

Interpelacja nr 1246

do ministra zdrowia

w sprawie wpisania preparatu myozyme - niezbędnego do leczenia choroby Pompego - na listę leków refundowanych

Szanowna Pani Minister! Na niezwykle rzadką, osłabiającą i w przypadku braku leczenia często śmiertelną chorobę nerwowo-mięśniową, zwaną chorobą Pompego, cierpi w naszym kraju 15 osób. Od ubiegłego roku ich najbliżsi czynią wszelkie możliwe starania, by uzyskać w Ministerstwie Zdrowia i Narodowym Funduszu Zdrowia refundację terapii, która jest dla nich jedyną nadzieją na powstrzymanie postępów choroby i uratowanie życia chorych.

Z informacji, które zapewne posiada również Pani Minister, a pochodzących ze Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę i choroby pokrewne, wiemy, jak trudną drogę przechodzi opinia Rady Agencji Oceny Technologii Medycznych rekomendująca ministrowi zdrowia finansowanie leczenia choroby Pompego preparatem myozyme. Niezależnie od tego i całych niezrozumiałych "zawiłości", które temu towarzyszą, należy z całą stanowczością stwierdzić, że w całej Europie nie ma wątpliwości co do skuteczności leczenia wspomnianym preparatem. Stanowi on zresztą pierwszy i jedyny lek na naszym kontynencie przeznaczony do leczenia choroby Pompego. Jak wiadomo, nawet miesięczny koszt przyjmowania leku przerasta możliwości finansowe chorych i ich rodzin, a chodzi przecież o wieloletnią terapię. Wszelkie opóźnienia w leczeniu prowadzą do tracheotomii, co z kolei powoduje nieodwracalne skutki i cierpienie do końca życia.

Biorąc powyższe pod uwagę oraz przypominając raz jeszcze, że chorobę Pompego zdiagnozowano w naszym kraju w przypadku 15 osób, prosimy Panią Minister o odpowiedź na pytania:

1. Jakie są w najbliższym czasie szanse na wdrożenie programu terapeutycznego dla niemowlęcej i późniejszej postaci choroby Pompego z ustanowieniem obowiązku prowadzenia rejestru i weryfikacji jego skuteczności po dwóch latach?
2. Czy i kiedy przewiduje Pani poczynić stosowne kroki dla umożliwienia wpisania preparatu myozyme na listę leków refundowanych?
3. Czy przewiduje Pani rychłą możliwość wpisania choroby Pompego na listę chorób przewlekłych, co w konsekwencji stworzy możliwości lepszej opieki nad chorymi?

Z poważaniem

Poseł Marzena Okła-Drewnowicz

oraz grupa posłów

Warszawa, dnia 7 lutego 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -

na interpelację nr 1246

w sprawie wpisania preparatu myozyme - niezbędnego do leczenia choroby Pompego - na listę leków refundowanych

Szanowny Panie Marszałku! W związku z interpelacją pani Marzeny Okła-Drewnowicz, pani Iwony Guzowskiej, pani Renaty Zaremby, pani Magdaleny Gąsior-Marek, pani Agnieszki Hanajczyk, pani Danuty Olejniczak, pana Artura Gierady, pana Marka Plury, pana Janusza Dzieciola, pana Marka Cebuli, posłów na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 25 lutego 2008 r. (SPS-023-1246/08), w sprawie wpisania preparatu myozyme - niezbędnego do leczenia choroby Pompego - na listę leków refundowanych, przekazuję uprzejmie następujące informacje.

Warunki udzielania i zakres świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych zostały określone w przepisach ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. Nr 210, poz. 2135, z późn. zm.), aktach wykonawczych do ww. ustawy oraz zarządzeniach prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia dotyczących postępowań w sprawie zawarcia umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w poszczególnych rodzajach i zakresach.

Podstawą udzielania świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych przez fundusz, zgodnie z art. 132 ww. ustawy, jest umowa o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej zawarta pomiędzy świadczeniodawcą a dyrektorem oddziału wojewódzkiego funduszu. Wysokość łącznych zobowiązań Narodowego Funduszu Zdrowia wynikających z zawartych ze świadczeniodawcami umów nie może przekroczyć wysokości wydatków przewidzianych na ten cel w planie finansowym funduszu. W związku z powyższym należy wskazać, iż kwestia dotycząca zwiększenia nakładów na świadczenia opieki zdrowotnej jest ściśle powiązana z poziomem środków finansowych, jakimi dysponuje NFZ.

Odnosząc się do pytań, uprzejmie informuję.

1. Podjęcie decyzji dotyczącej ewentualnego uruchomienia programu terapeutycznego następuje po uzyskaniu rekomendacji Agencji Oceny Technologii Medycznych. Należy podkreślić, że terapeutyczny program wprowadza się w odniesieniu do określonego wskazania medycznego, określonej populacji chorych. Produkt leczniczy myozyme jest lekiem innowacyjnym, którego skuteczność i efektywność kosztowa są przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych.

Biorąc pod uwagę koszt terapii lekami sierocymi, w celu zdiagnozowania konieczności objęcia leku programem terapeutycznym zasadna jest znajomość skuteczności preparatu, jego profilu bezpieczeństwa, opłacalności terapii. W chwili obecnej wskazanie konkretnego terminu zakończenia prac i podjęcia decyzji dotyczących finansowania terapii choroby Pompego lekiem myozyme nie jest możliwe.

2. Zapewnienie pacjentom dostępu do terapii chorób rzadkich zależy od wielu czynników, które muszą być spełnione przy podejmowaniu decyzji w tym zakresie.

Nie przewiduję wpisania leku myozyme do wykazu chorób przewlekłych m.in. ze względu na niewielką grupę pacjentów ze wskazaniem do stosowania wymienionego leku i wysokie koszty farmakoterapii. Przyjęte rozwiązania zakładają finansowanie terapii chorób rzadkich w ramach programów terapeutycznych finansowanych ze środków pozostających w dyspozycji Narodowego Funduszu Zdrowia.

3. Nie przewiduję wpisania chorób rzadkich, w tym choroby Pompego, do wykazu chorób przewlekłych. Pragnę zapewnić, że minister zdrowia podjął niezbędne działania, których celem jest zwiększenie dostępu pacjentów cierpiących na choroby rzadkie do terapii lekami innowacyjnymi w ramach programów terapeutycznych.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 19 marca 2008 r.