GABINET MARSZAŁKA SENATU
wpłynęło dn. 14.07. 2017 r.
nr 3812 podpis

Minister Zdrowia

SEKRETARIAT
Biura Prac Senackich
Wpłynęło dn. 14.07.2017
nr ..... podpis

Warszawa, 6.07.2017

IK 984619/MB
dot. BPS1043-A2-1054117

Pan
Stanisław Karczewski
Marszałek Senatu
Rzeczypospolitej Polskiej

SEKRETARIAT
Biura Prac Senackich
Wpłynęło dn. 14.07.2017 r.
nr ..... podpis

Szanowny Panie Marszałku

W odpowiedzi na oświadczenie złożone przez senatora Waldemara Kraskę na 42. posiedzeniu Senatu w dniu 1 czerwca 2017 r., dotyczącą możliwości finansowania ze środków publicznych leczenia pacjentów chorych na nowotwór gruczołu krokowego enzalutamidem i dichlorkiem radu 223, proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Kwestie związane z refundacją leków reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536, z późn. zm.) zwana dalej „ustawą o refundacji".

Zgodnie z art. 24 ust. 1 pkt. 1 ustawy o refundacji, Wnioskodawca może złożyć do ministra właściwego do spraw zdrowia wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku. Należy podkreślić, iż art. 2 pkt 27 przedmiotowej ustawy definiuje wnioskodawcę jako: podmiot odpowiedzialny, przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego, podmiot uprawniony do importu równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne, wytwórcę wyrobów medycznych, jego autoryzowanego przedstawiciela, dystrybutora albo importera, w rozumieniu ustawy z dnia 20 maja 2010 r. o wyrobach medycznych, a także podmiot działający na rynku spożywczym. Powyższe oznacza, iż objęcie refundacją produktów leczniczych dokonywane są na wniosek podmiotu odpowiedzialnego.

Ministerstwo Zdrowia
ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

Telefon: (22) 634 96 00
e-mail: kancelaria@mz.gov.pl
www.mz.gov.pl

Postępowanie administracyjne w sprawie objęcia refundacją nowego leku może być procedowane do 180 dni, z tym że w przypadku konieczności uzupełnienia danych niezbędnych do rozpatrzenia złożonego przez podmiot odpowiedzialny wniosku, bieg tego terminu ulega zawieszeniu do dnia otrzymania uzupełnienia danych albo do dnia upływu terminu uzupełnienia wniosku. Dodatkowo, w przypadku wniosku o objęcie refundacją leku w ramach programu lekowego, powyższy termin ulega zawieszeniu do czasu uzgodnienia treści programu pomiędzy wnioskodawcą a ministrem właściwym do spraw zdrowia. Zgodnie z art. 35 ustawy refundacyjnej, minister właściwy do spraw zdrowia zwraca się do Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych w celu przygotowania analizy weryfikacyjnej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa Agencji. Następnie oceniony wniosek jest przekazywany do przeprowadzenia negocjacji cenowych przez Komisję Ekonomiczną, zgodnie z art. 18, 19 przedmiotowej ustawy. Zakończeniem procesu jest wydanie ostatecznej pozytywnej lub negatywnej decyzji administracyjnej przez Ministra Zdrowia w przedmiotowej sprawie.

Mając na uwadze powyższe informacje, należy wskazać, że w Ministerstwie Zdrowia prowadzone były oraz są aktualnie prowadzone postępowania w sprawie objęcia refundacją nowych substancji w leczeniu raka gruczołu krokowego.

W sprawie objęcia refundacją leku Xtandi (enzalutamid) toczyły się dwa postępowania, które zakończyły się podjęciem negatywnej decyzji przez Ministra Zdrowia. Aktualnie procedowane jest jedno postępowanie dotyczące tego leku. Szczegóły dotyczące powyższych postępowań przedstawione są poniżej.

Do Ministerstwa Zdrowia dnia 29.05.2014r. został złożony wniosek o objęcie refundacją leku Xtandi w ramach programu lekowego: „Leczenie opornego na kastrację raka gruczołu krokowego z przerzutami u dorosłych mężczyzn, u których podczas lub po zakończeniu leczenia docetakselem nastąpiła progresja choroby." W toku postępowania Prezes Agencji wydał Rekomendację nr 246/2014 z dnia 24 listopada 2014 r., w której nie rekomenduje objęcia refundacją wnioskowanej technologii lekowej. W uzasadnieniu wskazano, iż w wyniku pośredniego porównania skuteczności enzalutamidu względem refundowanego komparatora - octanu abirateronu nie wykazano istotnych statystycznie różnic dla pierwszorzędowego punktu końcowego, tj. czasu przeżycia całkowitego. Istotnie statystyczną przewagę enzulamidu wykazano w przypadku punktów drugorzędowych. Zdarzenia niepożądane obserwowane w grupach pacjentów przyjmujących enzalutamid i octan abirateronu także uznano za porównywalne. Ponadto odnalezione wytyczne organizacji międzynarodowych i towarzystw naukowych zalecają

stosowanie enzalutamidu w drugiej linii leczenia raka gruczołu krokowego na równi z octanem abirateronu. Natomiast analizując kwestie finansowania terapii lekiem Xtandi zauważono, że jest to terapia droższa od stosowania octanu abirateronu, nawet przy uwzględnieniu zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka. Minister Zdrowia po przeprowadzonych negocjacjach cenowych z Wnioskodawcą podjął decyzję o odmowie objęcia refundacją leku Xtandi w ramach programu: „Leczenie opornego na kastrację raka gruczołu krokowego z przerzutami u dorosłych mężczyzn, u których podczas lub po zakończeniu leczenia docetakselem nastąpiła progresja choroby."

Dnia 27.02.2015 został złożony kolejny wniosek w sprawie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny leku Xtandi (enzalutamidum) w ramach programu lekowego: *„Leczenie opornego na kastrację raka gruczołu krokowego u pacjentów niestosujących dotychczas chemioterapii (ICD-10 C.61)".* W toku postępowania została wydana Rekomendacja nr 67/2015 z dnia 11 sierpnia 2015 r., w której prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nie rekomenduje objęcia refundacją wnioskowanej technologii lekowej. W uzasadnieniu wskazano, że proponowane warunki finansowe objęcia refundacją enzalutamidu stanowią kontrargument dla wydania pozytywnej rekomendacji. Biorąc pod uwagę wyniki analizy wpływu na budżet przy zmienionych założeniach dotyczących udziałów w rynku oraz przy założeniu zwiększenia populacji, koszty stosowania terapii enzalutamidem są zbyt wysokie i nie uzasadnione potencjalnym efektem zdrowotnym. Zauważono ponadto, że w populacji pacjentów zdefiniowanej wnioskowanym wskazaniem nie stosuje się aktualnie aktywnego leczenia. Ponadto wyniki przedstawionych badań klinicznych wskazują na wpływ terapii na wydłużenie przeżycia całkowitego, choć zmiana ta ma ograniczoną wartość (wydłużenie przeżycia całkowitego o niepełne 3 miesiące). Wynik ten uzyskany został w badaniu o wysokiej jakości metodologicznej, niemniej porównanie z placebo obniża jego użyteczność. Wobec braku alternatywnego swoistego leczenia, mając na względzie uzyskanie potencjalnego wydłużenia przeżycia całkowitego, Prezes Agencji rekomenduje ewentualne objęcie refundacją produktu leczniczego Xtandi, pod warunkiem obniżenia ceny zapewniającej opłacalność terapii i wprowadzenia instrumentu dzielenia ryzyka, który zabezpieczy budżet przed nadmierną refundacją. Komisja Ekonomiczna po przeprowadzonych negocjacjach cenowych z Wnioskodawcą w podjętej uchwale uznała zaproponowany poziom ceny za nieodpowiedni. Minister Zdrowia po prowadzonej analizie całości zebranej dokumentacji oraz przy uwzględnieniu wszystkich kryteriów zawartych w art. 12 ustawy refundacyjnej podjął decyzję o odmowie objęcia refundacją leku Xtandi w ramach wnioskowanego programu lekowego.

Dnia 30 czerwca 2016 r. Wnioskodawca złożył kolejny wniosek o objęcie refundacją leku Xtandi (enzalutamidum) w ramach programu lekowego: *„Leczenie opornego na kastrację raka gruczołu krokowego z przerzutami (ICD-10 C-61)"*, który obejmuje *leczenie dorosłych chorych na raka gruczołu krokowego opornego na kastrację po niepowodzeniu terapii docetakselem.* Dnia 27 marca 2017 r. Prezes Agencji wydał rekomendację nr 19/2017, w której rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Xtandi (enzalutamidum) w ramach wnioskowanego programu lekowego. W uzasadnieniu wskazano, iż biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości, a także dostępne dowody naukowe i wyniki analiz farmakoekonomicznych, wytyczne kliniczne i rekomendacje refundacyjne oraz opinie eksperckie, stwierdza, że finansowanie ze środków publicznych ocenianej technologii medycznej jest uzasadnione. Komisja Ekonomiczna po przeprowadzonych negocjacjach cenowych z Wnioskodawcą w podjętej uchwale uznała zaproponowany poziom ceny za nieodpowiedni.

Aktualnie trwa analiza całości zebranej dokumentacji, która umożliwi podjęcie ostatecznej pozytywnej bądź negatywnej decyzji przez Ministra Zdrowia w zakresie objęcia refundacją leku Xtandi we wnioskowanym wskazaniu.

Ponadto, w Ministerstwie Zdrowia prowadzone jest postępowanie związane z lekiem Xofigo (Dichlorek radu Ra-223) w ramach programu lekowego: *"Leczenie przerzutów do kości w przebiegu zaawansowanego raka gruczołu krokowego opornego na kastrację (ICD-10 C61)"*. W toku postępowania została wydana Rekomendacja 26/2015 z dnia 30 marca 2015 r., w której prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją wnioskowanej technologii lekowej. W uzasadnieniu wskazano, iż stosowanie wnioskowanej terapii może wpływać na wydłużenie przeżycia pacjentów, przy porównywalnym względem komparatorów profilu bezpieczeństwa. Zauważono, że biorąc pod uwagę brak różnic w uzyskiwanych efektach zdrowotnych względem abirateronu, terapia Xofigo przy proponowanych kosztach nie jest leczeniem atrakcyjnym finansowo. Na podstawie dostępnych dowodów można natomiast uznać, że jako terapia stosowana u wyselekcjonowanych pacjentów otrzymujących najlepsze leczenie objawowe wnioskowany produkt leczniczy wykazuje skuteczność dla wszystkich ocenianych punktów końcowych przy jednoczesnym korzystniejszym profilu bezpieczeństwa. Należy mieć jednak ograniczone zaufanie do uzyskanych wyników, gdyż sugerują one, że terapia w większym stopniu wpływa na prewencję czasu do wystąpienia zdarzenia związanego z układem kostnym, niż na przeżycie całkowite pacjenta. Mając na uwadze powyższe Prezes Agencji rekomenduje ewentualne objęcie

refundacją produktu leczniczego Xofigo (dichlorek radu-223), pod warunkiem zapewnienia, że miesięczne koszty terapii dwuchlorkiem radu-223 nie będą wyższe niż analogiczne, ponoszone przez płatnika publicznego w ramach finansowania terapii octanem abirateronu. Komisja Ekonomiczna po przeprowadzonych negocjacjach cenowych z Wnioskodawcą w podjętej Uchwale uznała zaproponowany poziom ceny za nieodpowiedni.

Aktualnie przedmiotowe postępowanie jest zawieszone na wniosek Strony. Należy zaznaczyć, iż w czasie zawieszenia postępowania administracyjnego Organ nie podejmuje żadnych czynności związanych z przedmiotowym postępowaniem, dlatego na obecnym etapie nie jest możliwym przyśpieszenie wyżej opisanego procesu administracyjnego. Decyzja administracyjna, pozytywna lub negatywna, w sprawie objęcia refundacją ww. produktu leczniczego będzie wydana po podjęciu postępowania oraz zapoznaniu się z całością zgromadzonego w przedmiotowej sprawie materiału.

Dopełniając odpowiedzi uprzejmie informuję, iż ustawa o refundacji jasno określa warunki jakie muszą spełnić nowe technologie, aby Minister Zdrowia mógł podjąć pozytywną decyzję o objęciu refundacją. Zgodnie z art. 12 ustawy o refundacji decyzję o objęciu leku refundacją wydaje się mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, które przeznaczone są do zaspokojenia potrzeb w zakresie ochrony zdrowia wszystkich obywateli we wszystkich stanach klinicznych oraz przy uwzględnieniu następujących kryteriów:

1) Stanowiska Komisji Ekonomicznej,
2) Rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych,
3) Istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,
4) Skuteczności klinicznej i praktycznej,
5) Bezpieczeństwa stosowania,
6) Relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania,
7) Stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym,
8) Konkurencyjności cenowej,
9) Wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców,
10) Istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania,

11) Wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3–10,

12) Priorytetów zdrowotnych określonych w przepisach wydanych na podstawie art. 31a ust. 2 ustawy o świadczeniach,

13) Wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz. U. Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia

- biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny.

Z poważaniem

Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Marek Tombarkiewicz