



# Minister Zdrowia

Warszawa, 17 maja 2019

PLR.055.2.2019.AP

Pan Jan Salamonik  
Wiceprezes Ogólnokrajowego Stowarzyszenia  
Pomocy Chorym na Przewlekłą Białaczkę Szpikową  
ul. Spacerowa 28  
26 – 060 Chęciny

Szanowny Panie,

w odpowiedzi na petycję w sprawie pilnej refundacji leku Iclusig dla pacjentów chorych na przewlekłą białaczkę szpikową i ostrą białaczkę limfoblastyczną, proszę o przyjęcie następujących informacji.

Lek Iclusig, zawierający substancję czynną ponatynib, został dopuszczony do obrotu w procedurze centralnej w lipcu 2013 r. Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL), Iclusig jest wskazany do stosowania u dorosłych pacjentów z:

- fazą przewlekłą, fazą akceleracji lub fazą przełomu blastycznego przewlekłej białaczki szpikowej (CML) z opornością lub nietolerancją leczenia dazatynibem lub nilotynibem i dla których kolejne leczenie imatynibem nie jest właściwe ze względów klinicznych, lub u pacjentów z mutacją T315I,
- ostrą białaczką limfoblastyczną z obecnością chromosomu Filadelfia (Ph+ ALL) z opornością lub nietolerancją leczenia dazatynibem i dla których kolejne leczenie imatynibem nie jest właściwe ze względów klinicznych, lub u pacjentów z mutacją T315I.

Kwestie dotyczące obejmowania refundacją reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz

wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r. poz.784). Zgodnie z przepisami ww. ustawy, objęcie refundacją leku w zakresie wskazań zgodnych z ChPL, wymaga złożenia przez uprawniony podmiot wniosku, w którym mowa w art. 24 ust. 1 pkt 1 tejże ustawy. W przypadku gdy lek nie posiada odpowiednika refundowanego we wnioskowanym wskazaniu, Minister Zdrowia przesyła wniosek oraz przekazaną dokumentację Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w celu przygotowania analizy weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa. Na kolejnym etapie postępowania dokumentacja przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje m. in. w zakresie ustalania urzędowej ceny zbytu, poziomu odpłatności oraz wskazania, w którym lek ma być refundowany. Dysponując rekomendacją Prezesa AOTMiT oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 ww. ustawy Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją leku we wnioskowanym wskazaniu.

Objęcie leku refundacją wymaga wieloetapowego postępowania administracyjnego. Należy podkreślić, iż zgodnie z art. 31 ust. 4 ww. ustawy o refundacji, wniosek o objęcie leku refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu rozpatruje się w terminie 180 dni, z tym że w przypadku konieczności uzupełnienia danych niezbędnych do rozpatrzenia wniosku, bieg terminu ulega zawieszeniu do dnia otrzymania uzupełnienia danych albo do dnia upływu terminu uzupełnienia wniosku. Ponadto, w przypadku wniosku o objęcie refundacją leku w ramach programu lekowego, powyższy termin ulega zawieszeniu do czasu uzgodnienia treści programu pomiędzy wnioskodawcą a ministrem właściwym do spraw zdrowia. Zgodnie z art. 31 pkt 11 ustawy o refundacji uzgadnianie treści programu lekowego nie może trwać dłużej niż 60 dni.

Jednocześnie należy wskazać, że na każdym etapie postępowania wnioskodawca, jako strona postępowania, w oparciu o art. 98 § 1 ustawy z dnia 14 czerwca 1960 r. Kodeks postępowania administracyjnego (Dz.U. z 2018 r. poz. 2096, z późn. zm.), ma prawo do złożenia wniosku o zawieszenie biegu postępowania.

Informuję, że w grudniu 2015 r. do Ministra Zdrowia wpłynęły wnioski uprawnionego podmiotu w sprawie objęcia refundacją i ustalenia urzędowych cen zbytu leku Iclusig (dwie dawki: 15 mg i 45 mg) w ramach dwóch programów lekowych: „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)” oraz „Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej (ICD-10 C92.1) ponatynibem”.

Po uzgodnieniu treści programów, Minister Zdrowia przekazał wnioski do oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

W wydanych w dniach: 5 sierpnia 2016 r. i 6 lipca 2016 r. rekomendacjach o numerach odpowiednio: 49/2016 i 38/2016 Prezes Agencji rekomenduje Ministrowi Zdrowia objęcie finansowaniem ze środków publicznych leku Iclusig w ramach ww. programów lekowych. W obydwu przypadkach Prezes Agencji podkreślił jednak, że *„z uwagi na skąpe dowody naukowe i związane z nimi ograniczenia wnioskowania, niezbędne jest zapewnienie instrumentu podziału ryzyka, który polegałby na zwrocie kosztów poniesionych przez płatnika w przypadku nieskutecznego leczenia, tj. nieuzyskania remisji po leczeniu ponatynibem”*.

Warunki objęcia refundacją leku Iclusig były następnie przedmiotem negocjacji prowadzonych z wnioskodawcą przez Komisję Ekonomiczną. Niestety, nie osiągnięto porozumienia i w przedstawionych Ministrowi Zdrowia stanowiskach Komisja zaproponowane przez wnioskodawcę warunki refundacji uznała za nieodpowiednie.

Postępowania dotyczące objęcia refundacją leku Iclusig w ramach programów lekowych: „Leczenie ponatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+) (ICD-10 C91.0)” oraz „Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej (ICD-10 C92.1) ponatynibem” zostały podsumowane w notatce służbowej, która została przekazana Ministrowi Zdrowia do rozstrzygnięcia w sprawie objęcia lub odmowy objęcia refundacją w ww. programach lekowych. 25 kwietnia 2019 r. Wnioskodawca wystąpił o zawieszenie postępowania na podstawie art. 98 § 1 Kodeksu postępowania administracyjnego. Postanowienie w tej kwestii zostało wydane 6 maja 2019 r.

Objęcie leku refundacją wymaga wieloetapowego postępowania administracyjnego. 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 Assessment), co zapewnia przejrzystość i racjonalność podejmowanych decyzji o alokacji środków publicznych.

Należy wziąć pod uwagę fakt, że zgodnie z art. 47d ustawy dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r. poz. 1510, z późn. zm.), obowiązującym od 23 lipca 2017 r., w przypadku uzasadnionej i wynikającej ze wskazań aktualnej wiedzy medycznej potrzeby zastosowania

u świadczeniobiorcy leku, który nie jest finansowany ze środków publicznych w danym wskazaniu, jeżeli jest to niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia świadczeniobiorcy we wskazaniu występującym u jednostkowych pacjentów, a zostały już wyczerpane u danego świadczeniobiorcy wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych, minister właściwy do spraw zdrowia może wydać (na wniosek świadczeniodawcy posiadającego w dniu złożenia wniosku zawartą umowę z Narodowym Funduszem Zdrowia o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w zakresie leczenia szpitalnego) w drodze decyzji administracyjnej, zgodę na pokrycie kosztów tego leku w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej.

Wyżej wskazane przepisy określają szczegółowe zasady, kiedy tryb ten może zostać zastosowany, przy jednoczesnym ograniczeniu środków przeznaczonych na realizację ratunkowego dostępu do technologii lekowej. Na chwilę obecną jest to jedyna możliwa droga uzyskania refundacji leku Iclusig.

Resort zdrowia przykłada bardzo dużo uwagi do problemu osób chorych na nowotwory. Działając w ramach obowiązujących przepisów prawnych oraz starannie równoważąc interesy wszystkich grup pacjentów, a także kładąc szczególny nacisk na dbanie o dyscyplinę finansów publicznych, podejmowane są wielokierunkowe działania celem udostępniania pacjentom wielu opcji terapeutycznych.

Z poważaniem  
z upoważnienia Ministra Zdrowia  
Maciej Miłkowski  
Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/

**Potwierdzam zgodność kopii z dokumentem elektronicznym:**

|                         |  |
|-------------------------|--|
| Identyfikator dokumentu | 1664878.4133117.3432347                      |
| Nazwa dokumentu         | Minister Zdrowia z upoważnienia. docx.pdf    |
| Tytuł dokumentu         | Minister Zdrowia z upoważnienia. docx        |
| Sygnatura dokumentu     | PLR.055.2.2019                               |
| Data dokumentu          | 2019-05-17 09:02:37                          |
| Skrót dokumentu         | A03AF6EB3863A3B7E1CA4839A7D48895436604<br>BC |
| Wersja dokumentu        | 1.10   |
| Data podpisu            | 2019-05-17 09:02:21                          |
| Podpisane przez         | Maciej Grzegorz Miłkowski Podsekretarz Stanu |
|                         | EZD 3.90.65.65.14538                         |
| Data wydruku:           | 2019-05-20 09:54:58                          |
| Autor wydruku:          | Protas Anna                                  |