

Interpelacja nr 2997

do ministra zdrowia

w sprawie braku rekomendacji Agencji Oceny Technologii Medycznych finansowania leku elaprasy

Szanowna Pani Minister! W dniu 8 stycznia 2007 r. Komisja Europejska przyznała firmie Shire Human Genetic Therapies AB pozwolenie na dopuszczenie preparatu elaprasy do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej. Lek stosowany jest ponad rok i zdaniem lekarzy są widoczne efekty jego stosowania przy leczeniu mukopolisacharydozy typ II. Dlatego - w opinii wielu osób, którym zależy na stosowaniu w Polsce tego leku - bardzo krzywdząca jest decyzja AOTM stwierdzająca, że lek jest nieskuteczny. Zdaniem Stowarzyszenia MPS i Choroby Pokrewne oraz Krajowego Forum na rzecz Terapii Chorób Rzadkich ORPHAN decyzja ta jest błędna. Rozporządzenie Unii Europejskiej 141/2000 nakłada na europejskie państwa członkowskie obowiązek zapewnienia pacjentom dotkniętym chorobami rzadkimi równego dostępu do terapii niezależnie od rzadkości danego schorzenia i niezależnie od warunków ekonomiczno-społecznych występujących w danym kraju.

Dlatego zwracam się do Pani Minister z następującymi pytaniami:

1. Czy podejmie Pani działania umożliwiające finansowanie terapii lekiem elaprasy? Na jakie działania z Pani strony mogą liczyć pacjenci?

2. Czy podziela Pani opinię Agencji Oceny Technologii Medycznych, jakoby finansowanie drogich terapii pacjentów z chorobami rzadkimi musiało stanowić alternatywę wobec leczenia pacjentów z chorobami częstymi? Czy byłaby to rzeczywiście dyskryminacja, czy też realizacja obowiązku zapewnienia pacjentom dotkniętym chorobami rzadkimi równego dostępu do terapii niezależnie od rzadkości danego schorzenia i niezależnie od warunków ekonomiczno-społecznych występujących w danym kraju?

3. Czy przyjmuje Pani argument AOTM stwierdzający, że koszty uzyskania dodatkowego roku życia przybierają astronomiczne wartości? Moim zdaniem taka argumentacja - wobec wartości życia każdego pacjenta - jest nie do przyjęcia.

Z poważaniem

Poseł Wojciech Olejniczak

Warszawa, dnia 5 maja 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -

na interpelację nr 2997

w sprawie braku rekomendacji Agencji Oceny Technologii Medycznych finansowania leku elapraxe

Szanowny Panie Marszałku! Odpowiadając na interpelację pana Wojciecha Olejniczaka, posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 8 maja 2008 r. (SPS-023-2997/08), w sprawie braku rekomendacji Agencji Oceny Technologii Medycznych finansowania leku Elapraxe, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Działania dotyczące zagwarantowania obywatelom należytego dostępu do leków, w tym leków innowacyjnych, są realizowane przez ministra zdrowia w oparciu o obowiązujące akty prawne. Regulacje zagadnień związanych z refundacją leków 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 płatnikiem świadczeń zdrowotnych jest Narodowy Fundusz Zdrowia, który prowadzi gospodarkę finansową na zasadach określonych w ustawie (art. 113). Każdemu świadczeniobiorcy, bez względu na zdiagnozowaną jednostkę chorobową, przysługuje na podstawie art. 15 ww. ustawy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej oraz leków i wyrobów medycznych finansowanych ze środków publicznych. 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.

Kwestia chorób rzadkich i leków sierocych wymaga specjalnych rozwiązań precyzyjnie określających zasady, na podstawie których państwo zobowiązuje się zapewnić swoim obywatelom dostęp do terapii. W związku z rzadkością występowania i specyfiką biochemiczną chorób rzadkich z zakresu metabolizmu, do których zaliczyć należy m.in. mukopolisacharydozę typu II, leczenie z zastosowaniem leków sierocych należy do najbardziej kosztownych terapii. Mając na uwadze złożoność problematyki związanej z finansowaniem terapii chorób rzadkich, Ministerstwo Zdrowia w porozumieniu z Narodowym Funduszem Zdrowia wypracowało wspólne stanowisko w przedmiotowej sprawie i podjęło wiążące decyzje w kwestii finansowania terapii lekami sierocymi.

W celu zdiagnozowania konieczności objęcia leku innowacyjnego dopłatą ze środków publicznych zasadna jest znajomość skuteczności preparatu, jego profilu bezpieczeństwa, opłacalności terapii. W związku z tym wnioski o objęcie dopłatami ze środków publicznych produktów leczniczych innowacyjnych, zgodnie z decyzją ministra zdrowia, są kierowane do oceny Agencji 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, opartej na ocenie skuteczności klinicznej oraz efektywności kosztowej leku, uzasadniających zasadność finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych. Ustalenia ministra 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 odgrywa Agencja Oceny Technologii Medycznych.

Odnosząc się do pytań, uprzejmie informuję.

1. W styczniu 2007 r. Komisja Europejska wydała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego Elaprasy do stosowania w leczeniu choroby Huntera (mukopolisacharydoza typu II). Preparat Elaprasy jest lekiem innowacyjnym, którego skuteczność oraz efektywność kosztowa były, na zlecenie ministra zdrowia, przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych. Uchwałą z dnia 19 lutego 2008 r. Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych jednogłośnie rekomenduje ministrowi zdrowia niefinansowanie ze środków publicznych leczenia sulfatazą iduronianu (Elaprasy) mukopolisacharydozy typu II (zespołu Huntera). Stanowisko Rady Konsultacyjnej wynika z braku przekonywujących dowodów medycznych 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. Minister Zdrowia uznała terapię chorób rzadkich za jeden z priorytetowych celów działań w zakresie zdrowia publicznego. Niezależnie od sytuacji społeczno-gospodarczej pacjentom dotkniętym chorobami rzadkimi został zapewniony dostęp do leczenia lekami innowacyjnymi, finansowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia w ramach programów terapeutycznych, nie można więc mówić o dyskryminacji tej grupy pacjentów. Koszty terapii chorób rzadkich nie stanowią alternatywy wobec leczenia pacjentów z chorobami częstymi. Minister Zdrowia, realizując zasadę solidarności społecznej, nie może uchylać się od obowiązku zapewnienia wszystkim obywatelom leczenia ratującego życie, niezależnie od rzadkości danego schorzenia.

Pragnę podkreślić, że niezależni eksperci Rady Konsultacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych na podstawie dostępnych dowodów naukowych wydają opinię rekomendującą bądź nie finansowanie leków innowacyjnych ze środków publicznych, ale to minister zdrowia, kierując się opinią specjalistów, mając na względzie interes społeczny, podejmuje ostateczną decyzję. Jednakże leki te muszą spełniać określone kryteria dotyczące skuteczności klinicznej, bezpieczeństwa stosowania, potwierdzone wynikami badań naukowych.

Pragnę dodać, że pacjenci, u których rozpoznano mukopolisacharydozę typu I (zespół Hurlera) oraz chorobę Gauchera, są leczeni w ramach programów terapeutycznych umożliwiających finansowanie preparatów pn. Aldurazyme (Laronidaza) oraz Imigłuceraza. Ponadto Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych zarekomendowała finansowanie ze środków publicznych leczenia nowo rozpoznanej i niemowlęcej choroby Pompego przy pomocy alglukozydazy alfa (Myozyme), trwają prace związane z opracowaniem programu terapeutycznego. Obecnie przedmiotem oceny Rady Konsultacyjnej jest dokumentacja naukowa dotycząca stosowania tego leku u pacjentów z późniejszą postacią tej choroby.

3. Minister zdrowia podejmuje decyzje i rozstrzygnięcia w kwestii finansowania terapii chorób rzadkich nie na podstawie elementu cenowego, lecz na podstawie dowodów naukowych w zakresie skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania. Jednocześnie pragnę poinformować pana posła, że zostało podpisane przez ministra zdrowia zarządzenie w sprawie powołania Zespołu do spraw Chorób Rzadkich. Celem zespołu 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 3 czerwca 2008 r.