



Warszawa, 30 września 2021 r.

RzPP-DPR-WPL.420.26.2021.TM

Pan
Maciej Milkowski
Podsekretarz Stanu
Ministerstwo Zdrowia
ePUAP

Szanowny Panie Ministrze,

w odpowiedzi na pismo z dnia 6 września 2021 r. (znak: PLR.4504.871.2021.1.JKB), działając na podstawie art. 40a ust. 8 w zw. z art. 40a ust. 5 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych¹, **przedstawiam opinię w zakresie zasadności umieszczenia technologii lekowych ujętych w wykazie z dnia 26 sierpnia 2021 r. na opracowywanej przez Ministra Zdrowia liście technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej.**

Przygotowany przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji wykaz technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej zawiera 35 pozycji, ujętych jako „częsteczeko-wskazania”, co obejmuje 30 leków oraz 23 substancje czynne lub ich kombinacje. Są to technologie lekowe, które uzyskały pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską od dnia 1 stycznia 2017 r. i nie są objęte w Polsce refundacją. Wykaz ten, odmiennie niż wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, nie ogranicza się do leków stosowanych w onkologii i chorobach rzadkich. Ocena technologii znajdujących się w analizowanym wykazie winna skupiać się na wartości klinicznej uwzględniającej poziom innowacyjności oraz oczekiwane efekty zdrowotne, biorąc pod uwagę w szczególności takie przesłanki, jak siła interwencji, jakość danych naukowych, niezaspokojona potrzeba zdrowotna, wielkość populacji

¹ Dz. U. z 2021 r. poz. 523, z późn. zm.

docelowej oraz priorytetu zdrowotne. Przed przejściem do wskazania technologii, które zdaniem Rzecznika Praw Pacjenta spełniają wymienione kryteria, chciałbym przedstawić pokrótce założenia stojące za dokonaną oceną.

Po pierwsze, lista technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej powinna być odpowiednio szeroka i obejmować różnorodne wskazania. Takie podejście przyniesie bowiem szanse na realizację oczekiwań różnych grup pacjentów, związanych z potrzebą zapewnienia dostępności terapii zgodnych z najbardziej aktualnymi standardami klinicznymi. Pamiętać przy tym należy, że umieszczenie na liście danej technologii nie jest równoznaczne z objęciem jej finansowaniem ze środków Funduszu Medycznego, a jedynie daje możliwość wystąpienia z wnioskiem w tym przedmiocie. Inicjatywa pozostaje zatem po stronie producentów leków, można zaś przyjąć, że z różnorodnych przyczyn nie wszyscy skorzystają z takiej możliwości. Zbyt wąska lista technologii może zatem skutkować niewykorzystaniem zabezpieczonych w ramach Funduszu Medycznego środków pieniężnych.

Po drugie, w stosunku do części z technologii lekowych ujętych w wykazie zostały już złożone wnioski o objęcie refundacją w standardowym trybie, lecz jak dotychczas nie uzyskały one finansowania ze środków publicznych (jak Epidyolex, Reagila, Kymriah w odniesieniu do jednego ze wskazań, Yescarta, Imfinzi). Niektóre z postępowań w tym przedmiocie są jeszcze w toku. Główną przyczyną braku pozytywnej decyzji refundacyjnej bądź też negatywnej rekomendacji Prezesa AOTMiT zdaje się być wysokość ceny produktu zaproponowana przez wnioskodawcę. W ocenie Rzecznika okoliczności te nie powinny być samoistnym powodem wykluczenia danego leku z listy technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej. Przewidziany w ramach Funduszu Medycznego subfundusz terapeutyczno-innowacyjny daje bowiem dodatkową szansę na poszerzenie dostępności do nowoczesnych i skutecznych metod leczenia, co z perspektywy pacjentów jest rzecz jasna niezwykle cenne. Dzięki zaś umieszczeniu danego produktu na liście możliwe będzie złożenie przez podmiot odpowiedzialny nowego wniosku – o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej, który będzie zawierał m.in. wnioskowane warunki objęcia refundacją oraz analizę jej wpływu na budżet, dając jeszcze jedną szansę na uzgodnienie warunków akceptowalnych dla płatnika publicznego.

Po trzecie, od 1 września 2021 r. finansowaniem ze środków publicznych objęte zostały dwa leki wymienione w wykazie: poz. 7. Kymriah (tisagenlecleucel), w programie lekowym B.65. (Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną), a także poz. 29. Takhzyro

(lanadelumab), w programie lekowym B.122. (Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu)

². Tym samym technologii tych nie należy ujmować na liście technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej (vide art. 2 pkt 24a lit. a ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych).

Po czwarte, część spośród leków wymienionych w wykazie to stosowane w tym samym wskazaniu leki równoważne, w dodatku zawierające substancje czynne, które podlegają już (co do tej samej postaci leku) refundacji w Polsce w odmiennych wskazaniach. Przykładem tego jest adalimumab we wskazaniu „czynne ropne zapalenie apokrynowych gruczołów potowych o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego u osób dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat, u których konwencjonalne leczenie układowe jest nieskuteczne” – tj. leki Amgevita (poz. 16), Amsparity (poz. 17), Hefiya (poz. 18), Hulio (poz. 19), Hyrimoz (poz. 20), Idacio (poz. 21) oraz Imraldi (poz. 22). Leki zawierające substancję czynną adalimumab są dostępne w ramach programów lekowych B.32., B.33., B.35., B.36., B.47. i B.105., a objęte są grupą limitową 1050.1 „blokery TNF – adalimumab” z podstawą limitu finansowania w wysokości 1.601,32 zł. Przyjąć zatem można, że objęcie refundacją adalimumabu w nowym wskazaniu jest możliwe w standardowym trybie, z uwzględnieniem leków dopuszczonych do obrotu także przed 1 stycznia 2017 r. oraz zapewnieniem konkurencji i równych warunków między producentami wszystkich leków zawierających tę substancję czynną. W pewien sposób zbliżoną sytuację można zidentyfikować w odniesieniu do lenalidomidu we wskazaniu „noworozpoznany szpiczak mnogi po autologicznym przeszczepie komórek macierzystych, u osób dorosłych w monoterapii w leczeniu podtrzymującym” – tj. leki Lenalidomide Accord (poz. 30) i Lenalidomide Mylan (poz. 31). Są to leki generyczne w stosunku do leku Revlimid (dopuszczonego w 2007 r.), dostępnego w programach lekowych B.54. i B.84., z podstawą limitu finansowania na poziomie 14.297,70 zł (grupa limitowa 1120.0).

Uwzględniając powyższe w **opinii Rzecznika Praw Pacjenta na liście technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej należy umieścić:**

- poz. 1. bezlotoksumab (lek Zinplava) – zapobieganie nawrotom zakażenia wywołwanego przez *Clostridium difficile* u osób dorosłych z wysokim ryzykiem nawrotu zakażenia *Clostridium difficile*;

² Stosownie do obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 20 sierpnia 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 września 2021 r.

- poz. 2. budezonid (lek Jorveza) – eozynofilowe zapalenie przetyku u osób dorosłych (w wieku powyżej 18 lat);
- poz. 3. kannabidiol (lek Epidyolex) – napady padaczkowe związane z zespołem Lennoxa-Gastauta u osób w wieku 2 lat lub starszych w skojarzeniu z klobazamem;
- poz. 4. kannabidiol (lek Epidyolex) – napady padaczkowe związane z zespołem Dravet u osób w wieku 2 lat lub starszych w skojarzeniu z klobazamem;
- poz. 5. karpiprazyna (lek Reagila) – schizofrenia u pacjentów dorosłych³;
- poz. 6. autologiczne transdukowane anty-CD19 komórki CD3-dodatnie (lek Tecartus) – nawrotowy lub oporny na leczenie chłoniak z komórek płaszczu u osób dorosłych, które uprzednio otrzymały co najmniej dwie linie leczenia systemowego, w tym inhibitor kinazy tyrozynowej Bruton;
- poz. 8. tisagenlecleucel (lek Kymriah) – nawrotowy lub oporny na leczenie chłoniak rozlany z dużych komórek B, po dwóch lub większej liczbie linii leczenia systemowego u osób dorosłych;
- poz. 9. aksykabtagen cyloleucel (lek Yescarta) – nawrotowy lub oporny na leczenie chłoniak rozlany z dużych komórek B, po dwóch lub większej liczbie linii leczenia systemowego u osób dorosłych;
- poz. 10. aksykabtagen cyloleucel (lek Yescarta) – pierwotny chłoniak śródpiersia z dużych komórek B, po dwóch lub większej liczbie linii leczenia systemowego u osób dorosłych;
- poz. 11. cenegermina (lek Oxervate) – umiarkowane (trwały ubytek nabłonka rogówki) lub ciężkie (wrzód rogówki) neurotroficzne zapalenie rogówki u osób dorosłych;
- poz. 12. durwalumab (lek Imfinzi) – pierwsza linia leczenia rozległego drobnokomórkowego raka płuca u osób dorosłych w skojarzeniu z etopozydem i karboplatyną lub cisplatyną;
- poz. 13. gemtuzumab ozogamicin (lek Mylotarg) – wcześniej nieleczonej ostrej białaczki szpikowej z ekspresją antygenu CD-33 de novo, z wyjątkiem ostrej białaczki promielocytowej, u osób w wieku 15 lat i starszych, w skojarzeniu z daunorubicyną i cytarabiną;
- poz. 14. patiromer (lek Veltassa) – hiperkaliemia u osób dorosłych;

³ W tym przypadku warto zwrócić uwagę, że podmiot odpowiedzialny ubiegał się o refundację leku w węższym wskazaniu niż przedstawione w wykazie za Charakterystyką Produktu Leczniczego (tj. leczenie dorosłych pacjentów ze schizofrenią z pierwotnymi, przeważającymi i przetrwałymi objawami negatywnymi, u których nie występują objawy depresyjne), w odniesieniu do czego Prezes AOTMiT wydał w dniu 23 października 2020 r. rekomendację pozytywną (https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2020/004/REK/2020-10-23_Rekomendacja_75-2020_Reagila_BIP_REOPTR.pdf).

- poz. 15. woretygen neparwówek (lek Luxturna) – dziedziczna dystrofia siatkówki spowodowana przez potwierdzone bialleliczne mutacje genu RPE65 u dzieci, młodzieży i osób dorosłych z utratą wzroku, u których zachowała się wystarczająca liczba żywych komórek siatkówki;
- poz. 23. apiksaban (lek Apixaban Accord) – zapobieganie udarom mózgu i zatorowości systemowej u osób dorosłych z niezastawkowym migotaniem przedsionków z co najmniej jednym czynnikiem ryzyka, takim jak przebyty udar mózgu lub przemijający napad niedokrwienny; wiek ≥ 75 lat; nadciśnienie tętnicze; cukrzyca; objawowa niewydolność serca (klasa wg NYHA \geq II);
- poz. 24. edoksaban (lek Roteas) – zapobieganie udarom mózgu i zatorowości systemowej u osób dorosłych z niezastawkowym migotaniem przedsionków, z co najmniej jednym czynnikiem ryzyka, takim jak zastoinowa niewydolność serca, nadciśnienie tętnicze, wiek ≥ 75 lat, cukrzyca, przebyty udar mózgu lub przemijający napad niedokrwienny;
- poz. 25. buprenorfina + nalokson (lek Zubsolv) – leczenie substytucyjne uzależnienia od narkotyków opioidowych w ramach leczenia medycznego, społecznego i psychologicznego. Przeznaczone dla osób dorosłych i młodzieży w wieku powyżej 15 lat wyrażających zgodę na leczenie uzależnienia;
- poz. 26. kabazytaksel (lek Cabazitaxel Accord) – oporny na kastrację rak gruczołu krokowego z przerzutami u osób dorosłych, leczonych wcześniej schematem chemioterapii zawierającym docetaksel w skojarzeniu z prednizonem lub prednizolonem;
- poz. 27. enkorafenib (lek Braftovi) – przerzutowy rak jelita grubego z obecnością mutacji BRAF V600E, u osób dorosłych, u których wcześniej stosowano leczenie systemowe, w skojarzeniu z cetuksymabem;
- poz. 28. iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor (lek Kaftrio) – mukowiscydoza u osób w wieku co najmniej 12 lat, z homozygotyczną mutacją F508del genu mukowiscydozowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa lub heterozygotyczną mutacją F508del genu CFTR z minimalną wartością funkcji w schemacie leczenia skojarzonego z iwakaftorem w dawce 150 mg w postaci tabletek;
- poz. 32. prasugrel (lek Prasugrel Mylan) – profilaktyka zdarzeń sercowo-naczyniowych u osób dorosłych z ostrymi zespołami wieńcowymi (tj. niestabilną dławicą piersiową, zawałem mięśnia sercowego bez uniesienia odcinka ST) poddawanych pierwotnej lub odroczonej przezskórnej interwencji wieńcowej w skojarzeniu z kwasem acetylosalicylowym;

- poz. 33. prasugrel (lek Prasugrel Mylan) – profilaktyka zdarzeń sercowo-naczyniowych u osób dorosłych z zawałem mięśnia sercowego z uniesieniem odcinka ST poddawanych pierwotnej lub odroczonej przezskórnej interwencji wieńcowej w skojarzeniu z kwasem acetylosalicylowym;
- poz. 34. tezakaftor + iwakaftor (lek Symkevi) – mukowiscydoza u osób w wieku co najmniej 6 lat, z homozygotyczną mutacją F508del w skojarzeniu z iwakaftorem w dawce 150 mg w postaci tabletek;
- poz. 35. tezakaftor + iwakaftor (lek Symkevi) – mukowiscydoza u osób w wieku co najmniej 6 lat, z heterozygotyczną mutacją F508del i jedną z następujących mutacji genu mukowiscydozowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G i 3849+10kbC→T w skojarzeniu z iwakaftorem w dawce 150 mg w postaci tabletek.

Wskazane 24 technologie lekowe obejmują 20 leków oraz 20 substancji czynnych lub ich kombinacji.

Szczególną uwagę Ministra Zdrowia chciałbym zwrócić na produkty o statusie leku sierocego, stosowane w leczeniu chorób rzadkich (Jorveza, Epidyolex, Tecartus, Kymriah, Yescarta, Oxervate, Mylotarg, Luxturna, Kaftrio, Takhzyro, Symkevi). Z reguły bowiem właśnie w przypadku leków sierocych jednostkowa terapia jest najdroższa. Stąd też dostępność innowacyjnych technologii lekowych zgodna z wytycznymi klinicznymi pozostaje ogromnym wyzwaniem, czego skutkiem jest trudne do uniknięcia wykluczenie w korzystaniu z farmakoterapii niezbędnej w chorobach rzadkich i ultraradkich. Fundusz Medyczny może stać się narzędziem przynajmniej po części ograniczającym dotychczasowe bariery ekonomiczne, przy zachowaniu możliwości dokonania niezbędnych analiz pod kątem uzyskania jak największych efektów zdrowotnych w ramach tej dodatkowej kategorii środków publicznych.

Warto ponadto zauważyć, że niektóre z produktów leczniczych znajdujących się w wykazie nie mogą być finansowane w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych⁴. Stąd też dla pacjentów cierpiących na takie choroby, jak mukowiscydoza, ostra białaczka szpikowa, chłoniak rozlany z dużych komórek B czy drobnokomórkowy raka płuca,

⁴ Komunikat Ministra Zdrowia z dnia 3 września 2021 r. w sprawie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

objęcie finansowaniem przez Fundusz Medyczny stanowi właściwie jedyną możliwość uzyskania bezpłatnego dostępu do tych terapii.

Z poważaniem
RZECZNIK PRAW PACJENTA
Bartłomiej Chmielowiec

podpisano elektronicznie