

Interpelacja nr 207

do ministra zdrowia

w sprawie refundacji leku elaprase na chorobę genetyczną mukopolisacharydozę typu Hunter

Szanowna Pani Minister! W Centrum Zdrowia Dziecka w Warszawie została rozpoznana u 9-letniego Tomka Żukiewicza z Biskupic koło Świdnika (woj. lubelskie) bardzo rzadka choroba genetyczna, mukopolisacharydoza typu Hunter. Jest to jedyny na Lubelszczyźnie przypadek tej choroby, na którą w całym kraju zapadło około czterdzieścioro dzieci.

W przypadku Tomka Żukiewicza choroba szybko postępuje, wywołując w jego organizmie ogromne spustoszenie, co zagraża nawet życiu chorego. Ratunkiem jest jak najszybsze zastosowanie terapii przy pomocy leku o nazwie elaprase. Niestety, jest to lek niezwykle drogi, na który nie stać rodziców Tomka. Nie mogą oni liczyć na pomoc państwa, bo, jak się okazuje, Narodowy Fundusz Zdrowia jest w tej sytuacji bezradny, ponieważ zarejestrowany w Unii Europejskiej wspomniany wyżej lek nie jest ujęty na liście leków refundowanych w Polsce. W tej sytuacji los małych pacjentów, takich jak Tomek Żukiewicz, staje się tragiczny.

Biorąc powyższe pod uwagę, kieruję do pani Minister interpelację poselską z prośbą o odpowiedź na pytania:

1. Czy istnieje możliwość, by w najbliższej przyszłości ratujący zdrowie lek o nazwie elaprase mógł znaleźć się na liście leków refundowanych, tak jak to się stało z lekiem na mukopolisacharydozę typu I?
2. W jaki sposób państwo może pomóc chorym na tę rzadko występującą chorobę genetyczną, jaką jest mukopolisacharydoza typu Hunter?
3. Czy nie budzi moralnego sprzeciwu sytuacja, w której zrozpaczeni rodzice ślą błagalne prośby do różnych instytucji, i w ogóle do ludzi dobrej woli, by zebrać fundusze potrzebne na leczenie swych dzieci, bo nasza służba zdrowia akurat w tych przypadkach służbą nie jest?

Z poważaniem

Poseł Izabella Sierakowska

Lublin, dnia 5 grudnia 2007 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -
na interpelację nr 207

w sprawie refundacji leku elapras na chorobę genetyczną mukopolisacharydozę typu Hunter

Odpowiadając na interpelację Posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej Pani Izabelli Sierakowskiej przesłaną przy piśmie z dnia 18 grudnia 2007 r. (SPS-023-207/07), w sprawie refundacji leku pod nazwą elaprasy dla pacjentów z chorobą genetyczną mukopolisacharydozą II (zespołem Huntera), 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. W sytuacji, gdy produkt leczniczy wysokospecjalistyczny nie znajduje się w wykazach leków refundowanych, istnieje możliwość leczenia tym lekiem w ramach procedur szpitalnych lub w ramach programów terapeutycznych.

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.

W związku z rzadkością występowania i specyfiką biochemiczną chorób genetycznych z zakresu metabolizmu, do których zaliczyć należy m. in. mukopolisacharydozę 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.

Pacjenci, u których rozpoznano mukopolisacharydozę typu I, leczeni są od trzech lat w ramach programu terapeutycznego umożliwiającego finansowanie produktu leczniczego - laronidazy. W styczniu 2007 r. Komisja Europejska wydała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego elaprasy do stosowania w leczeniu choroby Huntera (mukopolisacharydozy II). Lek ten nie jest objęty obecnie programem terapeutycznym. Objęcie dopłatami ze środków publicznych leków sierocych przy ograniczonych możliwościach finansowych, jeżeli chodzi o środki publiczne, wymaga specjalnych rozwiązań ze względu na bardzo wysokie koszty farmakoterapii. Biorąc pod uwagę wysoki koszt terapii lekami sierocymi w celu zdiagnozowania konieczności objęcia leku programem terapeutycznym, zasadną jest m.in. 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. Wniosek leczenia choroby Huntera (mukopolisacharydozy II) z zastosowaniem leku elaprasy został przekazany do oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych.

Pozytywna ocena przedstawionej dokumentacji odnośnie do leczenia choroby Huntera lekiem elaprasy dokonana przez Agencję Oceny Technologii Medycznych będzie podstawą do podjęcia decyzji

dotyczącej możliwości finansowania leczenia przez Narodowy Fundusz Zdrowia w ramach programu terapeutycznego.

Podzielam troskę Pani Poseł w sprawie dostępu pacjentów cierpiących na choroby ultrazadkie do innowacyjnych terapii lekowych. 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. Wyrażam przekonanie, że koordynacja leczenia chorób rzadkich na szczeblu krajowym, wprowadzenie regulacji prawnych, wypracowanie stanowiska odnośnie finansowania leków sierocych pozwolą na zwiększenie dostępu do terapii chorób ultrazadkich z zastosowaniem leków o statusie uprzywilejowanym.

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 9 stycznia 2008 r.