



Minister Zdrowia

PLR.4504.1270.2021.PB

Warszawa, 02 grudnia 2021

Szanowny Panie,

w odpowiedzi na petycję w sprawie leczenia rdzeniowego zaniku mięśni oraz kwestii zbiórek funduszy na zakup leków w tym schorzeniu, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Na wstępie odpowiedzi uprzejmie informuję, że Minister Zdrowia nie jest stroną w zakresie zbiórek charytatywnych, których organizacja pozostaje poza zakresem kompetencji urzędu. Jednocześnie Ministerstwo Zdrowia dokłada wszelkich starań, żeby zaoferować polskim pacjentom odpowiednie leczenie i nie dopuszczać do sytuacji, w których pacjenci muszą samodzielnie pokrywać koszty terapii. W tym miejscu należy zaznaczyć, że od ponad dwóch lat refundowany jest lek Spinraza (nusinersen) w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni, a cała populacja chorych jest zabezpieczona w skuteczne i bezpłatne leczenie. Co wymaga dodatkowego podkreślenia nie ma żadnych obostrzeń dotyczących wieku, liczby genów, czy parametrów płucnych.

W kwestii leku Zolgensma uprzejmie wyjaśniam, że Minister Zdrowia na podstawie art. 40a ust. 8 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2021 r. poz. 523, z późn. zm.) zmienionej w art. 36 ustawy z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym (Dz.U. poz. 1875), Prezes Agencji Technologii Medycznych i Taryfikacji ustalił wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (na dzień 26 lutego 2021 r.). Wykaz ten obejmuje 11 pozycji, wśród których znajduje się m.in. lek Zolgensma.

Minister Zdrowia na powyższej podstawie oraz mając na uwadze opinię Rady Przejrzystości, konsultantów krajowych oraz Rzecznika Praw Pacjenta opublikował listę

---

zawierającą pięć technologii o wysokim poziomie innowacyjności, wśród których znalazła się m.in. terapia Zolgensma. Podmioty odpowiedzialne, których technologie lekowe znajdują się na powyższej liście, mają możliwość złożenia wniosków, o których mowa w art. 24 ust. 1 pkt 1b ustawy o refundacji.

Jednocześnie należy podkreślić, iż do Ministerstwa Zdrowia 21 czerwca 2021 r. wpłynęły wnioski o refundację dla leku Zolgensma (onasemnogenum abeparvovec), we wskazaniu LECZENIA CHORYCH NA RDZENIOWY ZANIK MIĘŚNI (SMA) 5Q Z BIALLELICZNĄ MUTACJĄ GENU SMN1 I KLINICZNYM ROZPOZNANIEM SMA TYPU 1 LUB CHORYCH Z RDZENIOWYM ZANIKIEM MIĘŚNI 5Q Z BIALLELICZNĄ MUTACJĄ GENU SMN1 I Z NIE WIĘCEJ NIŻ 3 KOPIAMI GENU SMN2 (ICD-10: G12). W toku postępowania podmiot odpowiedzialny został wezwany 23 czerwca 2021 r. do uzupełnienia braków formalnych przedłożonych wniosków wobec czego bieg postępowania został wstrzymany do czasu uzupełnienia ich przez wnioskodawcę. 15 lipca 2021 r. wnioskodawca uzupełnił braki formalno-prawne wobec czego bieg postępowania został wznowiony.

Po przeprowadzeniu czterech spotkań negocjacyjnych, podczas których raz jeszcze przeanalizowano zapisy programu lekowego, Komisja Ekonomiczna wydała, mając na uwadze przepis art. 36 ust. 6 ustawy o refundacji, swoje stanowisko w sprawie.

Następnie cały materiał dowodowy został przekazany Ministrowi Zdrowia celem wydania rozstrzygnięcia. Po zapoznaniu się z ofertą cenową Wnioskodawcy Organ uznał ją za niewystarczającą, wobec czego prowadzone były dalsze rozmowy w sprawie.

Ostatecznie ze względu na nieprzedłożenie przez wnioskodawcę warunków cenowych, które byłyby satysfakcjonujące dla płatnika publicznego Minister Zdrowia odmówił objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności Zolgensma ze względu na niespełnienie poniższych kryteriów ujętych w art. 12 ustawy o refundacji:

- Stanowisko Komisji Ekonomicznej
- Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym.
- Konkurencyjność cenowa

- Wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców

Jednocześnie uprzejmie informuję, że zgodnie z kodeksem postępowania administracyjnego Wnioskodawca mógł wnieść wniosek o ponowne rozpatrzenie sprawy w terminie 14 dni od dnia doręczenia stronie decyzji administracyjnej i z tej możliwości skorzystał. Ponowne rozpatrzenie wniosku, zgodnie z art. 31 ust. 4a powinno nastąpić w terminie 60 dni.

Minister Zdrowia pragnie zapewnić, iż Ministerstwo 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. Należy zaznaczyć, iż środki finansowe przeznaczone na refundację są ograniczone, zatem istotne jest racjonalne wprowadzanie na wykazy kolejnych produktów leczniczych.

Z poważaniem  
z upoważnienia Ministra Zdrowia  
Maciej Miłkowski  
Podsekretarz Stanu

*/dokument podpisany elektronicznie/*