



# Minister Zdrowia

---

PLR2.050.6.2024.SGÓ  
Warszawa, 04 lutego 2024

**Pan  
Szymon Hołownia  
Marszałek Sejmu  
Rzeczypospolitej Polskiej**

*Szanowny Panie Marszałku,*

w odpowiedzi na interpelację nr 826 Pana Czesława Hoca, Posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, w sprawie dostępu do leków osób chorych na mukowiscydozę, tj. objęcia refundacją leków nowej generacji, czyli leków przyczynowych - korektorów i modulatorów CFTR, zgodnie z kryteriami rejestracyjnymi oraz ustalenia konkretnej i warunkowej kwalifikacji chorych na mukowiscydozę w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”), Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Wszelkie kwestie związane z refundacją reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm. ), zwana dalej „ustawą o refundacji”.

W myśl zapisów ustawy o refundacji, objęcie refundacją produktu leczniczego jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej, wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek złożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera) zgodnie z art. 24 ww. ustawy. Złożony wniosek musi zawierać wszystkie elementy określone w art. 25 ustawy o refundacji. Wniosek o objęcie refundacją nowej substancji czynnej lub nowego wskazania dla danej substancji czynnej podlega ocenie przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto, 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 ustawy o refundacji, Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją produktu we wnioskowanym wskazaniu.

Na podstawie przepisów art. 37 ustawy o refundacji Minister Zdrowia ogłasza, co do zasady raz na 3 miesiące, w drodze obwieszczenia wykaz refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobów medycznych.

Zgodnie z treścią aktualnie obowiązującego obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 11 grudnia 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych obowiązującego od 1 stycznia 2024 r., w ramach programu lekowego **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/tezaakaftor /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.*

Należy podkreślić, że firma Vertex złożyła wnioski dotyczące objęcia refundacją leczenia skojarzonego **Kaftrio + Kalydeco dla pacjentów w wieku co najmniej 6 lat**, którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu mukowiscydozowego przezbłonowego regulatora przewodnictwa. Podmiot odpowiedzialny **20 października 2023 r. zwrócił się do Ministra Zdrowia z wnioskiem o umorzenie ww. postępowań**, natomiast Minister Zdrowia, uwzględniając żądanie strony, **umorzył postępowania w dniu 26 października 2023 r.**, tym samym kończąc procedurę administracyjną.

System refundacyjny w Polsce jest systemem wnioskowym, co oznacza dobrowolność Wnioskodawcy zarówno w przystąpieniu do postępowania (złożenie wniosku) jak i udziału w nim (możliwość złożenia w każdej chwili pisma z prośbą o umorzenie postępowania). Należy mieć na uwadze, że w każdej chwili firma może złożyć do Ministra Zdrowia kolejny wniosek o objęcie refundacją swoich produktów.

Warto również podkreślić, iż całkowite wydatki na leki, refundowane w ramach programu lekowego B.112. wynosiły:

- 2021 r. – **2,7 mln zł** (99% mniej niż w 2022 r.);
- 2022 r. - ok. **246 mln zł** dla 895 pacjentów;
- 2023 r. w okresie styczeń-październik (włącznie)<sup>1</sup> – **441,4 mln zł** dla 1 051 pacjentów.

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 jeśli chodzi o największe wydatki na refundację w zakresie produktów leczniczych finansowanych w ramach programów lekowych.

Co także bardzo istotne, wzrost wydatków w 2022 r. (rok do roku) na ten program lekowy był największy spośród wszystkich programów lekowych w historii polskiej

---

<sup>1</sup> MERL - Moduł Eksploracji Rynku Leków, najnowsze dane.

refundacji. Wpływ na to miało objęcie refundacją w marcu 2022 r. 3 innowacyjnych terapii w leczeniu chorych na mukowiscydozę, tj.: Kaftrio (w skojarzeniu z Kalydeco), Symkevi (w skojarzeniu z Kalydeco) oraz Orkambi.

Należy także podkreślić rolę Funduszu Medycznego w finansowaniu terapii stosowanych w mukowiscydozie. Fundusz Medyczny to mechanizm finansowy ustanowiony na mocy ustawy z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym (Dz.U. z 2023 r. poz. 1758, z późn. zm.), który powstał z inicjatywy Prezydenta RP, we współpracy z Ministrem Zdrowia. Jego celem jest poprawa zdrowia i jakości życia Polaków. Fundusz jest finansowany ze środków publicznych.

W ramach Funduszu wyodrębniono 4 subfundusze, w tym subfundusz terapeutyczno-innowacyjny dedykowany:

- finansowaniu świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych osobom do ukończenia 18 roku życia,
- finansowaniu świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych poza granicami kraju,
- **finansowaniu leków w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL);**
- finansowaniu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI),
- **finansowaniu technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej (TLK).**

Na mocy art. 40a ust. 8 ustawy o refundacji, po zasięgnięciu opinii Rady Przejrzystości, Konsultantów Krajowych z danej dziedziny medycyny oraz Rzecznika Praw Pacjenta, Minister Zdrowia opublikował jednorazową listę technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej na podstawie wykazu technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej przekazanego przez Agencję.

Celem utworzenia wykazu technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej (TLK) było udostępnienie pacjentom leków dotychczas dostępnych na rynku, lecz nier refundowanych ze środków publicznych. Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji technologia lekowa o wysokiej wartości klinicznej to technologia lekowa, która:

- uzyskała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską od 1 stycznia 2017 r. do 31 grudnia 2019 r.;
- do dnia wydania decyzji o objęciu refundacją nie była finansowana ze środków publicznych, z wyjątkiem finansowania w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej (RDTL);
- została umieszczona przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w wykazie technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej przygotowanym jednorazowo.

Aby istotna klinicznie technologia lekowa została objęta refundacją i została ustalona dla niej cena zbytu netto, podmiot odpowiedzialny zobowiązany jest do przełożenia wniosku o refundację, o którym mowa w art. 24 ust. 1 pkt 1a) ustawy o refundacji. Wszczęcie procesu refundacyjnego jest więc autonomiczną decyzją podmiotu odpowiedzialnego.

Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej rozpatruje się w terminie 180 dni, z tym, że w przypadku konieczności uzupełnienia danych niezbędnych do rozpatrzenia wniosku, bieg tego terminu ulega zawieszeniu do dnia otrzymania uzupełnienia danych albo do dnia upływu terminu uzupełnienia wniosku.

Lista technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej została opublikowana 29 października 2021 r. i zawiera następujące terapie stosowane w mukowiscydozie:

1. 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;
2. 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;
3. 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.

Produkty lecznicze Kaftrio oraz Symkevi zostały objęte refundacją w ramach programu lekowego B.112. od 1 marca 2022 r. i są finansowane w ramach Funduszu Medycznego.

Poniżej przedstawiono koszty leków stosowanych w mukowiscydozie i finansowanych w ramach Funduszu Medycznego za cały 2023 rok:

Produkt	TLK/TLI	Wartość zrealizowanych jednostek
Symkevi, Tezacaftorum + Ivacaftorum, Tabletki powlekane, 100 mg + 150 mg, 28 szt.	TLK	45 595 062,94 zł
Symkevi, Tezacaftorum + Ivacaftorum, Tabletki powlekane, 50 mg + 75 mg, 28 szt.		
Kaftrio, Ivacaftorum + Tezacaftorum + Elexacaftorum, Tabletki powlekane, 75 mg + 50 mg + 100 mg, 56 szt.	TLK	329 805 284,94 zł
	<b>SUMA</b>	<b>375 400 347,88 zł</b>

Odnosząc się natomiast do kwestii ratunkowego dostępu do technologii lekowych należy dodać, iż procedura RDTL, funkcjonująca w obecnym kształcie od dnia 26 listopada 2020 r., **dedykowana jest pacjentom, u których w toku prowadzonego leczenia wyczerpano dostępne opcje terapeutyczne finansowane ze środków publicznych w danym wskazaniu.** Finansowaniu w ramach procedury RDTL podlegać mogą produkty lecznicze posiadające pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ważne na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, które pozostają w obrocie lub są dostępne na polskim rynku i **które nie znajdują się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL,** publikowanym cyklicznie przez Ministra Zdrowia.

Produkty lecznicze Kaftrio i Kalydeco podlegały finansowaniu w ramach procedury RDTL - zgodnie ze sprawozdaniem rocznym, przekazanym przez Narodowy Fundusz Zdrowia, leczenie w ramach procedury RDTL prowadzone było w 2023 r.

u 11 pacjentów w wieku 6-12 lat; **na leczenie tych pacjentów przekazano ze środków Funduszu Medycznego około 5,2 mln zł.**

Należy jednocześnie wskazać, że od dnia 16 listopada 2023 r. (tj. wejścia w życie zapisów ostatniego wykazu produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL) **produkty lecznicze Kaftrio oraz Kalydeco nie mogą podlegać finansowaniu w ramach procedury RDTL w terapii mukowiscydozy w populacji pacjentów wieku co najmniej 6 lat**, homozygotycznych pod względem mutacji F508del w genie CFTR lub heterozygotycznych pod względem w/w mutacji z mutacją o minimalnej wartości funkcji genu CFTR. Przyczyną takiego stanu rzeczy jest niespełnienie w toku postępowań o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto, warunków finansowych określonych w rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr 113/2022 z dnia 28 listopada 2022 r. (tj. pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka oraz zaproponowanie dodatkowego mechanizmu podziału ryzyka zabezpieczającego budżet płatnika), skutkujące umorzeniem postępowań o objęcie refundacją dla wskazanych powyżej leków na wniosek podmiotu odpowiedzialnego. Obecnie **leczenie z zastosowaniem produktów leczniczych Kaftrio i Kalydeco w ramach procedury RDTL jest dostępne dla pacjentów, którzy rozpoczęli leczenie z zastosowaniem w/w leków przed 16 listopada 2023 r. i u których istnieją uzasadnione przesłanki do kontynuacji terapii.**

Odnosząc się do kwestii związanych ze specyfiką finansowania leczenia w ramach procedury RDTL należy wskazać, że procedura RDTL w swoich założeniach dotyczy ściśle określonych przypadków medycznych, w których wyczerpano wszystkie dostępne opcje terapeutyczne finansowane ze środków publicznych w danym wskazaniu. Tym samym **procedura RDTL jest procedurą o charakterze ekstraordynaryjnym, która nie powinna zastępować funkcjonującego obecnie systemu refundacyjnego.** Odnosząc się do kwestii poszerzenia dostępności do leczenia przyczynowego mukowiscydozy należy wskazać, że polski system refundacyjny jest systemem wnioskowym, tj. wszczęcie postępowania o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto może nastąpić wyłącznie na wniosek podmiotu odpowiedzialnego lub jego przedstawiciela. W przypadku leków Kaftrio i Kalydeco należy wskazać, że podmiot odpowiedzialny zadeklarował złożenie nowego wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto w ramach rozszerzenia obecnie funkcjonującego programu lekowego leczenia

mukowiscydozy. Jednocześnie należy podkreślić, że decyzja o złożeniu wniosku o objęcie refundacją lub o nieubieganiu się o refundację danego leku, jak już wspomniano powyżej jest autonomiczną decyzją podmiotu odpowiedzialnego.

Ustawa o refundacji nakłada na ministra właściwego ds. zdrowia obowiązek gospodarowania środkami pochodzącymi ze składek obywateli w sposób racjonalny, tj. zapewniający wszystkim obywatelom mającym zróżnicowane potrzeby zdrowotne sprawiedliwy dostęp do skutecznych terapii. Podstawą tak rozumianej sprawiedliwości społecznej jest podejmowanie decyzji dotyczących alokacji publicznych zasobów systemowych w oparciu o jednolite, powtarzalne i przejrzyste kryteria stosowania wobec zróżnicowanych potrzeb zdrowotnych wielu grup pacjentów. Przy tworzeniu wykazu refundowanych leków, środków medycznych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, uwzględnia się wartość terapeutyczną leku, bezpieczeństwo jego stosowania oraz koszt terapii.

*Z wyrazami szacunku*

z upoważnienia Ministra Zdrowia

Maciej Miłkowski

Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/