

Interpelacja nr 167

do ministra zdrowia

**w sprawie zmiany polityki państwa w zakresie finansowania terapii rzadkich chorób genetycznych, takich jak: mukopolisacharydoza, choroba Pompego i choroba Fabry'ego**

Szanowna Pani Minister! Na najbardziej rzadkie genetyczne i przewlekłe choroby cierpi w naszym kraju około 60 osób. Większość z nich to dzieci. Organizacje społeczne, wspierające osoby dotknięte rzadkimi schorzeniami, wyrażają przekonanie, że w Polsce - w konsekwencji opóźniania stosownych procedur wdrażania nowych programów - choroby te nie są właściwie leczone.

Zgodnie z preambułą rozporządzenia UE 141/2000, państwa członkowskie winny dążyć do sytuacji, w której pacjenci dotknięci chorobami rzadkimi mają równy dostęp do terapii, niezależnie od rzadkości danego schorzenia i niezależnie od warunków ekonomiczno-społecznych występujących w danym kraju członkowskim. U podstaw tej regulacji leżą wartości i społeczne, i etyczne, wskazujące na potrzebę tworzenia równego dostępu do terapii dla pacjentów z chorobami rzadkimi w całej Unii Europejskiej. Niestety, wobec rzadkich chorób w Polsce wartości te nie są uwzględniane. Osoby, które zwracają się o sfinansowanie terapii ze środków NFZ, otrzymują najczęściej odpowiedź o braku środków i możliwości ze strony Funduszu. Dlatego też potrzebny jest krajowy program leczenia chorób rzadkich.

Moim zdaniem, państwo polskie, realizując zasadę solidarności społecznej, nie może uchylać się od zapewnienia swoim obywatelom leczenia ratującego życie.

W związku z powyższym, zwracam się do Pani Minister z prośbą o odpowiedź na następujące pytania:

1. Czy i kiedy przewiduje Pani powołanie komitetu sterującego ds. chorób rzadkich, który koordynowałby opiekę nad tą nieliczną grupą pacjentów? Pani poprzednik, minister Zbigniew Religa, przez wiele miesięcy zapowiadał powstanie takiej komórki - niestety nieskutecznie.

2. W jaki sposób resort zdrowia, lub osobiście Pani Minister, zabiegać będą o równy dostęp do terapii chorych na rzadkie choroby, takie jak mukopolisacharydoza typu II i IV, choroba Fabry'ego czy choroba Pompego?

3. Czy koordynacja leczenia ultraradkich chorób genetycznych na szczeblu krajowym i stworzenie odpowiednich programów terapeutycznych pozwoli na szybsze leczenie pacjentów i łatwiejszy dostęp do koniecznych leków? Kiedy to może nastąpić?

4. Czy przewiduje Pani możliwość wpisania chorób ultraradkich na listę chorób przewlekłych, co w konsekwencji mogłoby pozwolić na lepszą opiekę nad chorymi?

Z poważaniem

Posel Wojciech Olejniczak

Warszawa, dnia 6 grudnia 2007 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -  
na interpelację nr 167

**w sprawie zmiany polityki państwa w zakresie finansowania terapii rzadkich chorób genetycznych, takich jak: mukopolisacharydoza, choroba Pompego i choroba Fabry'ego**

Szanowny Panie Marszałku! W związku z interpelacją pana Wojciecha Olejniczaka, posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 18 grudnia 2007 r. (SPS-023-167/07), w sprawie zmiany polityki państwa w zakresie finansowania terapii rzadkich chorób genetycznych, takich jak: mukopolisacharydoza, choroba Pompego i choroba Fabry'ego, przekazuję uprzejmie następujące informacje.

Polityka zdrowotna państwa jest realizowana przez ministra zdrowia na podstawie uprawnień ustawowych. 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. Zgodnie z art. 14 przedmiotowej ustawy, świadczenia opieki zdrowotnej są finansowane ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia, ponadto w art. 15 zawarty został katalog świadczeń finansowanych ze środków publicznych, które przysługują świadczeniobiorcy, m.in. zaopatrzenie w produkty lecznicze, wyroby medyczne i środki pomocnicze. Należy przy tym zauważyć, iż świadczeniobiorcy przyjętemu do szpitala lub innego zakładu opieki zdrowotnej, przeznaczonego dla osób potrzebujących całodobowych lub całodziennych świadczeń opieki zdrowotnej, oraz przy wykonywaniu zabiegów leczniczych i pielęgnacyjnych, diagnostycznych i rehabilitacyjnych przez podmioty uprawnione do udzielania świadczeń, zapewnia się bezpłatnie leki i wyroby medyczne, jeżeli są one konieczne do wykonania świadczenia (art. 35 ww. ustawy).

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. Kwestia chorób rzadkich 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 podejmuje niezbędne działania zmierzające do wypracowania wspólnego stanowiska w przedmiotowej sprawie, które będzie prowadziło do 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. W skład zespołu przewiduje się powołanie przedstawicieli Narodowego Funduszu Zdrowia, konsultantów krajowych, przedstawicieli środowisk i instytutów naukowych oraz Ministerstwa Zdrowia. Decyzja odnośnie do powołania Zespołu do Spraw Chorób Rzadkich zostanie podjęta w najbliższym okresie.

2. Zapewnienie pacjentom równego dostępu do terapii chorób rzadkich zależy od wielu czynników, które muszą być spełnione przy podejmowaniu decyzji w tym zakresie. Biorąc pod uwagę wysoki koszt terapii lekami sierocymi w celu zdiagnozowania konieczności objęcia leku programem terapeutycznym, zasadna jest znajomość skuteczności preparatu, jego profilu bezpieczeństwa, opłacalności terapii. 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. Obecnie w ramach programów terapeutycznych leczeni są, od trzech lat, pacjenci z chorobą Gaucher'a i Hurlera (mukopolisacharydoza typ I), umożliwiającymi finansowanie ze środków będących w dyspozycji Narodowego Funduszu Zdrowia, preparatów aldurazyme (laronidaza) oraz imigluceraza. Wniosek leczenia choroby Pompego lekiem myozymem został pozytywnie oceniony przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i uzyskał rekomendację odnośnie do finansowania wymienionej terapii i wdrożenia programu terapeutycznego w odniesieniu do określonego wskazania medycznego. Obecnie w Narodowym Funduszu Zdrowia trwają prace związane z utworzeniem programu terapeutycznego. Po podjęciu ostatecznych decyzji co do kształtu przygotowanego programu zostanie on opublikowany stosownym zarządzeniem prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Odnośnie do choroby Fabry'ego informuję, że wniosek o objęcie programem terapeutycznym tej choroby został przekazany do oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych. Mukopolisacharydoza typ IV - w chwili obecnej nie został dopuszczony do obrotu lek do leczenia tej choroby. W ostatnim okresie opracowano enzym, przekazany do badań klinicznych, które mają się rozpocząć w Stanach Zjednoczonych w 2008 r. Mukopolisacharydoza typ VI - wniosek o objęcie finansowaniem leczenia tej choroby z zastosowaniem leku naglazyme został oceniony negatywnie przez Agencję Oceny Technologii Medycznych, ze względu na wątpliwy efekt kliniczny i ogromną ilość działań niepożądanych. Obecnie podmiot odpowiedzialny nadesłał dodatkowe materiały odnośnie do efektywności klinicznej tego leku. Uzupelniona dokumentacja została przekazana do ponownej oceny agencji.

3. Koordynacja leczenia chorób rzadkich na szczeblu krajowym, wprowadzenie regulacji prawnych, powołanie Zespołu do Spraw Chorób Rzadkich oraz wypracowanie stanowiska odnośnie do finansowania leków sierocych stosowanych w tych chorobach niewątpliwie pozwoli na zwiększenie dostępu pacjentów do leków o statusie uprzywilejowanym.

4. Nie przewiduję wpisania chorób ultrarzadkich do wykazu chorób przewlekłych, m.in. ze względu na niewielkie grupy pacjentów i wysokie koszty farmakoterapii. Pragnę zapewnić, że minister zdrowia podjął niezbędne działania, których celem jest zwiększenie dostępu pacjentów cierpiących na choroby ultraradkie do terapii lekami innowacyjnymi, w ramach programów terapeutycznych.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 9 stycznia 2008 r.