

znak:CF/DSOZ/2012/078/0165/K/104240/305

Warszawa, dnia 21.02.2012 r.

**Pani
Teresa Matulka
Prezes Stowarzyszenia na Mukopolisacharydozę
i Choroby Rzadkie
Ul. Radnych 9a
05-503 Głusków**

Szanowne Pani Prezes

W odpowiedzi na pismo z dnia 12.01.2012r. dotyczące finansowania terapii domowej dla pacjentów chorych na mukopolisacharydozę i inne choroby lizosomalne proszę o przyjęcie przedstawionego poniżej stanowiska.

Narodowy Fundusz Zdrowia finansuje substytucyjną terapię enzymatyczną u pacjentów chorujących na lizosomalne choroby spichrzeniowe w ramach następujących terapeutycznych programów zdrowotnych:

Nazwa programu zdrowotnego	Lek
leczenie mukopolisacharydozy typu II (zespół Huntera)	sulfataza iduronianu (Elapraxe)
leczenie choroby Pompego	alglucozydaza alfa (Myozyme)
leczenie choroby Hurler	laronidaza (Aldurazyme)
leczenie mukopolisacharydozy typu VI (zespół Maroteaux-Lamy)	galsulfasa (Naglazyme)
leczenie choroby Gauchera	imigluceraza (Cerezyme)

Programy te obejmują większość aktualnie dostępnych rodzajów terapii substytucyjnych. Odnosząc się do Państwa wniosku o wprowadzenie możliwości leczenia w warunkach domowych należy mieć na uwadze następujące kwestie:

1. Zapisy zawarte w charakterystykach produktów leczniczych:
 - Produkty lecznicze: Aldurazyme, Myozyme, Naglazyme powinny być podawane w odpowiednich warunkach klinicznych, pod nadzorem lekarza, z dostępem do wyposażenia resuscytacyjnego potrzebnego do leczenia nagłych stanów zagrożenia życia ze względu na możliwość wystąpienia ciężkich reakcji związanych z infuzją lub objawów poinfuzyjnych.
 - Produkt leczniczy Elapraxe może być podawany w warunkach domowych, ale jedynie u pacjentów, którzy przez okres kilku miesięcy otrzymywali leczenie w klinice i dobrze je tolerowali. Infuzje w domu należy podawać pod nadzorem lekarza lub innego pracownika służby zdrowia.
 - Jedynie w przypadku produktu leczniczego Cerezyme istnieje możliwość podawania w warunkach domowych bez nadzoru lekarza u wybranej grupy pacjentów (dobrze tolerujących lek, po odpowiednim przeszkoleniu pacjenta lub opiekuna).

2. Zapisy zawarte w rozporządzeniach Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu programów zdrowotnych:
 - Świadczenia związane z realizacją wszystkich rozpatrywanych programów mogą być realizowane w ośrodkach pediatrycznych lub chorób wewnętrznych w jednym z następujących trybów: ambulatoryjnym lub jednodniowym lub hospitalizacji. Nie uwzględniono tu terapii w warunkach domowych.
 - W odniesieniu do 4 leków (z wyjątkiem imiglucerazy) zaznaczono, że podawanie leku powinno być nadzorowane przez lekarza posiadającego doświadczenie w diagnozowaniu i leczeniu pacjentów z dziedzicznymi zaburzeniami metabolicznymi. Z uwagi na możliwość występowania objawów niepożądanych, z wstrząsem włącznie, leki należy podawać przy bezpośrednim dostępie do leków, sprzętu i aparatury ratującej życie. Takie zapisy wykluczają więc terapię w warunkach domowych.

Należy podkreślić, że warunki realizacji świadczeń zdrowotnych zawarte w opisie terapeutycznego programu zdrowotnego muszą być zgodne z warunkami określonymi przez Ministra Zdrowia.

3. Z analizy piśmiennictwa wynika, że w niektórych przypadkach terapia może być prowadzona w warunkach domowych. Dotyczy to pacjentów, którzy spełniają ściśle określone kryteria np. wcześniejsze przyjmowanie leku w warunkach klinicznych przez kilka miesięcy, dobra tolerancja leku, przeszkolenie pacjenta lub opiekuna, odpowiednie warunki domowe. Prowadzenie tego rodzaju terapii wymaga również odpowiedniej organizacji systemu opieki zdrowotnej np. w niektórych krajach funkcjonują zespoły opieki domowej szkolące oraz nadzorujące pacjentów i ich opiekunów.

Podsumowując, prowadzenie substytucyjnej terapii enzymatycznej jest teoretycznie możliwe jedynie w przypadku 2 produktów leczniczych: Cerezyme i Elapraze, tym niemniej wymagałoby to dokonania przez Ministra Zdrowia zmiany zapisów określających warunki realizacji tych świadczeń oraz sprawnego funkcjonowania odpowiednich struktur organizacyjnych (np. specjalistycznych zespołów lekarsko-pielęgniarskich), co pozwoliłoby na zapewnienie bezpieczeństwa pacjentom. Ponadto należy mieć na uwadze zmiany, które będą miały miejsce w najbliższym czasie. Zgodnie z ustawą z dnia 12.05.2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych terapeutyczne programy zdrowotne są realizowane na aktualnie obowiązujących zasadach najpóźniej do 30.06.2012r. Od 1 lipca br. zaczną funkcjonować programy lekowe. Przygotowanie projektu programu jest zadaniem wnioskodawcy, którym może być podmiot odpowiedzialny lub jego przedstawiciel. Ostateczna decyzja, po uwzględnieniu rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i stanowiska Komisji Ekonomicznej, będzie należała do Ministra Zdrowia.

2 Urszula Reul

Zastępca Prezesa ds. Medycznych
Narodowego Funduszu Zdrowia

Maciej Dworski

Do wiadomości:

1. Pan Bartosz Arłukowicz, Minister Zdrowia
2. Pan Jacek Graliński, Przewodniczący Zespołu ds. Chorób Rzadkich, Ministerstwo Zdrowia
3. Pani Krystyna Kozłowska, Rzecznik Praw Pacjenta, al. Zjednoczenia 25, 01-829 Warszawa
4. Pan Bolesław Piecha, Przewodniczący Sejmowej Komisji Zdrowia, ul. Wiejska 4/6/8, 00-902 Warszawa