



Minister
Zdrowia



PLR2.050.24.2024.JW
Warszawa, 30 czerwca 2024

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na zapytanie nr 542 Pani Barbary Okuły, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej oraz grupy Posłów na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej w sprawie zatwierdzenia badań klinicznych nad lekiem Ravicti i późniejszej refundacji tego leku, Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Wskazuję, iż zgodnie z art. 2 ust. 1 pkt 4 ustawy z dnia 18 marca 2011 r. o Urzędzie Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (Dz.U. z 2023 r. poz. 1223), Prezes Urzędu (dalej jako „Prezes UR”) jest organem właściwym w sprawach związanych z badaniami klinicznymi produktów leczniczych.

Zgodnie z przepisami zgodę na prowadzenie badania klinicznego wydaje się na wniosek sponsora. Tym samym, Prezes UR proceduje postępowania w zakresie wydania zgody na prowadzenie badania klinicznego, zgodnie z wymaganiami i w terminach narzuconych przez przepisy szczegółowe tj. Rozporządzenie Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylenia dyrektywy 2001/20/WE oraz ustawę z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi (Dz.U. poz. 605). Wskazana procedura każdorazowo rozpoczyna się złożeniem przez sponsora wniosku o pozwolenie na badanie kliniczne. Zarówno wniosek, jak i dołączona do niego dokumentacja, powinny spełniać wymagania określone w przepisach ww. aktów prawnych. Stwierdzić należy, że w odniesieniu do badania klinicznego nad produktem leczniczym Ravicti wniosek, o którym mowa powyżej nie został złożony. W przypadku jego złożenia zostanie on oceniony na podstawie omówionych przepisów i w trybie przewidzianym dla postępowania prowadzonego w sprawie wydania pozwolenia na badanie kliniczne.

Wskazane regulacje uniemożliwiają Prezesowi Urzędu działanie z urzędu w ww. sprawie, tj. bez stosownego wniosku sponsora.

Jednocześnie, zgodnie z informacjami pozyskanymi z Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych informuję, że jedynym badaniem klinicznym dla którego do Prezesa Urzędu został złożony wniosek o rozpoczęcie badania klinicznego, odnoszący się do substancji czynnej *fenylomaślan glicerolu* był wniosek dla badania klinicznego o numerze protokołu A35-011 pt. „*Otwarte badanie kontynuacyjne fazy IIIb oceniające bezpieczeństwo i tolerancję AMX0035 przez okres do 108 tygodni u dorosłych uczestników ze stwardnieniem zanikowym bocznym włączonych uprzednio do badania A35-004 (PHOENIX)*” złożony przez sponsora Amylyx Pharmaceuticals Inc., USA. Badanie po pozytywnym zaopiniowaniu wniosku zgodnie z treścią art. 371 ust. 5 ustawy Prawo Farmaceutyczne w dn. 15.02.2023 r. zostało wpisane do Centralnej Ewidencji Badań Klinicznych pod numerem DBL.474.89.2023.

Odnosząc się do zagadnienia obejmującego potencjalną refundację leku Ravicti, 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.

Aktualnie produkt leczniczy Ravicti jest refundowany w ramach programu lekowego B.140. LECZENIE WSPOMAGAJĄCE ZABURZEŃ CYKLU MOCZNIKOWEGO (ICD-10: E72.2), w którym leczeni są pacjenci z zaburzeniem cyklu mocznikowego potwierdzone badaniem enzymatycznym, biochemicznym lub genetycznym, obejmujące: niedobór syntetazy karbamoilofosforanowej I lub karbamoilotransferazy ornitynowej lub syntetazy

argininobursztynianowej lub liazy argininobursztynianowej lub arginazy I lub translokazy ornitynowej (tzw. zespół HHH tj. hiperamonemia-hiperornitynemias-homocytrulinuria), których nie można skutecznie leczyć tylko poprzez ograniczenie spożycia białka lub suplementację aminokwasów.

W celu implementacji populacji objętej badaniem klinicznym w programie lekowym, podmiot odpowiedzialny w pierwszej kolejności musi zarejestrować nowe wskazanie kliniczne po ukończeniu badania rejestracyjnego, a następnie złożyć odpowiedni wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto oraz przejść procedurę refundacyjną, opisaną powyżej. Minister Zdrowia, biorąc pod uwagę wszystkie kryteria ustawowe, podejmie decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją przedmiotowego leku.

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