

Interpelacja nr 1841

do ministra zdrowia

w sprawie refundacji leku elapraxe na chorobę genetyczną mukopolisacharydozę typu Hunter

Szanowna Pani Minister! Od dłuższego czasu spotykam się z dramatycznymi apelami ze strony rodziców dzieci cierpiących na rzadkie, ale niezwykle groźne i trudne w leczeniu tego typu schorzenia. Adaś Grulich cierpi na MPS typu II zwaną chorobą Huntera. To bardzo rzadka, dziedziczna choroba. W całej Polsce stwierdzono ją u 40 dzieci. Nieuchronnie prowadzi do śmierci. Ratunkiem jest jak najszybsze wprowadzenie leczenia lekiem o nazwie elapraxe, został on dopuszczony do obrotu na terenie Unii Europejskiej. Pozwala na łagodzenie ogromnego cierpienia oraz przebiegu choroby. Tymczasem to koszt nawet 1,5 mln złotych rocznie dla jednego dziecka.

Chcielibyśmy przypomnieć, że w preambule rozporządzenia Unii Europejskiej z 2000 r. jest mowa, iż wszystkie państwa członkowskie mają dążyć do sytuacji, gdzie chorzy na rzadkie choroby bez względu na sytuację ekonomiczną kraju mają zapewniony dostęp do terapii.

Dlatego zwracam się do Pani Minister z następującymi pytaniami:

1. Kiedy lek o nazwie elapraxe, spełniający wspólnotowe wymogi, zostanie wciągnięty na listę leków refundowanych i leczenie nim zostanie w całości sfinansowane przez budżet państwa?
2. Jakie inne działania zamierza podjąć resort zdrowia w walce z tak groźną chorobą?

Z wyrazami szacunku

Poseł Bożena Kotkowska

Bielsko-Biała, dnia 6 marca 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -

na interpelację nr 1841

w sprawie refundacji leku elaprasy na chorobę genetyczną mukopolisacharydozę typu Hunter

Szanowny Panie Marszałku! W związku z interpelacją pani Bożeny Kotkowskiej, posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej przesłaną przy piśmie z dnia 14 marca 2008 r. (SPS-023-1841/08) w sprawie refundacji leku elaprasy na chorobę genetyczną mukopolisacharydozę typu Hunter przekazuję uprzejmie następujące informacje.

Regulacje prawne w zakresie dostępu ludności do świadczeń opieki zdrowotnej zawarte są 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. Dopłatami ze środków publicznych objęte są leki z wykazów leków refundowanych określonych w drodze rozporządzeń ministra zdrowia. Natomiast pacjentowi 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, zgodnie z art. 35 ustawy, bezpłatnie leki i wyroby medyczne, jeżeli są one konieczne do wykonania świadczenia.

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 (do których należy mukopolisacharydoza) i leków sierocych wymaga specjalnych rozwiązań organizacyjnych i prawnych. Mając na uwadze złożoność problematyki związanej z finansowaniem leków sierocych i chorób rzadkich, wypracowane zostało przez Ministerstwo Zdrowia, w porozumieniu z Narodowym Funduszem Zdrowia, wspólne stanowisko w przedmiotowej sprawie.

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

Nie przewiduję wpisania choroby mukopolisacharydoza, w tym również choroby Huntera, do wykazu chorób przewlekłych, m.in. ze względu na niewielkie grupy pacjentów i wysokie koszty farmakoterapii. Przyjęte rozwiązania zakładają finansowanie terapii chorób rzadkich w ramach programów terapeutycznych finansowanych ze środków pozostających w dyspozycji Narodowego Funduszu Zdrowia.

Jeśli weźmie się pod uwagę koszt terapii lekami sierocymi w celu zdiagnozowania konieczności objęcia leku programem terapeutycznym, zasadna jest znajomość skuteczności preparatu, jego profilu bezpieczeństwa, opłacalności terapii. Terapeutyczny program wprowadza się w odniesieniu do określonego wskazania medycznego, określonej populacji chorych.

Podjęcie decyzji dotyczącej ewentualnego uruchomienia programu terapeutycznego następuje po uzyskaniu rekomendacji Agencji Oceny Technologii Medycznych. Należy wyjaśnić, że w celu 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 transparentności (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.

Preparat elapraxe jest lekiem innowacyjnym, w związku z tym skuteczność oraz efektywność kosztowa jest przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych. Rekomendacja przygotowana na zlecenie ministra zdrowia odnośnie do skuteczności i efektywności kosztowej tego preparatu jest negatywna.

Uchwałą z dnia 19 lutego 2008 r. Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych rekomenduje ministrowi zdrowia niefinansowanie ze środków publicznych leczenia sulfatazą iduronianu (elapraxe) mukopolisacharydozy typu II (zespołu Huntera).

Stanowisko rady konsultacyjnej wynika z braku przekonujących dowodów na znaczącą poprawę istotnych dla zdrowia parametrów klinicznych. Nie udowodniono skuteczności sulfatazy iduronianu w przedłużeniu przeżycia pacjentów z zespołem Huntera. Sulfataza iduronianu nieznacznie poprawia dystans marszu chorych, jednocześnie bardzo wyraźnie zwiększa częstość notowanych zdarzeń niepożądanych.

2. Odnośnie do innych działań podjętych przez Ministerstwo Zdrowia uprzejmie informuję, że zostało opracowane zarządzenie ministra zdrowia w sprawie powołania Zespołu do Spraw Chorób Rzadkich, którego celem będzie dążenie do zapewnienia dostępu do informacji, diagnostyki, terapii i opieki dla chorych na choroby rzadkie, a także zaproponowanie odpowiednich regulacji i wytycznych w przedmiotowych zagadnieniach.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 10 kwietnia 2008 r.