane obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 22 sierpnia 2022 r., w znacznym stopniu dotyczyło nowych cząsteczko-wskazań lub nowych technologii medycznych wykorzystywanych w chorobach rzadkich utrzymując tendencję z pierwszego półrocza. Poza wspomnianą terapią genową Zolgensma i doustnym lekiem Evrysdi stosowanym u chorych na SMA, na nowym wykazie uwzględnione zostały: dwie nowe terapie w leczeniu lekoopornej gruźlicy – lek Dovprela i Sirturo, terapia odczulająca wykorzystywana u wysoko immunizowanych biorców przeszczepu nerki – lek Idefix, a także nowe terapie i cząsteczko-wskazania w leczeniu chorych na ostrą białaczkę szpikową. Wszystkie wspomniane powyżej terapie dotyczyły wskazań w chorobach rzadkich, jednocześnie obwieszczeniem wrześniowym zamknięte zostały prace nad refundacją leków z pierwszej listy technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności – od września br. wszystkie będą refundowane.

Na zakończenie, należy podkreślić, iż resort zdrowia przykłada bardzo dużo uwagi do problemów pacjentów cierpiących na SMA, czego efektem są systematycznie wdrażane rozwiązania dla tej grupy chorych. Jednocześnie, należy mieć na względzie zasobność budżetu Państwa i ogrom potrzeb zdrowotnych polskich obywateli, który powoduje, że nie sposób jest sprostać oczekiwaniom wszystkich chorych. Jednakże, działając w ramach obowiązujących przepisów oraz starannie równoważąc interesy wszystkich grup pacjenckich partycypujących w refundacji, a także kładąc szczególny nacisk na dbanie o dyscyplinę finansów publicznych, podejmowane są wielokierunkowe działania celem udostępniania pacjentom możliwie największej liczby opcji terapeutycznych. Przy czym, należy podkreślić, iż realizując politykę lekową państwa, Minister Zdrowia kieruje się zasadami medycyny opartej na dowodach naukowych (EBM- Evidence - Based Medicine) oraz ocenie technologii medycznych (HTA – Health Technology Assesment), co zapewnia przejrzystość i racjonalność podejmowanych decyzji o alokacji środków publicznych.

Z poważaniem
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Maciej Miłkowski
Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/