



Minister Zdrowia

Warszawa, 03 października 2022

PLR.050.214.2022.JW

Pan Tomasz Grodzki
Marszałek Senatu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na oświadczenie złożone przez Panią Senator Agnieszkę Gorgoń-Komor podczas 48. posiedzenia Senatu 7 września 2022 r., w sprawie refundacji leków na rdzeniowy zanik mięśni (SMA), Minister Zdrowia uprzejmie prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Na wstępie należy zaznaczyć, że próżno szukać systemu ochrony zdrowia, który będzie systemem zupełnym, w tym znaczeniu, iż będzie w stanie zapewnić możliwość leczenia każdym lekiem zarejestrowanym na świecie i w całym zakresie jego zarejestrowanych wskazań, a być może i również poza nimi (tzw. „off label”). „Podkreślić należy, że art. 68 Konstytucji nie wymaga, aby wszystkie świadczenia opieki zdrowotnej, jakie są udzielane przez publiczną służbę zdrowia, były nieodpłatne. Ustawodawca powinien jednak - i jest to jego podstawowy obowiązek, płynący z art. 68 - jednoznacznie ustalić, które rodzaje świadczeń są dostępne bez konieczności ponoszenia dodatkowych kosztów (tzw. koszyk świadczeń gwarantowanych), a które mają charakter ponadstandardowy i wymagają sfinansowania (czy dofinansowania) przez obywatela (por. wyrok Trybunału Konstytucyjnego K 14/03). Wskazany przepis daje zatem ustawodawcy - w zależności od aktualnego stanu finansów publicznych - możliwość wprowadzenia podziału świadczeń opieki zdrowotnej na takie, które będą nieodpłatne, częściowo odpłatne oraz w pełni odpłatne. Ważne jednak, aby podział ten był określony

na poziomie ustawowym, z poszanowaniem zasad poprawnej legislacji (por. wyrok Trybunału Konstytucyjnego K 14/03).” (wyrok Naczelnego Sądu Administracyjnego z dnia 23 stycznia 2018 r., sygn. akt: II GSK 1315/17).

Na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej zarejestrowanych i dostępnych jest wiele produktów leczniczych, które potencjalnie mogą ratować zdrowie i życie ludzkie, które to produkty nie są jednak objęte dofinansowaniem ze strony płatnika publicznego. W tym znaczeniu również leki sprowadzane z zagranicy w trybie art. 4 ustawy Prawo farmaceutyczne nie stanowią systemu zupełnego, a obowiązujące przepisy prawa wyznaczają jedynie granice dotyczące możliwości pokrycia kosztów danego leku. Przyjęcie innej interpretacji, o konieczności refundowania wszystkich produktów we wszystkich wskazaniach, groziłoby paraliżem finansów Państwa i byłoby precedensem na skalę światową.

Przepis art. 68 ust. 2 Konstytucji Rzeczypospolitej Polskiej mówi o równym dostępie obywateli do świadczeń opieki zdrowotnej. Gwarancją równości w dostępie do świadczeń są w szczególności właśnie procedury, uregulowane przepisami prawa – w niniejszej sprawie ustawą o refundacji, ustanawiające jednakowe dla wszystkich - i niezależne od sytuacji materialnej danej osoby - zasady ubiegania się o udzielenie świadczenia danego rodzaju. Z uwagi na ograniczone możliwości finansowe płatnika publicznego nie jest możliwym, aby wszystkie świadczenia, jakie są stosowane w danej terapii, były nieodpłatne.

Od ponad trzech lat w Polsce ze środków publicznych finansowane jest leczenie rdzeniowego zaniku mięśni dla całej populacji chorych na SMA. Od 1 stycznia 2019 r. Minister Zdrowia objął refundacją lek Spinraza (nusinersen) w ramach programu lekowego „Leczenie rdzeniowego zaniku mięśni” w populacji przedobjawowych i objawowych pacjentów z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzonego badaniem genetycznym. Powyższe oznacza, że od ponad trzech lat cała populacja chorych jest zabezpieczona w skuteczne i bezpłatne leczenie. W ocenie środowiska medycznego wspomniany powyżej lek nusinersen (Spinraza) zapoczątkował przełom w leczeniu pacjentów cierpiących na SMA.

Od 1 września refundacją objęto dwie dodatkowe terapie – terapię genową Zolgensma (Onasemnogenum abeparvovec) oraz lek Evrysdi (rysdyplam). Wszystkie trzy leki są dostępne w ramach jednego zintegrowanego programu lekowego, i nadal program

lekowy obejmie całą populację osób chorych na rdzeniowy zanik mięśni. Obecnie brak jest badań typu head-to-head, które bezpośrednio porównywałyby skuteczność terapii genowej z dostępnymi, alternatywnymi metodami leczenia. W rezultacie, nie ma podstaw naukowych do stwierdzenia wyższości terapii genowej nad technologiami medycznymi dostępnymi w ramach programu B.102. Decyzja o kwalifikacji i włączeniu do programu lekowego i wyłączeniu chorego z programu, leży w kompetencji lekarza prowadzącego terapię pacjenta. Lekarz kierując się aktualną wiedzą medyczną, korzystając z dostępnych metod diagnostyczno-terapeutycznych decyduje o postępowaniu w określonym stanie klinicznym.

Wnioskodawca przedkładając wnioski refundacyjne leku Zolgensma, wskazał, iż spośród państw Unii Europejskiej lub państwach członkowskich Europejskiego Porozumienia o Wolnym Handlu (EFTA), lek Zolgensma refundowany jest w:

- **Austrii** - zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego Zolgensma¹
- **Belgii** - pacjenci z typem 1 SMA i przedobjawowi z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2, wiekiem poniżej 2 lat i masą ciała poniżej 13,5kg
- **Chorwacji** - pacjenci z typem 1 SMA oraz pacjenci z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2, wiekiem poniżej 2 lat i masą ciała pomiędzy 2,6kg a 13,5kg
- **Czechach** - zgodnie z ChPL, dla pacjentów z masą ciała nie przekraczającą 13,5kg, poniżej 2 r.ż.
- **Danii** - pacjenci przedobjawowi z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2; pacjenci z typem pierwszym poniżej 6 m.ż. lub starsi, jeśli nie tolerują terapii nusinersenem, ich masa ciała nie przekracza 13,5kg, oddychają samodzielnie i nie manifestują osłabionego napięcia mięśniowego
- **Grecji** - pacjenci przedobjawowi z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2; pacjenci z typem 1 lub 2, których masa ciała nie przekracza 14kg.
- **Hiszpanii** - pacjenci przedobjawowi z 2 kopiami genu SMN2 poniżej 6 tygodnia życia; pacjenci wcześniej nieleczeni z typem 1, poniżej 9 miesiąca życia i masą ciała nie większą niż 13,5kg

¹ CHPL Zolgensma: Produkt Zolgensma jest wskazany do stosowania w leczeniu:

- pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni (ang. spinal muscular atrophy, SMA) 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1; lub
- pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2.

- **Holandii** - pacjenci z typem pierwszym i przedobjawowi, z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2.
- **Irlandii** - pacjenci przedobjawowi z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2 lub pacjenci z typem 1.
- **Luksemburgu** - pacjenci z typem 1 SMA i przedobjawowi z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2, wiekiem poniżej 2 lat i masą ciała poniżej 13,5kg
- **Niemczech** - zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego Zolgensma
- **Norwegii** - pacjenci z przedobjawowi z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2; pacjenci z typem 1 do 6 miesiąca życia lub do 18 miesiąca życia, jeśli nie tolerują terapii nusinersenem.
- **Portugalii** - pacjenci z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2.
- **Rumunii** - pacjenci przedobjawowi z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2 lub pacjenci z typem 1.
- **Słowenii** - zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego Zolgensma
- **Włoszech** - pacjenci z typem pierwszym i masą ciała poniżej 13,5kg, pacjenci przedobjawowi z nie więcej niż 2 kopiami genu SMN2

Lek Zolgensma został objęty finansowaniem w ramach Funduszu Medycznego ujętego w ustawie z dnia 7 października 2020 r. (Dz.U. z 2020 r. poz. 1875) o Funduszu Medycznym, jako technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności (TLI). Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji, TLI to technologia lekowa stosowana w onkologii lub chorobach rzadkich, która uzyskała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską i która została umieszczona w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (art. 2 pkt 24 b ustawy o refundacji).

Ustalenie poziomu innowacyjności technologii lekowych stosowanych w onkologii lub chorobach rzadkich oraz ustalenie danych gromadzonych w rejestrze medycznym, w tym między innymi wskaźników oceny efektywności terapii i oczekiwanych korzyści zdrowotnych dokonywane jest przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, zwanej dalej „Agencją”. Agencja ustala poziom innowacyjności oraz zasady tworzenia wykazu, uwzględniając wiedzę z zakresu oceny technologii medycznych, w szczególności oczekiwane efekty zdrowotne, biorąc pod uwagę między innymi siłę

interwencji, jakość danych naukowych, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, wielkość populacji docelowej oraz priorytety zdrowotne.

Poziom innowacyjności technologii lekowych ustalany jest m. in. w oparciu o wskaźniki oceny efektywności terapii i oczekiwanych korzyści zdrowotnych wobec czego wybór grupy docelowej jest niejako udzieleniem przez Wnioskodawcę gwarancji efektywności terapii. W ramach monitorowania leczenia przez okres 48 miesięcy od podania leku z substancją czynną onasemnogen abeparwówek podlega ocenie wg kryteriów, które umożliwią ewentualne stwierdzenie braku skuteczności leczenia lub braku osiągnięcia kamieni milowych:

3) jako brak skuteczności uznaje się:

a) konieczność włączenia stałej wentylacji mechanicznej w okresie 48 miesięcy od dnia podania leku, rozumianej jako:

- inwazyjna wentylacja poprzedzona wykonaniem zabiegu tracheostomii trwająca przez co najmniej 16 godzin dziennie, w sposób ciągły przez co najmniej 14 kolejnych dni (przy braku ostrej, odwracalnej choroby i z wyjątkiem wentylacji okołoperacyjnej),

- stała wentylacja mechaniczna – należy udokumentować za pomocą 1 zdjęcia wykonanego w dniu stwierdzenia tego faktu oraz potwierdzić kodem ICD-9: 31.29 w dokumentacji medycznej pacjenta oraz w systemie rozliczeniowym NFZ.

b) utratę uzyskanych kamieni milowych rozwoju motorycznego w okresie 48 miesięcy od podania leku.

Uzyskane kamienie milowe rozwoju motorycznego należy rozumieć jako umiejętności zgodne z definicją WHO: samodzielne siedzenie, stanie bez podparcia, chodzenie bez podparcia, zdobyte w okresie przed podaniem leku oraz w dowolnym czasie po podaniu leku, a następnie utracone przez pacjenta w wyniku progresji choroby podstawowej (SMA).

4) jako brak osiągnięcia kamieni milowych rozwoju motorycznego (dotyczy pacjentów przedobjawowych) uznaje się:

a) nieuzyskanie umiejętności siedzenia bez podparcia przez co najmniej 10 sekund w badaniu wykonanym metodą wg. WHO po osiągnięciu 12 miesiąca życia pacjenta i potwierdzone w ponownym badaniu przeprowadzonym po 15 miesiącu życia pacjenta.

b) *nieuzyskanie umiejętności stania bez podparcia przez co najmniej 10 sekund w badaniu wykonanym metodą wg. WHO po osiągnięciu 20 miesiąca życia pacjenta i potwierdzone w ponownym badaniu przeprowadzonym po 23 miesiącu życia pacjenta.*

W tym miejscu trzeba nadmienić, że w przypadku pojawienia się nowych wyników badań klinicznych, potwierdzających skuteczność terapii w innych populacjach docelowych, Wnioskodawca może ubiegać się o zmianę warunków refundacji. Wówczas, wymagane jest złożenie odpowiedniego wniosku refundacyjnego wraz z pełną dokumentacją HTA oraz opłatami, w tym opłatą za przygotowanie analizy weryfikacyjnej przez Agencję.

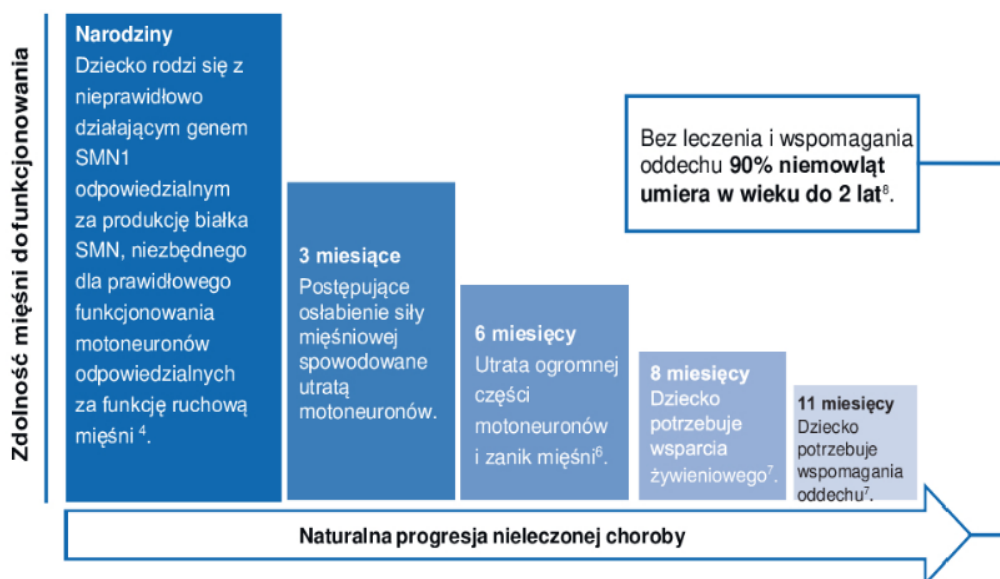
Należy również dodać, że zapisy programów lekowych uzgadniane są każdorazowo z gronem specjalistów klinicznych w odpowiedniej dziedzinie medycyny. W kwestii przedmiotowego programu lekowego nie było wyjątku. Zespół ekspertów kilkakrotnie opiniował aspekty kliniczne programu lekowego B.102.FM., a jego ostateczny kształt został zaakceptowany przez wszystkie strony uczestniczące w procesie jego wdrażania, w tym również podmioty odpowiedzialne. Sukces wdrożonego programu lekowego podkreślony został w stanowisku Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych opublikowanym 25 sierpnia 2022 r.², w którym środowisko medyczne nie zgłasza zastrzeżeń do warunków kwalifikacji pacjentów:

„Kryteria włączenia pacjentów do programu lekowego były szeroko dyskutowane przez ekspertów neurologów dziecięcych i neurologów i oparte są o dane naukowe zaczerpnięte z dostępnych badań i literatury przedmiotu. Program został skonstruowany tak, aby wszyscy pacjenci byli objęci należną im opieką i nie pozostawieni bez leczenia.”

² Źródło: <https://ptnd.pl/aktualnosc/nowy-program-leczenia-sma> (dostęp 03.10.2022 r.)

Objawy SMA zwykle nie są widoczne w pierwszych miesiącach życia dziecka, a czynnikiem decydującym o skuteczności terapii jest czas do rozpoczęcia leczenia, gdyż najlepsze efekty przynosi terapia rozpoczęta zanim uwidoczną się objawy choroby. Na rys. poniżej przedstawiono etapy progresji w SMA typu I³.

Progresja choroby w SMA typu I



Rys. 1. Etapy progresji choroby w SMA typu I na podstawie komunikatu firmy Novartis

Zasadnicze znaczenie wczesnego rozpoznania choroby wypowiedziane zostało również przez Wnioskodawcę, firmę Novartis Poland Sp. z o. o. w komunikacie prasowym⁴ opublikowanym 22 sierpnia 2022 r.

*„Bardzo się cieszę, że mogę potwierdzić decyzję o dostępie do leczenia terapią genową w Polsce, kolejnym kraju europejskim, który docenił wartość tej terapii. **Leczenie zastosowane wcześnie, daje szansę na zapobieganie objawom choroby.** Terapia genowa naprawdę staje się nowym złotym standardem opieki nad dziećmi cierpiącymi na SMA. (...)*

³ Źródło: <https://www.cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/wczesna-diagnoza-ma-zasadnicze-znaczenie-dla-chorych-na-sma> (dostęp 03.10.2022 r.)

⁴ Źródło: <https://www.novartis.pl/news/terapia-genowa-w-leczeniu-sma-refundowana-w-polsce-od-1-wrzesnia-2022> (dostęp 03.10.2022 r.)

*Dzięki prowadzonym kompleksowym badaniom przesiewowym w kierunku SMA, obejmującym całą populację w ramach prowadzonego od 2021 roku programu przesiewowego noworodków, Polska jako jeden z nielicznych krajów na świecie może wdrożyć terapię genową **dla pacjentów przedobjawowych, kiedy korzyść z leczenia jest najwyższa.***

W tym miejscu należy również podkreślić to, jak znaczącą rolę w wykrywaniu chorób u najmłodszych pacjentów ma Rządowy program badań przesiewowych noworodków w Rzeczypospolitej Polskiej na lata 2019-2022. W ramach Programu prowadzone i finansowane są badania przesiewowe, które umożliwiają wykrycie kilkudziesięciu chorób wrodzonych. Wykrycie chorób i wprowadzenie właściwego leczenia zapobiegają zaburzeniom rozwoju i ciężkiej niepełnosprawności intelektualnej i fizycznej wykluczającej samodzielne funkcjonowanie osoby chorej w społeczeństwie. Program przesiewowy skierowany jest do wszystkich dzieci urodzonych w Rzeczypospolitej Polskiej, bez względu na narodowość opiekunów prawnych oraz status ubezpieczenia. Realizatorem tego programu jest Instytut Matki i Dziecka (IMiD) w Warszawie. W ramach programu prowadzone są badania w kierunku zdiagnozowania m.in.:

- wrodzonej niedoczynności tarczycy (hipotyreozy);
- fenyloketonurii (PKU);
- mukowiscydozy (CF);
- rzadkich wad metabolizmu metodą MS/MS (grupa 24 chorób);
- wrodzonego przerostu nadnerczy;
- deficytu biotynidazy;
- rdzeniowego zaniku mięśni (SMA).

Pacjenci poddani zostają badaniom już w pierwszych dobach życia. Badania przesiewowe SMA w ramach niniejszego programu polityki zdrowotnej, zostały zainicjowane w kwietniu 2021 w ramach pilotażu. Jednakże, od 28 marca 2022 r. badania przesiewowe noworodków w kierunku SMA objęły całą populację. W efekcie, możliwym jest diagnozowanie noworodków chorych na SMA jeszcze przed wystąpieniem objawów choroby i zastosowanie odpowiedniego leczenia.

Na zakończenie, należy podkreślić, iż resort zdrowia przykłada bardzo dużo uwagi do problemów pacjentów cierpiących na SMA, czego efektem są systematycznie

wdrażane rozwiązania dla tej grupy chorych. Jednocześnie, należy mieć na względzie zasobność budżetu Państwa i ogrom potrzeb zdrowotnych polskich obywateli, który powoduje, że nie sposób jest sprostać oczekiwaniom wszystkich chorych. Jednakże, działając w ramach obowiązujących przepisów oraz starannie równoważąc interesy wszystkich grup pacjenckich partycypujących w refundacji, a także kładąc szczególny nacisk na dbanie o dyscyplinę finansów publicznych, podejmowane są wielokierunkowe działania celem udostępniania pacjentom możliwie największej liczby opcji terapeutycznych. Przy czym, należy podkreślić, iż realizując politykę lekową państwa, Minister Zdrowia kieruje się zasadami medycyny opartej na dowodach naukowych (EBM- Evidence - Based Medicine) oraz ocenie technologii medycznych (HTA – Health Technology Assesment), co zapewnia przejrzystość i racjonalność podejmowanych decyzji o alokacji środków publicznych.

Z poważaniem
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Maciej Miłkowski
Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/