



Warszawa, 15-12-2022 r.

RZECZNIK PRAW OBYWATELSKICH

Marcin Wiącek

V.7013.61.2022.ETP

Pan

Maciej Miłkowski

Podsekretarz Stanu

Ministerstwo Zdrowia

via ePUAP

Wielce Szanowny Panie Ministrze!

Uprzejmie dziękuję Panu Ministrowi za obszernie wyjaśnienia z dnia 24 września 2022 r. w sprawie problematyki dostępu do refundacji leku Zolgensma dla dzieci zmagających się z chorobą SMA.

Pozwolę sobie przypomnieć, że w ostatnim wystąpieniu do Pana Ministra przedstawiłem wątpliwości dotyczące tego, że w odniesieniu do leczenia produktem Zolgensma dzieci cierpiące na SMA w wieku powyżej 6 miesięcy nie otrzymają szansy na terapię tym lekiem, mimo iż mogą znajdować się w analogicznej sytuacji zdrowotnej do dzieci spełniających to kryterium. Kluczowe jest bowiem to, czy kryterium wieku jest optymalne z punktu widzenia decyzji o refundowaniu tego leku ze środków publicznych. W tym przypadku pojawiają się zasadnicze wątpliwości.

Moje wystąpienie do Ministra Zdrowia miało na celu podkreślenie, że kryteria refundacji tak kosztownego leku, jak Zolgensma, powinny być określone ze szczególną troską o to, aby żadna z potrzebujących osób nie czuła się pokrzywdzona, dyskryminowana czy potraktowana niesprawiedliwie przez państwo. Analiza rozwiązań przyjętych w innych krajach, a także wypowiedzi części ekspertów, świadczą

o tym, że skuteczność leku jest uzależniona przede wszystkim od wagi dziecka oraz wskazań lekarskich.

Niestety, w przesłanym piśmie stanowiącym odpowiedź na moje wystąpienie, nie znajduję informacji odnoszących się do wszystkich wskazanych przeze mnie wątpliwości. Uwidacznia się to w szczególności w braku odniesienia się do dostępnej na stronie Europejskiej Agencji Leków (EMA) charakterystyki produktu Zolgensma, z której wynika, że nie zostało wprowadzone ograniczenie wiekowe do stosowania tego leku¹. Natomiast są tam zawarte informacje, że ograniczone jest doświadczenie ze stosowania produktu u pacjentów w wieku 2 lat lub powyżej lub o masie ciała powyżej 13,5 kg. W tym zakresie trudno doszukać się odniesienia do analizy rozwiązań przyjętych w innych krajach, a także wypowiedzi części ekspertów, które świadczą o tym, że skuteczność leku jest uzależniona przede wszystkim od wagi dziecka oraz wskazań lekarskich.

Jednocześnie brak jest nawiązania do podkreślanego przeze mnie stwierdzenia – na podstawie sytuacji pacjentów przedstawionych na stronie internetowej Fundacji SMA, którzy otrzymali lek Zolgensma w wyniku zbiórek dla dzieci w 9 miesiącu życia, czy sytuacji, w których pierwsze objawy nastąpiły dopiero gdy pacjent był około 9-10 miesiąca życia, a diagnozę otrzymał, gdy miał już 15 miesięcy, natomiast terapię genową lekiem Zolgensma uzyskał dopiero gdy miał ok. 19 miesięcy² – że lek Zolgensma jest uznawany za skuteczny w przypadku dzieci starszych niż 6 miesięcy, skoro obecnie dopuszczalne jest jego podanie takim dzieciom, według wskazań lekarza, o ile rodzicom tych dzieci uda się uzyskać wystarczające środki finansowe. Okoliczność ta uprawnia do postawienia pytania, czy przyjęte kryterium wieku 6 miesięcy rzeczywiście pozostaje w bezpośrednim i koniecznym związku ze skutecznością Zolgensmy i czy nie jest możliwe odwołanie się do parametru, jakim jest waga dziecka, który to parametr – po pierwsze – jest obecny w dokumentach Europejskiej Agencji Leków, a także jest stosowany w innych państwach oraz – po drugie – nie budziłby aż takich kontrowersji z punktu widzenia zasady sprawiedliwości społecznej.

W stanowisku Pana Ministra nie znajduję również w pełni wyczerpującego wyjaśnienia kwestii dotyczącej tego, że z refundacji będą wyłączone dzieci – również te do 6 miesięcy – które już były poddane terapii innym lekiem. Jak stwierdza Pan

¹ https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information_pl.pdf [dostęp: 24.11.2022 r.]

² <https://www.fsma.pl/2021/04/zebralismy-na-terapię-genową-historia-trzech-rodzin/> [dostęp: 24.11.2022 r.]

Minister w przedmiotowym piśmie: „zapisy obowiązującego do końca sierpnia 2022 r. programu lekowego B.102. Leczenie rdzeniowego zaniku mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1) w ramach którego refundowany był wyłącznie lek Spinraza (nusinersen) nie dyskwalifikowały pacjentów, którzy przyjęli lek Zolgensma. Co więcej, jeden z zapisów umożliwiał kwalifikację pacjentów, którzy wcześniej przyjęli lek Zolgensma (onasemnogene abeparvovec) w ramach innych ścieżek dostępu do leczenia. Warunkiem było zaraportowanie tego faktu w dokumentacji takiego pacjenta. Zapis ten brzmi następująco: W przypadku pacjentów, którzy wcześniej otrzymali leczenie onasemnogene abeparvovec, risdiplamem lub branaplamem w ramach badań klinicznych, programów wczesnego dostępu lub w ramach innego sposobu finansowania terapii, we wniosku dotyczącym włączenia do programu lekowego konieczne jest zaraportowanie tych terapii wraz z podaniem czasu ich trwania oraz ich skuteczności, czyli liczby punktów w odpowiedniej skali funkcjonalnej sprzed terapii i po jej zakończeniu”.

Oznacza to, że pacjenci, którzy przyjęli terapię genową lekiem Zolgensma (w ramach zbiorów publicznych) nie byli wykluczani w przyjęciu leku Spinraza (nusinersen) refundowanego w ramach programu lekowego.

Niemniej zaprezentowany przez Ministerstwo Zdrowia stan faktyczny nie odnosi się w pełni do problemu podniesionego przez Rzecznika w wystąpieniu. Występująca problematyczna okoliczność dotyczy bowiem sytuacji, w której pacjent przyjął wcześniej w ramach programu lekowego np. lek Spinraza (nusinersen) i jest to dyskwalifikujące w przyjęciu refundowanego leku Zolgensma.

Powyższy zapis wynika wprost z Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 20 października 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 listopada 2022 r., załącznik B.102.FM. Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1). Powyższy program lekowy umożliwia leczenie z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparvovek (Zolgensma) pacjentom, którzy spełnili m.in. następujące kryteria kwalifikacji: brak jakiegokolwiek wcześniejszego leczenia z powodu SMA, w tym: a) brak wcześniejszego leczenia z wykorzystaniem substancji czynnej nusinersen lub rysdiplam 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.

Oznacza, to że refundacja terapii genowej będzie obejmowała w zasadzie tylko te dzieci, które urodzą się po wejściu w życie nowych przepisów oraz dzieci, które

uprzednio nie korzystały z leczenia w ramach programu lekowego preparatem Spinraza (nusinersen) lub rysdyplamem.

Powyższe może budzić wątpliwości w kontekście przekazanych Rzecznikowi informacji otrzymanych od Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 25 lipca 2022 r., gdzie z danych sprawozdawanych przez świadczeniodawców w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych (SMPT) wynikało, że w ramach programu lekowego B.102. leczonych lekiem Spinraza (nusinersen) było 11 pacjentów, u których zastosowano również preparat Zolgensma (zakupiony ze środków własnych pacjentów lub ze zbiorów publicznych). Wobec powyższego, występowały sytuacje, gdy pacjenci w ramach programu lekowego byli leczeni lekiem Spinraza (nusinersen) i otrzymywali również lek Zolegnsma (tylko poza programem - ze środków własnych pacjentów lub ze zbiorów). Niniejsza okoliczność, nasuwa pytanie, czy na zastosowane kryterium kwalifikacji do terapii genowej nie miała wpływu przede wszystkim kwestia finansowania i zasobność budżetu państwa.

Pozytywne są informacje płynące z przestrzeni publicznej, że jeden pacjent skorzystał z terapii Zolgensmą oraz jeszcze trzech pacjentów zakwalifikowanych otrzyma lek³. Niemniej nie dotyczy to wszystkich pacjentów, którzy ubiegali się o możliwość refundacji tym lekiem.

Jak zapewne Panu Ministrowi wiadomo w dniu 5 października br. w trakcie posiedzenia sejmowej Komisji Zdrowia rozmawiano o zakresie refundacji leku dla dzieci z SMA – Zolgensma. Parlamentarzyści ponownie pytali przedstawicieli resortu zdrowia o to, jakie szanse na otrzymanie terapii genowej mają dzieci, które obecnie nie kwalifikują się do refundacji. Fundamentalna może być w tym kontekście możliwość refundacji leczenia terapią genową w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL).

Zgodnie z art. 15 ust. 2 pkt. 17a ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r. poz. 1285, dalej: ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej), świadczeniobiorcy przysługują świadczenia gwarantowane z zakresu ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

³ <https://pulsmedycyny.pl/pierwszy-pacjent-z-sma-otrzymal-refundowana-terapię-genowa-do-sejmu-wrocil-spor-o-lek-1165822> [dostęp: 23.11.2022 r.].

Należy zauważyć, że procedura ta może być zastosowana w przypadku uzasadnionej i wynikającej ze wskazań aktualnej wiedzy medycznej potrzeby zastosowania u świadczeniobiorcy leku, który nie jest finansowany ze środków publicznych w danym wskazaniu, jeżeli jest to niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia świadczeniobiorcy we wskazaniu występującym u jednostkowych pacjentów, a zostały już wyczerpane u danego świadczeniobiorcy wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych, dopuszcza się podanie leku finansowanego w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej, pod warunkiem uzyskania przez świadczeniodawcę pozytywnej opinii konsultanta krajowego w dziedzinie medycyny odpowiedniej ze względu na chorobę lub problem zdrowotny świadczeniobiorcy albo konsultanta wojewódzkiego w tej dziedzinie, która zawiera ocenę zasadności zastosowania tego produktu leczniczego u danego świadczeniobiorcy (art. 47d).

Istotna w tym przypadku może być przesłanka wyczerpania u danego świadczeniodawcy wszystkich możliwych do zastosowania w tym wskazaniu dostępnych technologii medycznych finansowane ze środków publicznych. Powyższe oznacza, że wobec danego świadczeniobiorcy podejmowane już były nieskuteczne próby interwencji medycznej, jednakże przebieg procesu leczniczego świadczy o tym, że brak jest jakichkolwiek skutecznych opcji terapeutycznych, które mogą być pacjentowi zaoferowane w ramach systemu powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego⁴. Bowiem wystąpić może sytuacja, w której pacjent w ramach granic wyznaczonych przez wskazania refundacyjne nie uzyska terapii lekiem Zolgensma, a będzie mógł być zakwalifikowany do terapii lekiem Spinraza (nusinersen) lub Evrysti. Wówczas wydaje się być niezmiernie ważne to, czy Ministerstwo Zdrowia dostrzeże możliwość podania leku Zolgensma w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej, w sytuacji, gdy u pacjenta wystąpiła np. nieskuteczność leczenia lekiem Spinraza (nusinersen) lub Evrysti – a więc pacjent wyczerpał wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych.

Wobec powyższego, na podstawie art. 13 ust. 1 pkt 2 ustawy z dnia 15 lipca 1987 r. o Rzeczniku Praw Obywatelskich (Dz. U. z 2020 r., poz. 627 ze zm.), zwracam

⁴ A. Pietraszewska-Macheta (red.), Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych. Komentarz, wyd. III, LEX.

się do Pana Ministra z uprzejmą prośbą o ponowne zbadanie sprawy i szczegółowe odniesienie się do wszystkich podniesionych przeze mnie kwestii.

Z wyrazami szacunku

Marcin Wiącek

Rzecznik Praw Obywatelskich

/-podpisano elektronicznie/