

Interpelacja nr 1549

do ministra zdrowia

w sprawie udzielenia pomocy rodzinom osób chorych na glikogenezę typu II (choroba Pompego)

W związku z podjętą przeze mnie interwencją poselską wobec pacjentów i ich rodzin zwracam się z uprzejmą prośbą o sprecyzowanie zamierzeń kierowanego przez Panią Ministerstwa Zdrowia co do osób chorych na chorobę Pompego.

W pierwszej kolejności należy nadmienić, iż choroba Pompego, znana również jako glikogenoza typu II, jest rzadką, chroniczną, osłabiającą i śmiertelną chorobą nerwowo-mięśniową dotykającą mniej niż 10 000 niemowląt, dzieci oraz dorosłych na całym świecie. Jest to forma dystrofii mięśniowej będąca lizosomalną chorobą spichrzeniową. Choroba Pompego wywoływana jest niedoborem lub nieprawidłowym działaniem enzymu naturalnie występującego w lizosomach komórek. Wada ta powoduje magazynowanie glikogenu w lizosomach komórek, powodując postępujące uszkodzenie mięśni oraz utratę funkcji mięśni.

Na podstawie badań przeprowadzonych w Holandii oraz Stanach Zjednoczonych ocenia się, że choroba Pompego występuje w 1 na 40 000 przypadków żywych urodzeń na świecie. Choroba Pompego dotyczy w równym stopniu kobiet, jak i mężczyzn. W Polsce zdiagnozowanych jest 15 pacjentów, z tego trójka dzieci otrzymuje doraźnie leczenie refundowane przez Podkarpacki OW NFZ w ramach farmakoterapii niestandardowej.

W tym miejscu warto wskazać, iż nowa enzymatyczna terapia zastępcza (ERT) preparatem myozyme TM (alfa-glukozydaza) uzyskała w styczniu 2006 r. pozytywną opinię Komisji ds. Produktów Leczniczych do stosowania u Ludzi (CHMP) Europejskiej Agencji Leków i uzyskała pozwolenie na dopuszczenie myozyme do obrotu w celu leczenia choroby Pompego. Myozyme stanowi pierwszy i jedyny lek w Europie przeznaczony do leczenia choroby Pompego. Zadaniem ERT jest przywrócenie działania GAA, co spowoduje obniżenie poziomu glikogenu w lizosomach mięśni. Enzym zastępczy jest opracowywany metodą inżynierii genetycznej w laboratorium i podawany jest dożylnie. W związku z powyższym w drugiej połowie listopada 2007 r. po posiedzeniu Rady Konsultacyjnej AOTM Rada zarekomendowała ministrowi zdrowia finansowanie leczenia choroby Pompego preparatem myozyme, w nowo rozpoznanej i niemowlęcej postaci.

Rada Konsultacyjna AOTM podjęła decyzję o rekomendacji leczenia po zapoznaniu się ze stanowiskami specjalistów oraz opiniami organizacji pacjentów. Przy podawaniu enzymu od bardzo wczesnego stadium choroby skuteczność terapii mogłaby osiągnąć blisko 100%. W przypadku zastosowania enzymu u pacjentów, u których stwierdzono objawy kliniczne, czyli osłabienie funkcji mięśni (zwłaszcza mięśni oddechowych), efekt może być mniejszy, ale jednak ratujący życie i zapobiegający na ogół nieodwracalnej tracheotomii skazującej chorego na korzystanie z respiratora do końca życia. Rada uzyskała informację na temat bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leku myozyme - lek ten miał bardzo silne podstawy do rejestracji w Unii Europejskiej w zakresie efektywności klinicznej. W UE uzyskał status sierociego produktu medycznego. Dostarczone Radzie AOTM dziesiątki indywidualnych opinii chorych na chorobę Pompego z całego świata, ich lekarzy oraz członków rodzin na temat leku myozyme są bardzo pozytywne. Unia Europejska uznaje leczenie chorób rzadkich za priorytetowe. W większości krajów UE finansowane jest leczenie wszystkich postaci choroby u zdiagnozowanych pacjentów.

Należy na końcu przytoczyć słowa prezesa Rady Ministrów, które padły w trakcie exposé w dniu 23 listopada 2007 r., "musimy zreformować politykę refundacji leków. W świetle ostatnich zdarzeń okazuje się to potrzebą palącą. Będziemy dokonywać co trzy miesiące

przeгляdu listy leków refundowanych. Chcemy kierować się skutecznością terapeutyczną leku oraz relacją ceny leku w Polsce i w innych krajach Unii Europejskiej. Chcemy przede wszystkim uwzględnić na liście leków refundowanych preparaty stosowane w rzadkich schorzeniach pediatrycznych. Ceny leków nie mogą odstraszać od ich stosowania, szczególnie tych pacjentów, którzy znaleźli się w dramatycznej sytuacji...”.

Dlatego też celowe i uzasadnione, realizując dezyderaty przedstawione przez premiera Donalda Tuska, jest podjęcie działań, które doprowadzą do pełnej pomocy osobom cierpiącym na to schorzenie, jak również ich rodzinom.

W tym zakresie zgłaszam interpelację poselską:

1. Jakie środki faktyczne i prawne ma zamiar podjąć kierowane przez Panią Ministerstwo Zdrowia, aby udzielić pomocy osobom chorym na niniejsze schorzenie?

2. Kiedy wszystkie osoby dotychczas zdiagnozowane mogą liczyć na refundowanie kosztów zastosowania względem nich nowej enzymatycznej terapii zastępczej preparatem myozymem?

Mając zatem powyższe na uwadze, proszę Panią Minister o ustosunkowanie się do przedstawionej kwestii i stosowną odpowiedź w trybie regulowanym ustawą o wykonywaniu mandatu posła i senatora.

Z poważaniem

Poseł Józef Rojek

Tarnów, dnia 27 lutego 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -

na interpelację nr 1549

w sprawie udzielenia pomocy rodzinom osób chorych na glikogenezę typu II (choroba Pompego)

Szanowny Panie Marszałku! W związku z interpelacją pana Józefa Rojka, posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 6 marca 2008 r. (SPS-023-1549/08), w sprawie udzielenia pomocy rodzinom osób chorych na glikogenezę typu II (choroba Pompego), uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

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. Podzielam troskę pana posła w sprawie dostępu pacjentów cierpiących na rzadkie choroby do innowacyjnych terapii lekowych. Kwestia chorób rzadkich, do których należy choroba Pompego, i leków sierocych wymaga specjalnych rozwiązań organizacyjnych i prawnych. Mając na uwadze złożoność problematyki związanej z finansowaniem leków sierocych i chorób rzadkich, Ministerstwo Zdrowia w porozumieniu z Narodowym Funduszem Zdrowia podjęło niezbędne działania zmierzające do wypracowania wspólnego stanowiska w przedmiotowej sprawie i podjęcia wiążących decyzji w kwestii finansowania terapii lekami sierocymi. Równocześnie opracowany został projekt zarządzenia ministra zdrowia w sprawie powołania Zespołu do Spraw Chorób Rzadkich. Przedmiotowe zarządzenie ma na celu powołanie zespołu jako ciała doradczego w sprawach przedstawiania propozycji rozwiązań w zakresie terapii chorób rzadkich oraz ich finansowania.

Koordinacja leczenia chorób rzadkich na szczeblu krajowym, wprowadzenie regulacji prawnych, wypracowanie stanowiska odnośnie do finansowania leków sierocych pozwoli na zwiększenie dostępu do terapii chorób rzadkich z zastosowaniem leków o statusie uprzywilejowanym.

2. Produkt leczniczy [myozyme](#) jest lekiem innowacyjnym, którego skuteczność oraz efektywność kosztowa są przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych. Należy wyjaśnić, że celem wprowadzenia przyjętych kryteriów oceny technologii medycznych, na podstawie ustaleń ministra zdrowia, wnioski o objęcie dopłatami ze środków publicznych produktów leczniczych innowacyjnych są kierowane do oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych.

Wprowadzone zmiany w tym zakresie mają na celu zwiększenie przejrzystości polityki refundacyjnej państwa i doprowadzenie polskiego prawa do pełnej zgodności z wymogami określonymi w dyrektywie transparencyjności (dyrektywa Rady 89/105/EWG z dnia 21 grudnia 1988 r.). Istotną rolę w zakresie zwiększenia przejrzystości polityki refundacyjnej spełnia Agencja Oceny Technologii Medycznych. Agencja Oceny Technologii Medycznych została powołana zarządzeniem ministra zdrowia i do zadań jej należy m.in. opracowywanie rekomendacji dla ministra właściwego do spraw zdrowia dotyczących 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.

Jednocześnie uprzejmie informuję, że Agencja Oceny Technologii Medycznych zarekomendowała finansowanie ze środków publicznych leczenie choroby Pompego przy pomocy alglukozydazy alfa ([myozyme](#)) z ograniczeniem wyłącznie do noworozpoznanej i niemowlęcej choroby Pompego i obecnie trwają prace związane z opracowaniem programu terapeutycznego.

Natomiast w związku z wątpliwościami co do skuteczności leku myozyme u pacjentów z późniejszą postacią choroby, wniosek w tej sprawie jest przedmiotem oceny agencji.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 28 marca 2008 r.