



# Minister Zdrowia

---

PLR2.050.13.2024.RB  
Warszawa, 05 marca 2024

**Pani Małgorzata Kidawa-Błońska**

Marszałek Senatu  
Rzeczypospolitej Polskiej

*Szanowna Pani Marszałek,*

w odpowiedzi na oświadczenie złożone przez Pana Senatora Artura Dunina na 6. posiedzeniu Senatu w dniu 15 lutego 2024 r., w sprawie refundacji terapii genowej w dystrofii mięśniowej Duchenne'a, Minister Zdrowia uprzejmie prosi o przyjęcie poniższych informacji.

22 czerwca 2023 r. FDA (Agencja Żywności i Leków- amerykańska instytucja rządowa) wydała przyspieszoną decyzję dotyczącą zatwierdzenia **Elevidys** (SRP-9001) – **pierwszej terapii genowej** do leczenia pacjentów pediatrycznych w wieku od 4 do 5 lat z dystrofią mięśniową Duchenne'a (Duchenne muscular dystrophy, DMD) z potwierdzoną mutacją w genie DMD, którzy mają zachowaną umiejętność chodzenia.

Wskazana terapia genowa nie może być aktualnie objęta refundacją w Polsce z uwagi na fakt, że nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu wydanego przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską. Na terenie Unii Europejskiej preparat Elevidys pozostaje nadal produktem nieautoryzowanym.

W ramach obowiązujących przepisów prawa tylko produkt, który jest dopuszczony do obrotu na terenie Unii Europejskiej lub w Polsce może zostać objęty refundacją

(zgodnie z art. 10 pkt.1. ustawy o refundacji<sup>1</sup>) lub objęty finansowaniem w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej (zgodnie z art. 47d pkt.4. ustawy o świadczeniach<sup>2</sup>).

Z wyrazami szacunku  
z upoważnienia Ministra Zdrowia  
Maciej Miłkowski  
Podsekretarz Stanu  
/dokument podpisany elektronicznie/

---

<sup>1</sup> Kwestie związane z refundacją poszczególnych technologii lekowych reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2023 r. poz. 826, z późn.zm., zwana dalej „ustawą o refundacji”)

<sup>2</sup> Na podstawie przepisów ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r. poz. 146, zwanej dalej „ustawą o świadczeniach”)