

Interpelacja nr 825

do ministra zdrowia

### **w sprawie udzielenia pomocy rodzinom osób chorych na mukopolisacharydozę**

Szanowna Pani Minister! W związku ze składanymi przez Panią deklaracjami i zapowiedziami, zgodnie z którymi wśród priorytetów wymieniła Pani rozwiązanie problemów chorujących na najmniej spotykane choroby, zwracam się z uprzejmą prośbą o sprecyzowanie zamierzeń co do osób chorych na mukopolisacharydozę (MPS).

Wypada podkreślić, iż mukopolisacharydoza jest chorobą przemiany materii, dziedziczną i bardzo trudną do zdiagnozowania. Jej przyczyną jest wada metabolizmu polegająca na gromadzeniu się w organizmie mukopolisacharydów, które uszkadzają komórki i narządy ciała, atakuje ona ścięgna, uwstecznia fizycznie i umysłowo. W konsekwencji prowadzi to do wyniszczenia i spustoszenia niemal całego organizmu chorego. Szacuje się, iż w Polsce na 29 tys. urodzonych dzieci jedno rodzi się z mukopolisacharydozą. Należy zauważyć, iż terapia lecznicza dzieci chorych na mukopolisacharydozy polega głównie na łagodzeniu bądź zapobieganiu towarzyszącym im komplikacjom zdrowotnym.

Z informacji przeze mnie uzyskanych aktualnie na liście leków refundowanych przez Ministerstwo Zdrowia nie znajdują się lekarstwa, które neutralizują skutki tej choroby. Mam również świadomość, iż koszty kuracji mającej na celu stonowanie efektów schorzenia waha się od 400 tys. zł do nawet 1,5 mln zł. Zatem zważywszy na koszty dla większości rodziców jest to bariera nie do przebycia. W tym miejscu nie można zapomnieć o trudzie i wielu poświęceniach rodziców, związanych z nieprzerwanym udziałem w opiece nad chorym dzieckiem, co wpływa na ograniczenie ich możliwości zarobkowych.

Dlatego też celowe i uzasadnione w moim przekonaniu jest podjęcie działań, które doprowadzą do rzeczywistej pomocy osobom cierpiącym na to schorzenie, jak również ich rodzinom.

W tym zakresie zgłaszam interpelację poselską.

1. Jakie środki faktyczne i prawne ma zamiar podjąć kierowane przez Panią Ministerstwo Zdrowia, aby zmienić obecny stan rzeczy?

2. Czy Ministerstwo Zdrowia udzieli wsparcia rodzicom w zakupie niezbędnych środków leczniczych i aparatów, w szczególności czy zostaną wciągnięte na listę leków refundowanych specyfiki pomocne w leczeniu dzieci chorych na MPS?

3. Czy ministerstwo ma zamiar wprowadzić program badań genetycznych i prenatalnych u rodzin, w których ta choroba występuje?

Z poważaniem

Poseł Józef Rojek

Tarnów, dnia 22 stycznia 2008 r.

Odpowiedź podsekretarza stanu w Ministerstwie Zdrowia - z upoważnienia ministra -  
na interpelację nr 825

### **w sprawie udzielenia pomocy rodzinom osób chorych na mukopolisacharydozę**

Szanowny Panie Marszałku! W związku z interpelacją Pana Józefa Rojka, Posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, przesłaną przy piśmie z dnia 4 lutego 2008 r. (SPS-023-825/08), w sprawie udzielenia pomocy rodzinom osób chorych na mukopolisacharydozę, przekazuję uprzejmie następujące informacje.

Polityka zdrowotna państwa jest realizowana przez ministra zdrowia na podstawie uprawnień ustawowych. Warunki udzielania i zakres świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych 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, ponadto w art. 15 zawarty został katalog świadczeń finansowanych ze środków publicznych, które przysługują świadczeniobiorcy, m.in. zaopatrzenie w produkty lecznicze, wyroby medyczne i środki pomocnicze.

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. Wysokość łącznych zobowiązań Narodowego Funduszu Zdrowia wynikających z zawartych ze świadczeniodawcami umów nie może przekroczyć wysokości wydatków przewidzianych na ten cel w planie finansowym funduszu. W związku z powyższym należy wskazać, iż kwestia dotycząca zwiększenia nakładów na świadczenia opieki zdrowotnej jest ściśle powiązana z poziomem środków finansowych, jakimi dysponuje NFZ.

Odnosząc się do pytań, uprzejmie informuję.

1. Kwestia chorób rzadkich, do których należy mukopolisacharydoza, 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 podjęło niezbędne działania celem wypracowania wspólnego stanowiska w przedmiotowej sprawie i podjęcia wiążących decyzji w kwestii finansowania terapii lekami sierocymi. Opracowany został projekt zarządzenia ministra zdrowia w sprawie powołania Zespołu do Spraw Chorób Rzadkich jako ciała doradczego w sprawach przedstawiania propozycji rozwiązań w zakresie terapii chorób rzadkich oraz ich finansowania.

W skład zespołu zgodnie z projektem miałoby wejść eksperci, autorytety z różnych dziedzin medycyny (konsultanci krajowi), przedstawiciele instytutów naukowych, Narodowego Funduszu Zdrowia, Ministerstwa Zdrowia.

2. Zapewnienie pacjentom dostępu do terapii chorób rzadkich zależy od wielu czynników, które muszą być spełnione przy podejmowaniu decyzji w tym zakresie.

Nie przewiduję wpisania chorób rzadkich do wykazu chorób przewlekłych, m.in. ze względu na niewielkie grupy pacjentów i wysokie koszty farmakoterapii. Przyjęte rozwiązania zakładają finansowanie terapii chorób rzadkich w ramach programów terapeutycznych finansowanych ze środków pozostających w dyspozycji Narodowego Funduszu Zdrowia. Ośrodkiem, który koordynuje leczenie chorób rzadkich, m.in. MPS, jest Instytut "Pomnik - Centrum Zdrowia Dziecka". W związku z tym pod opieką instytutu pozostają praktycznie wszyscy pacjenci z ustalonym rozpoznaniem tej choroby.

Biorąc pod uwagę 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 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.

Program terapeutyczny może obejmować świadczenia zdrowotne rzeczowe oraz inne świadczenia zdrowotne, których wykonanie jest niezbędne do włączenia świadczeniobiorców do programu, monitorowania ich stanu zdrowia oraz wyników leczenia.

Obecnie w ramach programów terapeutycznych leczeni są, od trzech lat, pacjenci z chorobą Gauchera i Hurlera (mukopolisacharydoza typ I), umożliwiającą finansowanie ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia preparatów Aldurazyme (Laronidaza) oraz Imigluceraza. W ostatnim okresie został pozytywnie oceniony przez Agencję Oceny Technologii Medycznych wniosek leczenia choroby Pompego lekiem Myozyme. Wniosek uzyskał rekomendację finansowania wymienionej terapii i wdrożenie programu terapeutycznego. Obecnie w Narodowym Funduszu Zdrowia trwają prace związane z utworzeniem programu terapeutycznego. Po podjęciu ostatecznych decyzji co do kształtu przygotowanego programu zostanie on opublikowany stosownym zarządzeniem prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.

3. Obecnie nie planuje się wprowadzenia programu badań genetycznych i prenatalnych u rodzin, w których występuje mukopolisacharydoza. Koordynacja leczenia chorób rzadkich na szczeblu krajowym, wprowadzenie regulacji prawnych, powołanie Zespołu do Spraw Chorób Rzadkich oraz wypracowanie stanowiska odnośnie finansowania leków sierocych stosowanych w tych chorobach pozwoli na zwiększenie dostępu pacjentów do leków o statusie uprzywilejowanym.

Z poważaniem

Podsekretarz stanu

Marek Twardowski

Warszawa, dnia 25 lutego 2008 r.