



Minister
Zdrowia



PLR2.050.28.2024.DG
Warszawa, 29 czerwca 2024

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 3288 Pani Joanny Muchy, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej oraz grupy Posłów na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej w sprawie leczenia achondroplazji (niskorosłości), Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Voxzogo (wozorytyd) jest lekiem przeznaczonym do leczenia achondroplazji u pacjentów w wieku 4 miesięcy i starszych z potwierdzoną achondroplazją, u których nasady kości długich nie zostały zamknięte. Pierwotne wskazanie rejestracyjne cechowało się wyższą dolną granicą stosowania leku (pacjenci w wieku 2 lat i starsi). Lek posiada pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Unii Europejskiej, wydane w dniu 26 sierpnia 2021 r.

Lek Voxzogo jest dostępny na polskim rynku, przy czym nie jest on finansowany ze środków publicznych w ramach mechanizmu refundacji systemowej.

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 w określonym wskazaniu jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej, wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny. 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 (AOTMiT, Agencja). W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto, instrumentów dzielenia ryzyka 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.

Minister Zdrowia uprzejmie informuje, że na dzień tworzenia niniejszego pisma nie wpłynął wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto dla produktu leczniczego Voxzogo.

Ministerstwo Zdrowia zakończyło dyskusję prowadzoną z podmiotem odpowiedzialnym przedmiotowego leku – firmą BioMarin International Ltd. Na ostatnim spotkaniu, które miało miejsce w kwietniu 2024 r., firma BioMarin zadeklarowała chęć współpracy w zakresie przedłożenia wniosku o objęcie refundacją. Konieczność wykonania niezbędnych analiz HTA oraz przygotowanie formalno-prawne do procesu refundacyjnego wymaga od Wnioskodawcy dodatkowego nakładu pracy i kosztów. Minister Zdrowia oczekuje, że Firma wywiąże się z przekazanej na spotkaniu zapowiedzi przedkładając wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto leku Voxzogo. W przypadku złożenia przez Podmiot odpowiedzialny stosownego wniosku ewentualne postępowanie refundacyjne będzie prowadzone w ramach standardowej ścieżki refundacyjnej opisanej powyżej, a w przypadku pozytywnego jego zakończenia lek dostępny będzie dla pacjentów w ramach mechanizmu finansowania systemowego. Na chwilę obecną Minister Zdrowia nie jest w stanie określić kiedy i czy na pewno firma BioMarin zdecyduje się na złożenie wniosku o objęcie refundacją leku Voxzogo.

Aktualnie w systemie refundacyjnym w ramach ustawy o refundacji istnieje 7 ścieżek objęcia refundacją danej technologii lekowej:

1. art. 24. ust. 1 pkt. 1 – standardowa ścieżka objęcia refundacją danej technologii wraz z przedłożeniem analiz HTA oraz przejściem pełnego procesu refundacyjnego wynosząca 180 dni,
2. art. 24. ust. 1 pkt. 1a – ścieżka dla terapii o wysokiej wartości klinicznej finansowanych w ramach Funduszu Medycznego, wymaga przedłożenia analiz HTA oraz przejścia pełnego procesu refundacyjnego wynoszącego 180 dni,
3. art. 24. ust. 1 pkt 1b – ścieżka dla terapii o wysokim stopniu innowacyjności finansowanych w ramach Funduszu Medycznego, bez konieczności przedłożenia analiz HTA oraz posiadająca ekstraordynaryjny czas procedowania – 60 dni,
4. art. 24 ust. 1 pkt 4 – ścieżka ustalenia urzędowej ceny zbytu netto dla technologii stanowiącej element sumy kosztów istniejącego świadczenia gwarantowanego,

5. art. 30 ust. 3 – ścieżka dla technologii lekowych, które w przeszłości znajdowały się na wykazie refundacyjnym oraz otrzymały pozytywną rekomendację Prezesa Agencji, nie wymaga przedłożenia analiz HTA przez podmiot odpowiedzialny,
6. art. 30a – ścieżka dla technologii lekowych o ugruntowanej skuteczności klinicznej, które utraciły wyłączność rynkową i są na rynku publicznym od wielu lat, nie wymaga przedłożenia analiz HTA przez podmiot odpowiedzialny,
7. art. 40 – ścieżka dla technologii lekowych stosowanych we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Minister Zdrowia, dostrzegając problem dostępności leczenia achondroplazji z zastosowaniem leku Voxzogo, w dniu 30 maja 2022 r. umieścił lek na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności. Powyższe oznaczało, że od dnia 30 maja 2022 r. do dnia publikacji kolejnej listy leków innowacyjnych (co nastąpiło w dniu 30 czerwca 2023 r.) podmiot odpowiedzialny miał możliwość złożenia wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla leku Voxzogo w ramach refundacji systemowej na preferencyjnych warunkach (obejmujących m.in. brak konieczności przedkładania kompletu kosztownych analiz HTA, brak opłat za przygotowanie analizy weryfikacyjnej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a także skrócony do 60 dni termin na rozstrzygnięcie postępowania). Pomimo wyżej wymienionych benefitów administracyjnych i ekonomicznych, podmiot odpowiedzialny nie przedłożył wniosku refundacyjnego.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Marek Kos
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/