



# Minister Zdrowia

Warszawa, 22 września 2021 r.

PLD.055.3.2021.DB

Szanowny Panie,

w odpowiedzi na petycję z 18 czerwca 2021 r., która wpłynęła do resortu 9 lipca 2021 r., na podstawie ustawy z dnia 11 lipca 2014 r. o petycjach (Dz. U. z 2018 r. poz. 870) w sprawie:

- utworzenia programu lekowego na podstawie art. 148 ust. 2 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r. poz. 1285, z póź. zm.), w celu leczenia rzadkiej choroby genetycznej u dzieci, stanowiącej krzywicę hipofosfatemiczną sprzężoną z chromosomem X, powodującej w szczególności deformację i zmiękczenie kości, niskorosłość oraz niepełnosprawność, wywołane zaburzeniami wchłaniania fosforanów;
- możliwości leczenia chorych dzieci nowoczesnym lekiem zawierającym substancję czynną *Burosumabum* (nazwa produktu leczniczego Crysvisa), stosowanym w leczeniu przyczyn hipofosfatemii sprzężonej z chromosomem X w ramach programu lekowego;
- przywrócenia dostępności leków doraźnych, w szczególności w postaci mieszanek fosforanowych lub ich odpowiedników, stosowanych dotychczas w leczeniu przebiegu oraz skutków krzywicy hipofosfatemicznej, zarówno u dzieci oraz osób dorosłych uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

W zakresie refundacji leku Crysvida oraz utworzenia nowego programu lekowego dla pacjentów chorujących na krzywicę hipofosfatemiczną sprzężoną z chromosomem X, uprzejmie informuję, że zgodnie z art. 24 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.), w odniesieniu do produktów leczniczych, które są dostępne na terenie Rzeczypospolitej Polskiej, w zakresie wskazań rejestracyjnych, Minister Zdrowia może podjąć działania w sprawie objęcia refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera). Złożony wniosek jest poddawany ocenie formalno-prawnej, a następnie w porozumieniu z Wnioskodawcą ustalana jest treść programu lekowego. W kolejnym kroku lek jest oceniany przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a w następnym etapie wniosek zostaje przekazany do Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia urzędowej ceny zbytu, poziomu odpłatności oraz wskazania, w którym produkt ma być refundowany. Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 wspomnianej ustawy, Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją leku we wnioskowanym wskazaniu. 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.

Z powyższego wynika zatem, iż objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku oraz utworzenie nowego programu lekowego wymaga przede wszystkim wpłynięcia wniosku od podmiotu odpowiedzialnego, a następnie przeprowadzenia wieloetapowego postępowania administracyjnego. Taki wniosek dla leku Crysvida (Burosumabum) nie został złożony. Minister Zdrowia może rozpatrywać wnioski dopiero po ich złożeniu przez podmioty odpowiedzialne. Podsumowując pragnę nadmienić, że zapisy wszystkich programów lekowych są ustalane z należytą starannością i konsultowane ze specjalistami w danej dziedzinie medycyny (w tym z konsultantem krajowym), a następnie podlegają dodatkowej ocenie przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji tak, aby w ramach dostępnych środków publicznych prowadzone terapie charakteryzowały się skutecznością i wysokim profilem bezpieczeństwa, a także obejmowały jak największą populację chorych. Jednocześnie należy zauważyć, że środki finansowe przeznaczone na refundację są ograniczone,

zatem niezwykle istotne jest racjonalne ich wydatkowanie. Dlatego też wprowadzając leki na wykazy leków refundowanych, czy też tworząc programy lekowe, uwzględnienia się ich efektywność kliniczną, kosztową, a także bezpieczeństwo stosowania i możliwości finansowe płatnika publicznego.

W związku z wpływającymi do resortu od kwietnia br. zapytaniem pacjentów w zakresie dostępności surowca farmaceutycznego *Natrium phosphoricum bibasicum*, Minister Zdrowia podjął działania w zakresie ustalenia przyczyn braku dostępności wymienionej substancji, będącej składnikiem leku recepturowego stosowanego u pacjentów chorych na krzywicę hipofosfatemiczną. Minister Zdrowia pozostawał w kontakcie z podmiotem odpowiedzialnym, który posiada pozwolenie na dopuszczenie do obrotu surowca farmaceutycznego. Z informacji uzyskanych od podmiotu odpowiedzialnego Fagron Sp. z o.o. wynikało, że przyczyną utrudnionej dostępności do substancji były problemy w zakresie dostawy materiału wyjściowego pochodzącego od zewnętrznego dostawcy. W 22 lipca 2021 r. firma Fagron Sp. z o. o. poinformowała o zwolnieniu nowej serii surowca farmaceutycznego na rynek polski.

Jednocześnie, mając na uwadze zaistniałą sytuację, wystąpiono do Konsultanta Krajowego w dziedzinie endokrynologii i diabetologii dziecięcej Pana Prof. dr hab. n. med. Mieczysława Walczaka oraz do Konsultanta Krajowego w dziedzinie endokrynologii Pana Prof. Andrzeja Lewińskiego z prośbą o opinię w zakresie możliwości zastosowania innej, alternatywnej technologii medycznej, mogącej zastąpić przedmiotowy surowiec, będący składnikiem leku recepturowego w leczeniu krzywicy hipofosfatemicznej u dzieci. W odpowiedzi jeden z ekspertów wskazał na francuski produkt leczniczy Phosphoneuros, który nie jest zarejestrowany na terenie Polski, natomiast drugi z nich wskazał na niedostępny w Polsce produkt leczniczy, zarejestrowany w Europie w procedurze centralnej, o nazwie Crysvida. W obu przypadkach, z uwagi na niedostępność przedmiotowych produktów leczniczych na polskim rynku, istniała możliwość ich sprowadzenia w trybie importu docelowego. Szczegółowe informacje dotyczące importu docelowego można znaleźć na stronie internetowej Ministerstwa Zdrowia: <https://www.gov.pl/web/zdrowie/sprowadzac-leki-z-zagranicy-import-docelowy->

oraz

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/komunikat-ministra-zdrowia-w-sprawie-tzw-importu-docelowego-w-zwiazku-z-uruchomieniem-od-1-stycznia-2021-r-systemu-obslugi-importu-docelowego-soid.>

Dodatkowo, w przypadku uzyskania pozytywnej zgody na sprowadzenie produktu leczniczego z zagranicy, pacjentowi przysługuje prawo ubiegania się o jego refundację (szczegółowe informacje na wymienionych stronach internetowych).

Do Ministra Zdrowia, zgodnie z art. 4 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2021 r. poz. 974, z póź. zm.) zostały skierowane zapotrzebowania na sprowadzenie z zagranicy produktów leczniczych Phosphoneuros oraz Reducto Spezial. W wyniku przeprowadzonego postępowania Minister Zdrowia potwierdził, że wobec powyższych produktów nie zachodzą przesłanki określone w art. 4 ust. 3 ustawy Prawo farmaceutyczne, potwierdzając tym samym możliwość sprowadzenia powyższych produktów z zagranicy.

Jednocześnie należy wyjaśnić, że leki recepturowe to produkty lecznicze sporządzone w aptece na podstawie recepty lekarskiej, która dokładnie opisuje ilości poszczególnych składników i postać leku. Natomiast produkty lecznicze są dopuszczane do obrotu w drodze decyzji Prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych na wniosek podmiotu odpowiedzialnego, tym samym decyzja o ubieganiu się o dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego oraz fizyczne zapewnienie dostępności produktu leczniczego należy do firmy farmaceutycznej.

Niemniej w sytuacji, gdy następuje faktyczny problem z nabyciem leku, pacjent powinien skontaktować się z lekarzem prowadzącym terapię, celem ustalenia możliwości zastosowania innej, alternatywnej technologii lekowej.

Należy szczególnie zaakcentować, że Minister Zdrowia nie dystrybuuje ani nie wytwarza produktów leczniczych, a w celu zapewnienia dostępności produktów leczniczych i zachowania ciągłości terapii dla polskich pacjentów podejmuje wszelkie niezbędne działania i interwencje w zakresie posiadanych narzędzi.

*Z poważaniem,*

Maciej Miłkowski

Podsekretarz Stanu

*/dokument podpisany elektronicznie/*