

Interpelacja nr 2699

do ministra zdrowia

w sprawie wpisania leku na mukopolisacharydozę na listę leków refundowanych

Szanowna Pani Minister! Mukopolisacharydoza jest bardzo rzadką chorobą przemiany materii, której diagnoza jest bardzo skomplikowana. Tak się dzieje, że rodzice z dzieckiem chorym na mukopolisacharydozę całe lata żyją w niewiedzy. Cierpi na nią zaledwie 41 dzieci w Polsce. Jest to genetyczna choroba dzieci. Chorym na mukopolisacharydozę brakuje w organizmie enzymu, który odpowiada za rozkładanie cukrów. Cukier nie jest wydalany, w konsekwencji czego uszkadza wszystkie organy. Powoduje cofanie umysłowe i fizyczne zdrowych dzieci.

Piotr i Paweł, bliźniacy z Piwnic pod Toruniem, cierpią na tę bardzo rzadką chorobę. Mają po 16 lat. Chłopcy nie mogą samodzielnie żuć ani połykać, muszą być odżywiani przez sondę, ich oddychanie wspomagają respiratory. Chłopcy nie mówią, nie chodzą. Problemy, które pojawiają się w przypadku chorób przewlekłych takich jak mukopolisacharydozy, wymagają od rodziców nieprzerwanego udziału w opiece nad chorymi dziećmi. Gdy bliźniacy się urodzili, nic nie wskazywało, że cierpią na tak rzadką chorobę. Chłopcy żyli jak ich rówieśnicy - w pełni sprawni fizycznie bawili się z innymi dziećmi. Dopiero od trzeciego roku życia zaczęły pojawiać się niepokojące symptomy: częste przeziębienia, przykurcze stawów, zmiany w rysach twarzy.

Do tej pory wydawało się, że chorzy nie mają ratunku, ale pojawiła się nadzieja. Na początku tego roku zarejestrowano lek, którym leczone są dzieci cierpiące na tę chorobę w całej Europie, m.in. na Litwie czy na Węgrzech. Niestety w Polsce dzieci pozostawione są same sobie.

Jak informują media, znane są przypadki w Europie, że osoby chore wróciły do zdrowia i zaczęły normalnie funkcjonować. Przeszkodą w leczeniu jest cena kuracji - roczna kuracja dziecka kosztuje od 400 do 800 tys. zł.

Pani Minister, czy podejmie Pani działania w celu wpisania leku na mukopolisacharydozę na listę leków refundowanych?

Z wyrazami szacunku

Poseł Tomasz Lenz

Toruń, dnia 18 kwietnia 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -

na interpelację nr 2699

w sprawie wpisania leku na mukopolisacharozę na listę leków refundowanych

Szanowny Panie Marszałku! Odpowiadając na interpelację pana Tomasza Lenza, posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 22 kwietnia 2008 r. (SPS-023-2699/08), w sprawie wpisania leku na mukopolisacharydozę na listę leków refundowanych, 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.

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, leczenie z zastosowaniem leków sierocych należy do najbardziej kosztownych terapii i prowadzone jest zazwyczaj w wyspecjalizowanych ośrodkach klinicznych.

Odnosząc się do pytania, uprzejmie informuję.

Mając na uwadze wątpliwości związane ze zróżnicowaną efektywnością kliniczną leków sierocych i niezmiernie wysokie koszty tych farmakoterapii, minister zdrowia, w porozumieniu z prezesem Narodowego Funduszu Zdrowia, podjął decyzję w kwestii finansowania terapii lekami sierocymi.

Ze względu na niewielkie grupy pacjentów i wysokie koszty farmakoterapii nie przewiduje się wpisania choroby mukopolisacharydoza do wykazu chorób przewlekłych, natomiast przyjęto rozwiązanie finansowania terapii chorób rzadkich w ramach programów terapeutycznych ze środków pozostających w dyspozycji Narodowego Funduszu Zdrowia.

W celu zdiagnozowania konieczności objęcia leku programem terapeutycznym zasadna jest znajomość skuteczności preparatu, jego profilu bezpieczeństwa, opłacalności terapii. 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 jej zadań należy m.in. opracowywanie rekomendacji dla ministra właściwego do spraw zdrowia dotyczących technologii medycznych.

Na podstawie rekomendacji Agencji Oceny Technologii Medycznych minister zdrowia podejmuje decyzje odnośnie do finansowania farmakoterapii z zastosowaniem leków sierocych.

Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych, po rozpatrzeniu dowodów naukowych stosowania produktów leczniczych w poszczególnych typach mukopolisacharydozy, zajęła następujące stanowiska:

- Mukopolisacharydoza typ I - pacjenci z rozpoznaniem choroby Hurlera (mukopolisacharydoza typ I) są leczeni w ramach programu terapeutycznego umożliwiającego finansowanie ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia preparatu Aldurazyme (Laronidaza).

- Mukopolisacharydoza typ II - rekomendacja przygotowana na zlecenie ministra zdrowia odnośnie do skuteczności i efektywności kosztowej preparatu Elaprasy, stosowanego w chorobie Huntera (mukopolisacharydoza typ II), 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 (Elaprasy) 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.

- Mukopolisacharydoza typ VI - rekomendacja Rady Konsultacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych odnośnie do skuteczności klinicznej preparatu Galsulfazy (Naglazyme) w terapii mukopolisacharydozy typ VI jest negatywna. W uzasadnieniu zwrócono uwagę m.in. na fakt, iż istniejące badania kliniczne wskazują na marginalną skuteczność leczenia Galsulfazą mukopolisacharydozy typ VI oraz na częste działania niepożądane u leczonych.

W związku z przekazaniem przez podmiot odpowiedzialny dodatkowej dokumentacji odnośnie do skuteczności preparatu minister zdrowia wystąpił do dyrektora agencji o ponowną ocenę dowodów naukowych dotyczących skuteczności ww. preparatu.

Należy podkreślić, że rekomendacje Rady Konsultacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych odnośnie do skuteczności i efektywności kosztowej leków sierocych stanowią podstawę do podjęcia przez ministra zdrowia decyzji w kwestii finansowania terapii chorób rzadkich, w tym mukopolisacharydozy.

Przekazując powyższe, jednocześnie 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. Celem powołania zespołu jest dążenie do zapewnienia dostępu do informacji, diagnostyki, terapii i opieki dla chorych na choroby rzadkie. W skład zespołu wejdą m.in. przedstawiciele Ministerstwa Zdrowia, Narodowego Funduszu Zdrowia, Agencji Oceny Technologii Medycznych, Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, konsultanci krajowi, przedstawiciele środowisk i instytutów naukowych oraz przedstawiciele organizacji zrzeszającej pacjentów.

Do głównych zadań zespołu należeć będą m.in.: proponowanie kierunków polityki w zakresie opieki i terapii chorych na choroby rzadkie; prowadzenie działań służących i dążących do zapewnienia podstawowej i specjalistycznej opieki zdrowotnej chorym na choroby rzadkie, w szczególności poprzez wskazywanie właściwych rozwiązań problemów powstałych przy realizacji opieki i terapii chorych z chorobami rzadkimi; upowszechnianie wiedzy dotyczącej diagnostyki i leczenia tych chorób w opinii publicznej, w tym w szczególności w środowisku medycznym; wspieranie bezpiecznych i skutecznych metod leczenia chorób rzadkich; monitorowanie terapii chorób rzadkich. Ponadto do zadań zespołu należeć będzie opracowywanie informacji lub stanowisk dotyczących produktów leczniczych stosowanych w leczeniu chorób rzadkich oraz przekazywanie ich Zespołowi ds. Gospodarki Lekami.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 14 maja 2008 r.