

Interpelacja nr 1897

do ministra zdrowia

**w sprawie refundacji leku ratującego życie dzieciom chorym na mukopolisacharydozę typu II**

Szanowna Pani Minister! Zwracam się do Pani Minister z prośbą o refundację leku ratującego życie dziecku choremu na mukopolisacharydozę typu II.

9-letni Tomek Żukiewicz jest jedynym na Lubelszczyźnie dzieckiem chorym na rzadką chorobę genetyczną - mukopolisacharydozę typu II. Choroba atakuje ścięgna, uwstecznia fizycznie i umysłowo. Tomek miał już cztery operacje (uszy, migdały, przepuklina). Po każdej operacji czuje się gorzej, bo każda narkoza upośledza dziecko. Cierpi też na niedomykalność zastawki, ale w jego przypadku nie ma mowy o tak poważnej operacji.

Chłopiec cofnął się do poziomu 1,5-letniego dziecka. Przestał mówić, coraz bardziej zamyka się w swoim świecie. Zrozpaczeni rodzice żyli nadzieją, że zostanie wynaleziony lek na tę chorobę. I rzeczywiście na początku tego roku taki preparat zarejestrowano w Unii. Leczone nim dziecko rozwija się prawidłowo. Nie naprawia wprawdzie uszkodzeń, do jakich doszło wcześniej, ale dziecko żyje.

Niestety wydane we wrześniu oświadczenie Pani Minister, że lek na typ II nie będzie refundowany, spotęgowało rozpacz rodziców chłopca. Wraz z rodzicami należącymi do Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne napisali list otwarty do premiera, do ministra zdrowia i prezesa NFZ z prośbą o ratunek dla dzieci. Na razie nie dostali odpowiedzi.

Na mukopolisacharydozę typu II choruje w Polsce 40 dzieci, a nowy lek jest bardzo drogi (roczne leczenie jednego dziecka kosztuje ok. 1,5 mln zł). Bez pomocy państwa rodzice sami nie są w stanie zakupić tego leku.

Wobec przedstawionego problemu zwracam się do Pani Minister z pytaniami:

1. Czy możliwa jest refundacja leku ratującego życie chorego na mukopolisacharydozę typu II 9-letniego Tomka Żukiewicza?
2. Czy możliwe jest przyjęcie systemowego rozwiązania dla 40 chorych na tę chorobę dzieci w Polsce?

Z poważaniem

Poseł Jan Łopata

Lublin, dnia 10 marca 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -

na interpelację nr 1897

## **w sprawie refundacji leku ratującego życie dzieciom chorym na mukopolisacharydozę typu II**

Szanowny Panie Marszałku! Odpowiadając na interpelację pana Jana Łopaty, posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 18 marca 2008 r. (SPS-023-1897/08) w sprawie refundacji leku ratującego życie dziecku choremu na mukopolisacharydozę typu II, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Dostęp ludności do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, a także zasady i tryb finansowania tych świadczeń, 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. 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.

W związku z rzadkością występowania i specyfiką biochemiczną chorób genetycznych z zakresu metabolizmu, do których zaliczyć należy m. in. mukopolisacharydozę typu II, leczenie z zastosowaniem leków sierocych należy do najbardziej kosztownych terapii i prowadzone jest zazwyczaj w wyspecjalizowanych ośrodkach klinicznych.

Odnosząc się do pytań uprzejmie informuję.

W styczniu 2007 r. Komisja Europejska wydała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Elapraxe do stosowania w leczeniu choroby Huntera (Mukopolisacharydoza typu II). Lek ten nie jest objęty programem terapeutycznym.

Mając na uwadze złożoność problematyki związanej z finansowaniem leków sierocych i chorób rzadkich, Ministerstwo Zdrowia w porozumieniu z Narodowym Funduszem Zdrowia podjęło niezbędne działania celem wypracowania wspólnego stanowiska w przedmiotowej sprawie i podjęcia wiążących decyzji w kwestii finansowania terapii lekami sierocymi.

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.

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.

Preparat Elaprase jest lekiem innowacyjnym, którego skuteczność oraz efektywność kosztowa były przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych.

Rekomendacja przygotowana na zlecenie ministra zdrowia odnośnie 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 (Elaprase) 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.

Negatywna ocena Agencji Oceny Technologii Medycznych odnośnie skuteczności i efektywności kosztowej preparatu Elaprase nie daje, w chwili obecnej, możliwości podjęcia wiążących decyzji w kwestii finansowania terapii mukopolisacharydozy typu II lekiem Elaprase.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 10 kwietnia 2008 r.