

Interpelacja nr 4631

do ministra zdrowia

### **w sprawie zapewnienia odpowiedniego leczenia osobom chorym na mukopolisacharydozę i choroby pokrewne**

Szanowna Pani Minister! Jednym z najważniejszych problemów polskiej służby zdrowia jest zapewnienie odpowiedniego leczenia wszystkim osobom chorym. W najgorszej sytuacji są osoby chore na występujące rzadko choroby.

Grupą taką są osoby chorujące na mukopolisacharydozę i choroby pokrewne. Ponieważ liczba tych osób jest mała, a sama choroba nie jest zakaźna, nie mają oni zapewnionej odpowiedniej pomocy lekarskiej. Obecny stan wiedzy medycznej nie pozwala na łatwe ich leczenie. Wiąże się to także z dużymi jego kosztami, a sama kuracja często nie prowadzi do pełnego wyleczenia.

Uważam, że osoby, które zachorowały w Polsce na te rzadkie choroby, powinny mieć zapewnioną odpowiednią opiekę lekarską. Dlatego proszę Panią Minister o zwrócenie szczególnej uwagi na trudną sytuację tej grupy chorych. Istniejące Stowarzyszenie Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne nie jest w stanie zapewnić odpowiedniej opieki wszystkim chorym.

Szczególnie ważne dla chorych z tej grupy jest zapewnienie leczenia mukopolisacharydozy lekiem elaprasy. Jest on produkowany przez firmę Shire i stosowany w większości krajów europejskich. W dniu 8 stycznia 2007 r. Komisja Europejska wydała pozwolenie na dopuszczenie tego preparatu do obrotu na terenie Unii Europejskiej. W tych krajach lek jest stosowany od ponad roku i widoczne są efekty tego leczenia. W Polsce terapię tę uznano za nieskuteczną. W naszym kraju jest 45 osób chorych na ten typ mukopolisacharydozy.

Drugim lekiem, który pomógłby osobom z tymi schorzeniami, jest myozyme. Myozyme stanowi enzymatyczną terapię zastępczą, która przywraca działanie kwaśnej alfa-glukozydazy (GAA). GAA jest enzymem, którego brakuje bądź który nie działa prawidłowo w organizmach osób cierpiących na chorobę Pompego. Myozyme uzyskał pozytywną opinię Komisji ds. produktów leczniczych do stosowania u ludzi (CHMP) Europejskiej Agencji Leków w styczniu 2006 r. i obecnie uzyskał pozwolenie Komisji Europejskiej na dopuszczenie do obrotu. CHMP jednomyślnie rekomendowała zatwierdzenie myozyme do leczenia choroby Pompego. Myozyme jest pierwszym lekiem, który leczy chorobę Pompego, osłabiającą i często śmiertelną chorobę nerwowo-mięśniową wywoływaną dziedzicznym niedoborem enzymu. Choroba ta dotyczy zarówno dzieci, jak i dorosłych. Pomimo że postęp choroby oraz objawy kliniczne są znacznie zróżnicowane wśród pacjentów, po części w zależności od wieku początku choroby, zaatakowanych systemów organizmu oraz tempa postępowania choroby, choroba Pompego jest ogólnie charakteryzowana jako postępujące komplikacje związane z sercem, osłabieniem funkcji oddychania oraz osłabieniem mięśni. Myozyme jest obecnie pierwszym i jedynym zatwierdzonym lekiem dla pacjentów z chorobą Pompego. W Polsce zidentyfikowano 15 pacjentów z tą chorobą, a szacowana liczba osób chorych to 25-35 osób.

Biorąc pod uwagę dramatyczną sytuację osób z tymi chorobami, które bardzo często kończą się śmiercią chorego, zwracam się do Pani Minister z następującymi pytaniami.

Czy polscy chorzy na mukopolisacharydozę i choroby pokrewne będą mogli być leczeni najnowszymi lekami takimi jak myozyme i elaprasy?

Czy planuje się umieszczenie mukopolisacharydozy i chorób pokrewnych w wykazie chorób przewlekłych?

Czy istnieją plany Ministerstwa Zdrowia, by chorych na mukopolisacharydozę i choroby pokrewne objąć specjalnym programem leczenia?

Z poważaniem

Posel Jarosław Jagiełło

Warszawa, dnia 23 lipca 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -

na interpelację nr 4631

**w sprawie zapewnienia odpowiedniego leczenia osobom chorym na mukopolisacharydozę i choroby pokrewne**

Szanowny Panie Marszałku! W związku z interpelacją pana Jarosława Jagiełły, posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 1 sierpnia 2008 r. (SPS-023-4631/08), w sprawie zapewnienia odpowiedniego leczenia osobom chorym na mukopolisacharydozę i choroby pokrewne, uprzejmie przesyłam poniższe informacje.

Zapewnienie pacjentom równego dostępu do terapii chorób rzadkich, z zastosowaniem leków innowacyjnych, zależy od wielu czynników, które muszą być spełnione przy podejmowaniu decyzji w tym zakresie. Biorąc pod uwagę wysoki koszt terapii lekami sierocymi, w celu zdiagnozowania konieczności objęcia leku programem terapeutycznym, zasadna jest znajomość skuteczności preparatu, jego profilu bezpieczeństwa, opłacalności terapii.

Podjęcie decyzji dotyczącej finansowania terapii chorób rzadkich następuje po uzyskaniu rekomendacji Agencji Oceny Technologii Medycznych. Należy podkreślić, że terapię tych chorób wprowadza się w odniesieniu do określonego wskazania medycznego, określonej populacji chorych.

W związku z tym wnioski o objęcie dopłatami ze środków publicznych leków sierocych, zgodnie z decyzją ministra zdrowia, są kierowane do oceny Rady Konsultacyjnej Agencji 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, opartej na ocenie skuteczności klinicznej oraz efektywności kosztowej leku, uzasadniających zasadność finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych.

Odnosnie do kwestii podniesionej w interpelacji, dotyczącej zapewnienia leczenia mukopolisacharydozy lekami myozymy i elaprasy uprzejmie informuję, że wymienione preparaty są lekami innowacyjnymi, których skuteczność oraz efektywność kosztowa były, na zlecenie ministra zdrowia, przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych.

Preparat myozymy uzyskał pozytywną ocenę Rady Konsultacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych, która zarekomendowała finansowanie ze środków publicznych leczenia choroby Pompego, przy pomocy aglukozydazy alfa (myozymy), z ograniczeniem wyłącznie do nowo rozpoznanej i niemowlęcej choroby Pompego. Pozytywna ocena Rady Konsultacyjnej Agencji stanowi podstawę do podjęcia decyzji co do finansowania ze środków publicznych przedmiotowej terapii z zastosowaniem leku myozymy, natomiast wniosek odnosnie do późniejszej postaci choroby jest przedmiotem dalszych prac Agencji.

Natomiast preparat elaprase uzyskał negatywną ocenę. Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych jednogłośnie rekomenduje ministrowi zdrowia niefinansowanie ze środków publicznych leczenia sulfatazą iduronianu (elaprase) mukopolisacharydozy typu II (zespół Huntera).

Stanowisko Rady Konsultacyjnej wynika z braku przekonujących 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.

Przekazując powyższe, jednocześnie uprzejmie informuję, że zarządzeniem ministra zdrowia został powołany Zespół do Spraw Chorób Rzadkich, który ma charakter opiniodawczo-doradczy ministra zdrowia. W skład zespołu wchodzi przedstawiciele Ministerstwa Zdrowia, Narodowego Funduszu Zdrowia, Agencji Oceny Technologii Medycznych, Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, głównego inspektora farmaceutycznego, instytutów naukowych, przemysłu farmaceutycznego, a także przedstawiciele środowisk lub organizacji pozarządowych zrzeszających pacjentów. Prace zespołu posłużą do: opracowania opartych na dowodach naukowych przejrzystych kryteriów finansowania ze środków publicznych innowacyjnych technologii lekowych; prowadzenia działań służących do zapewnienia podstawowej i specjalistycznej opieki zdrowotnej chorym; zapewnienia chorym na choroby rzadkie dostępu do informacji, diagnostyki, terapii i opieki.

Jednocześnie uprzejmie informuję, że rekomendacje Agencji Oceny Technologii Medycznych, dotyczące wymienionych produktów leczniczych, zostaną omówione podczas najbliższego posiedzenia Zespołu do Spraw Chorób Rzadkich, które odbędzie się na początku września br. Ostateczne decyzje w kwestii finansowania terapii z zastosowaniem wymienionych leków podejmie minister zdrowia po zapoznaniu się ze stanowiskiem wymienionego zespołu.

Odnosząc się do pytań uprzejmie informuję.

1. Polscy pacjenci chorzy na niektóre typy choroby mukopolisacharydozy oraz choroby pokrewne są leczeni lekami sierocymi. Od trzech lat, w ramach programów terapeutycznych, leczeni są pacjenci z chorobą Gauchera i Hurlera (mukopolisacharydoza typ I), umożliwiającym finansowanie ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia preparatów aldurazy (aronidaza) oraz imigluceraza. Obecnie będzie finansowane leczenie choroby Pompego lekiem myozyme.

2. Nie przewiduję obecnie wpisania choroby mukopolisacharydozy i chorób pokrewnych do wykazu chorób przewlekłych, ze względu na niewielkie grupy pacjentów i wysokie koszty farmakoterapii. Rozwiązania podjęte przez ministra zdrowia zakładają finansowanie terapii chorób rzadkich ze środków pozostających w dyspozycji Narodowego Funduszu Zdrowia.

3. W chwili obecnej nie istnieją plany objęcia chorych na mukopolisacharydozę i choroby pokrewne specjalnym programem leczenia. Ośrodkiem, w którym są finansowane i leczone wrodzone choroby metaboliczne na szczeblu krajowym, jest Instytut "Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka". W związku z tym pod opieką instytutu pozostają praktycznie wszyscy pacjenci z ustalonym rozpoznaniem choroby metabolicznej. Podjęte przez ministra zdrowia

działania, tj. koordynacja leczenia chorób rzadkich na szczeblu krajowym, powołanie Zespołu do Spraw Chorób Rzadkich, wypracowanie stanowiska odnośnie do finansowania terapii chorób rzadkich niewątpliwie pozwoli na zwiększenie dostępu pacjentów do leków o statusie uprzywilejowanym.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 29 sierpnia 2008 r.