

Interpelacja nr 5913

do ministra zdrowia

**w sprawie finansowania terapii ratującej życie dzieci chorych na rzadkie choroby Fabry"ego, mukopolisacharydozę typu II oraz VI, a także chorobę Pompego**

Szanowna Pani Minister! Jako poseł na Sejm pragnę wyrazić swoje najwyższe zaniepokojenie i sprzeciw wobec braku aktywnej polityki państwa polskiego w zakresie finansowania terapii chorób rzadkich, takich jak choroba Fabry"ego, mukopolisacharydoza typu II oraz VI i choroba Pompego, a co za tym idzie, ograniczania dostępu do leczenia ratującego życie.

Na te rzadkie genetyczne i przewlekłe choroby cierpi w Polsce łącznie ponad 60 osób. Przeważającą większość pacjentów stanowią dzieci. Opóźnianie procedur wdrażania nowych programów leczenia powoduje, że te choroby pomimo dostępnych leków nie są w Polsce leczone, a pacjenci pozostają całkowicie bez pomocy ze strony państwa. W większości przypadków takie postępowanie jest równoznaczne z wydaniem wyroku na ich życie.

Dotychczasowe deklaracje Ministerstwa Zdrowia i NFZ pozwalały sądzić, że władze Rzeczypospolitej Polskiej będą aktywnie przyczyniać się do poprawy leczenia chorób rzadkich. Jednakże na podjęcie terapii pacjenci z chorobą Fabry"ego czekają już od jesieni 2005 r. Dzieci z chorobą Pompego żyją w nadziei od wiosny 2006 r., a na leczenie pacjentów z mukopolisacharydozą typu II i VI czekamy od wiosny br. Co gorsza, w maju br. przerwano niestandardową terapię czworga dzieci z chorobą Pompego, dopuszczając do znacznego pogorszenia stanu pacjentów i jednocześnie marnując fundusze, które już zostały na ich leczenie wydatkowane.

Zlekceważona została również społeczna inicjatywa postulująca utworzenie komitetu sterującego do spraw chorób rzadkich, który, podobnie jak to się dzieje w dużych państwach unijnych, powinien koordynować opiekę państwa nad tą nieliczną grupą pacjentów. Oczekiwany przez organizacje pacjentów, środowiska medyczne i naukowe oraz instytucje włączone w terapię chorób rzadkich komitet nie został dotychczas powołany.

Zgodnie z preambułą rozporządzenia Unii Europejskiej nr 141/2000 państwa członkowskie winny dążyć do sytuacji, w której pacjenci dotknięci chorobami rzadkimi mają równy dostęp do terapii, niezależnie od rzadkości danego schorzenia i niezależnie od warunków ekonomiczno-społecznych występujących w danym kraju członkowskim. U podstaw tej regulacji leżą wartości społeczne i etyczne wskazujące na potrzebę tworzenia równego dostępu do terapii dla pacjentów z chorobami rzadkimi w całej Unii Europejskiej. Niestety wobec rzadkich chorób w Polsce wartości te nie są uwzględniane.

Zgodnie z prawem i procedurą rejestracyjną w Unii Europejskiej leki stosowane w terapii chorób rzadkich zaliczane są do grupy leków sierocych, ponieważ dotyczą bardzo wąskiej grupy pacjentów dotkniętych przewlekłymi i rzadko występującymi schorzeniami. W świetle rozporządzenia Unii Europejskiej - jak już cytowałam - 141/2000 leki, aby we Wspólnocie uzyskać status leku sierociego, muszą być przeznaczone do leczenia stanów chorobowych, poważnych, przewlekłych i zagrażających życiu. Leki do terapii chorób Fabry"ego, MPS typu II i VI oraz choroby Pompego, spełniając te wszystkie warunki, zostały zarejestrowane

centralnie w EMA przez komitet do spraw sierocych produktów leczniczych jako leki sieroce. Ponadto terapia chorób rzadkich objęta jest szczególną troską Wspólnoty. Między innymi dzięki wyżej wymienionemu rozporządzeniu i wcześniejszym regulacjom unijnym choroby rzadkie zostały uznane za obszar priorytetowych działań w zakresie zdrowia publicznego Unii Europejskiej. Niestety w polskim systemie opieki zdrowotnej w dalszym ciągu specyfika chorób rzadkich jest ignorowana.

Przekonana o zaangażowaniu władz Rzeczypospolitej Polskiej w tworzenie stabilnych podstaw leczenia osób cierpiących na przewlekłe, ultraradkie choroby, ponownie apeluję o natychmiastowe podjęcie działań mających na celu rozpoczęcie terapii wszystkich oczekujących na ratunek pacjentów. Państwo polskie, realizując zasadę solidarności społecznej, nie może uchylać się od zapewnienia swoim obywatelom leczenia ratującego życie.

Dlatego zwracam się z pytaniem do Pani Minister:

Kiedy dzieci i ich rodziny doczekają się finansowania terapii ratującej życie chorych na choroby rzadkie Fabry'ego, mukopolisacharydozę typu II oraz VI i chorobę Pompego?

Z wyrazami szacunku

Poseł Bożena Kotkowska

Bielsko-Biała, dnia 15 października 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -

na interpelację nr 5913

**w sprawie finansowania terapii ratującej życie dzieci chorych na rzadkie choroby Fabry'ego, mukopolisacharydozę typu II oraz VI, a także chorobę Pompego**

Szanowny Panie Marszałku! W odpowiedzi na interpelację pani Bożeny Kotkowskiej, posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 23 października 2008 r. (SPS-023-5913/08), w sprawie finansowania terapii ratującej życie dzieci chorych na rzadkie choroby Fabry'ego, mukopolisacharydozę typu II oraz VI, a także chorobę Pompego, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Działania dotyczące zagwarantowania obywatelom należytego dostępu do świadczeń opieki zdrowotnej są realizowane przez ministra zdrowia na podstawie obowiązujących aktów prawnych, tj. ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (tekst jednolity - Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027), akty wykonawcze do ww. ustawy oraz zarządzenia prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia, dotyczące 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.

Kwestia chorób rzadkich i leków sierocych wymaga specjalnych rozwiązań precyzyjnie określających zasady, na podstawie których państwo zobowiązuje się zapewnić swoim obywatelom dostęp do terapii. Należy wyjaśnić, że do chorób rzadkich zalicza się choroby o ciężkim przebiegu, których częstość występowania w danej populacji nie przekracza 5 na 10 000 osób.

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

Leczenie chorób rzadkich i ultraradkich prowadzone jest w specjalistycznych ośrodkach medycznych. Ośrodkiem, w którym są leczone choroby rzadkie i ultraradkie, dotyczące dzieci, jest Instytut - "Pomnik Centrum Zdrowia Dziecka". Działalność instytutu w zakresie genetyki medycznej koncentruje się w szczególności na diagnostyce zespołów uwarunkowanych genetycznie oraz zagadnieniach poradnictwa genetycznego wraz z diagnostyką prenatalną dla rodzin ryzyka genetycznego. Instytut jest ośrodkiem

referencyjnym w Polsce w zakresie diagnostyki klinicznej i molekularnej oraz poradnictwa genetycznego takich chorób jak: Zespół Huntera, choroba Pradera i Willego, choroba Leigha, Zespół Retta, choroba Pompego, Maroteaux-Leame.

Jednocześnie informuję, że zarządzeniem ministra zdrowia powołany został 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 dalszego 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.

Terapia chorób rzadkich została uznana przez ministra zdrowia za jeden z priorytetowych celów działań w zakresie zdrowia publicznego.

Uprzejmie informuję, że obecnie dobiegają końca prace nad finansowaniem produktów leczniczych stosowanych w chorobach rzadkich i decyzja ministra zdrowia w tej sprawie zostanie ogłoszona w najbliższym czasie.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 21 listopada 2008 r.