



Minister Zdrowia

PLD.070.5.2017.MZ

dot. BPS 1043-37-914117

KABINET MARSZAŁKA SENATU

wpłynęło dn. 18.06.2017r.

nr 2056 podpis. [signature]

Warszawa, 13.04.17

SEKRETARIAT

Główna Izba Senackich

wpłynęło dn. 18.04.17

nr 2275 podpis. [signature]

Pani

Maria Koc

Wicemarszałek Senatu

Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowna Pani Wicemarszałek

W odpowiedzi na oświadczenie Pana Senatora Krzysztofa Słonia, przekazane przy piśmie Pani Marii Koc, Wicemarszałek Senatu Rzeczypospolitej Polskiej, w sprawie wsparcia leczenia pacjentów chorych na rdzeniowy zanik mięśni (SMA), uprzejmie przekazuję wyjaśnienia w przedmiotowej sprawie.

Produkt Nusinersen nie jest w chwili obecnej dopuszczony do obrotu na terenie RP oraz nie pozostaje w obrocie w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2016 r. poz. 2142, z późn. zm.). Oznacza to, że nie jest on jeszcze zarejestrowany w Polsce oraz wciąż trwają nad nim badania.

Minister Zdrowia, w dniu 22 grudnia 2016 r. w ramach tzw. wczesnego dostępu, na podstawie art. 4 ust. 8 ustawy Prawo farmaceutyczne, wydał zgodę na czasowe dopuszczenie do obrotu produktu Nusinersen (ISIS 396443), fiolka 12 mg (2,4 mg/ml fiolka 5ml). Wydanie przedmiotowej zgody było uzasadnione m.in. ze względu na bardzo obiecujące wyniki badań klinicznych oraz ważny interes społeczny. W chwili obecnej trwa realizacja programu dostępu do produktu Nusinersen, który umożliwi dostęp do terapii eksperymentalnych pacjentom niekwalifikującym się do lub nie mogącym uczestniczyć w programie badań klinicznych. Firma Biogen obejmuje leczeniem eksperymentalnym pacjentów z SMA w typie 1. Kryteria kwalifikacyjne opierały się na potwierdzeniu SMA na podstawie badania genetycznego, wystąpieniu pierwszych objawów choroby poniżej 180 dni życia, zgodnie z typem I, ocenie potencjalnej korzyści leczenia eksperymentalnego przez lekarza prowadzącego, który jest w stanie zapewnić prowadzenie leczenia i opieki.

Ponadto, w dniu 23 grudnia 2016 r., produkt leczniczy Spinraza, *Nusinersen* został zarejestrowany w USA we wszystkich 4 typach. W chwili obecnej, w celu zapewnienia leczenia większej grupy pacjentów, możliwe jest sprowadzenie z zagranicy w/w produktu leczniczego, który nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Polski, w ramach procedury tzw. importu docelowego. Stanowią o tym przepisy art. 4 ustawy Prawo farmaceutyczne. W przypadku, gdy lekarz prowadzący leczenie, podejmie decyzję o wprowadzeniu do leczenia leku, który nie jest dopuszczony do obrotu w Polsce, koniecznym jest wypełnienie zapotrzebowania na sprowadzenie produktu leczniczego z zagranicy, którego zasadność potwierdza Konsultant Krajowy bądź Konsultant Wojewódzki w danej dziedzinie medycyny. Potwierdzone przez Konsultanta zapotrzebowanie wraz z informacją dotyczącą choroby pacjenta należy przestać do Ministerstwa Zdrowia w terminie nie dłuższym niż 60 dni od dnia wystawienia.

Jednocześnie pragnę zapewnić, że sytuacja osób chorych na rdzeniowy zanik mięśni stanowi przedmiot troski Ministra Zdrowia. Ze względu na postać oraz przebieg przedmiotowego schorzenia, resort zdrowia przykłada do niego dużo uwagi, realizując szeroko pojętą politykę zdrowotną. Działając w ramach obowiązujących przepisów prawnych podejmowane są wielokierunkowe działania, celem udostępniania pacjentom coraz to nowszych opcji terapeutycznych. Minister Zdrowia dokłada wszelkich starań, by sprostać oczekiwaniom wszystkich grup pacjenckich w Polsce. W tym celu prowadzone są staranne prace analityczne, pracownicy resortu regularnie zapoznają się z wynikami badań klinicznych oraz najbardziej aktualnymi publikacjami naukowymi.

Chciałbym podkreślić, iż Minister Zdrowia podejmuje wszelkie możliwe działania, mające na celu zwiększenie dostępu pacjentom do skutecznej i bezpiecznej farmakoterapii, w ramach dostępnych środków publicznych. Realizując politykę zdrowotną państwa, Minister Zdrowia kieruje się zasadami medycyny opartej na dowodach naukowych (EBM) oraz oceny technologii medycznych (HTA), co zapewnia przejrzystość i racjonalność podejmowanych decyzji o alokacji środków publicznych.



Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Marek Tombarakiewicz