



PLD.4731.5.2023.AK
Warszawa, 09 listopada 2023

**Komunikat Ministra Zdrowia w sprawie finansowania leków Kaftrio i Kalydeco
w leczeniu mukowiscydozy w ramach procedury ratunkowego dostępu do
technologii lekowych**

Minister Zdrowia informuje, że produkty lecznicze Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor) oraz Kalydeco (iwakaftor) nie będą mogły podlegać finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”), w wskazaniu: pacjenci w wieku co najmniej 6 lat homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del z mutacją o minimalnej wartości funkcji (MF) genu CFTR. Pacjenci, którzy rozpoczęli leczenie w ramach RDTL mają możliwość kontynuacji terapii.

Firma Vertex Pharmaceuticals (Poland) Sp. z o.o. złożyła wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla powyższych leków w powyższym wskazaniu. W dniu 28 listopada 2022 r. powyższe produkty lecznicze otrzymały warunkową rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji dotyczącą zasadności finansowania w/w leków ze środków publicznych w opisanym wyżej wskazaniu, z zastrzeżeniem dotyczącym pogłębienia zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka oraz zaproponowania dodatkowego mechanizmu podziału ryzyka zabezpieczającego całkowity wpływ na budżet płatnika. W toku prowadzonych negocjacji cenowych przedstawione propozycje mechanizmów podziału ryzyka były niemożliwe do zaakceptowania przez Ministra Zdrowia, a więc warunki finansowe określone przez Prezesa Agencji w rekomendacji nie zostały

wypełnione. Podmiot odpowiedzialny zwrócił się do Ministra Zdrowia z wnioskiem o umorzenie postępowań o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla leków Kaftrio oraz Kalydeco we wnioskowanym wskazaniu, wszczętym na podstawie wniosku o objęcie refundacją zgodnie z art. 24 ust. 1 pkt 1) ustawy o refundacji. Minister Zdrowia, uwzględniając żądanie strony, umorzył postępowania w dniu 26 października 2023 r.

W świetle powyższego produkty lecznicze Kaftrio i Kalydeco zostały objęte wykazem produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL we wnioskowanych wskazaniach. System RDTL jest ekstraordynaryjnym system dostępu do refundacji dla indywidualnych pacjentów i nie może funkcjonować w zastępstwie refundacji systemowej.

Należy podkreślić, że w ramach programu B.112. - Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84), dostępne są dla pacjentów następujące schematy leczenia:

1) Kalydeco (iwakaftor) w monoterapii:

- leczenie chorych z potwierdzonym wystąpieniem jednej z poniżej wymienionych mutacji, w przynajmniej 1 allelu genu CFTR: mutacja bramkująca genu CFTR (klasy III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N lub S549R u chorych w wieku 12 miesięcy i starszych;

2) Orkambi (lumakaftor /iwakaftor):

- leczenie chorych w wieku co najmniej 2 lat z potwierdzonym wystąpieniem mutacji F508del genu CFTR na obu allelach;

3) Symkevi (tezakaftor /iwakaftor) + Kalydeco (iwakaftor):

- leczenie chorych w wieku co najmniej 6 lat homozygotyczni pod względem mutacji F508del lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del i mający jedną z następujących mutacji genu CFTR: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G i 3849+10kbC→T;

4) Kaftrio (eleksakaftor/tezakaftor /iwakaftor) + Kalydeco (iwakaftor):

- leczenie chorych w wieku co najmniej 12 lat homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del z mutacją o minimalnej wartości funkcji (MF) genu CFTR.

Ww. leki są wydawane dla pacjenta zakwalifikowanego do programu bezpłatnie. Wydatki płatnika publicznego sprawozdane na refundowane leki w ramach programu lekowego B.112. w 2022 r. wyniosły ok. 246 mln zł, dla ok. 860 pacjentów, podczas gdy tylko w 2021 r. wydatki na ten program wyniosły ok. 2,7 mln zł, czyli o 99% mniej niż w 2022 r. Rok 2022 był przełomowy dla leczenia mukowiscydozy w Polsce. W pierwszym półroczu bieżącego roku sprawozdane wydatki wyniosły ok. 256 mln zł.

W 2022 r. na 114 programów lekowych, w których refundowane są innowacyjne leki w różnych schorzeniach zarówno onkologicznych jak i nieonkologicznych, program ten był na 8. Miejscu, a w roku 2023 już na piątym miejscu jeśli chodzi o największe wydatki na refundację leków w ramach programów lekowych, przy bardzo małej populacji pacjentów, Należy wskazać, że wszystkie wydatki na leki w programie B.112 ponoszone są na rzecz jednego podmiotu odpowiedzialnego, czyli firmy Vertex Pharmaceuticals (Poland) Sp. z o.o.

Minister Zdrowia liczy na elastyczność podmiotu odpowiedzialnego, biorąc pod uwagę potrzeby pacjentów, możliwości finansowe płatnika publicznego, a także wielkość przychodów uzyskiwanych już przez podmiot w programie lekowym. Podmiot odpowiedzialny poinformował Ministra Zdrowia, że będzie występował ponownie z wnioskiem od czego uzależniona jest możliwość refundacji dla kolejnych grup pacjentów.

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