



Minister
Zdrowia



PLD.050.14.2024.AK
Warszawa, 17 lipca 2024

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

W odpowiedzi na interpelację nr 3573 z dnia 1 lipca 2024 r. Pani Małgorzaty Pępek, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, dotyczącą możliwości refundacji leku Voxzogo, stosowanego w terapii achondroplazji, Minister Zdrowia uprzejmie informuje co następuje. Produkt leczniczy Voxzogo, zawierający substancję czynną wozorytyd, w dniu 26 sierpnia 2021 r. uzyskał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Unii Europejskiej, początkowo w leczeniu pacjentów w wieku 2 lat i powyżej, u których uzyskano potwierdzenie diagnozy achondroplazji i u których nasady kości długich nie zostały zamknięte; w listopadzie 2023 r. dolna granica wieku do stosowania leku Voxzogo uległa obniżeniu do 4 miesięcy.

Produkt leczniczy Voxzogo nie był nigdy przedmiotem finansowania ze środków publicznych w ramach refundacji systemowej. Należy jednocześnie wskazać, że do 16 sierpnia 2023 r. istniała możliwość ubiegania się o pokrycie kosztów terapii z zastosowaniem leku Voxzogo w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”). W ramach tej procedury możliwe jest wydanie zgody na pokrycie kosztów leku na potrzeby pacjenta, u którego w toku dotychczasowej terapii zostały wyczerpane dostępne metody leczenia 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, pozostające w obrocie lub dostępne na polskim rynku, które nie znajdują się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL, publikowanym regularnie przez Ministra Zdrowia. Niespełnienie warunków wskazanych powyżej, jak również zaistnienie okoliczności, o których mowa w art. 47f ust. 3 pkt 1-4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r. poz. 146, z późn. zm.), tj.:

1. niezłożenie przez podmiot odpowiedzialny (lub jego przedstawiciela) wniosku

o objęciu refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w terminie wskazanym przez Ministra Zdrowia;

2. umorzenie postępowania o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu;
3. wydanie przez Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji rekomendacji, w której objęcie refundacją danej substancji czynnej w danym wskazaniu uznaje się za niezasadne;
4. wydanie przez Ministra Zdrowia decyzji o odmowie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu dla danej substancji czynnej w danym wskazaniu

- skutkuje brakiem możliwości finansowania danego produktu leczniczego w ramach procedury RDTL i umieszczeniem go na wymienionym wyżej wykazie.

Produkt leczniczy Voxzogo znajduje się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL od dnia 9 sierpnia 2023 r. Powyższe oznacza, że od dnia 16 sierpnia 2023 r. (data wejścia w życie wskazanego powyżej wykazu) nie jest możliwe finansowanie leczenia w ramach procedury RDTL w ramach pierwotnego wskazania rejestracyjnego (tj. pacjentów w wieku 2 lat i starszych z potwierdzoną achondroplazją, u których nasady kości długich nie zostały zamknięte) w sytuacji wdrażania leczenia.

Jednocześnie należy wskazać, że możliwość terapii z zastosowaniem leku Voxzogo w ramach procedury RDTL pozostaje zachowana dla pacjentów, którzy rozpoczęli leczenie z zastosowaniem w/w leku przed dniem 16 sierpnia 2023 r. i u których istnieją uzasadnione przesłanki do kontynuacji terapii (tj. udokumentowana skuteczność terapii). Ponadto należy wskazać, że możliwość finansowania leku Voxzogo w ramach procedury RDTL pozostaje otwarta dla pacjentów w przedziale wiekowym 4 miesiące – 2 lata.

Odnosząc się do kwestii możliwości finansowania leku Voxzogo ze środków publicznych, Minister Zdrowia uprzejmie informuje, że działania w przedmiocie udostępnienia leku polskim pacjentom w ramach mechanizmu refundacji systemowej zostały podjęte już w maju 2022 r., kiedy to Minister Zdrowia umieścił lek Voxzogo na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności. Powyższe oznaczało, że podmiot odpowiedzialny do dnia publikacji kolejnej listy (co nastąpiło w dniu 30 czerwca 2023 r.) miał możliwość wystąpienia z wnioskiem o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w ówczesnym wskazaniu rejestracyjnym w ramach ścieżki refundacyjnej dedykowanej nowoczesnym, innowacyjnym technologiom medycznym. Ścieżka ta przewiduje m.in. brak opłat za wniesienie wniosku o objęcie refundacją, brak opłat za sporządzenie analizy technologii medycznej, ponadto termin na wydanie rozstrzygnięcia przez Ministra Zdrowia jest znacznie skrócony (60 dni od daty złożenia wniosku). Podmiot odpowiedzialny do dnia 30 czerwca 2023 r. nie zdecydował się jednak na złożenie wniosku o objęcie refundacją leku Voxzogo. Ponadto należy wskazać, że Minister Zdrowia jeszcze dwukrotnie wzywał podmiot odpowiedzialny do złożenia

wniosku o objęcie refundacją leku Voxzogo, jednak za każdym razem nie uzyskiwał odpowiedzi.

W związku z licznymi prośbami indywidualnych pacjentów, jak również organizacji i stowarzyszeń pacjenckich, w dniu 5 lutego 2024 r. Minister Zdrowia zwrócił się z prośbą do podmiotu odpowiedzialnego o możliwość spotkania celem omówienia możliwości refundacji leku Voxzogo w ramach refundacji systemowej. Podmiot odpowiedzialny odpowiedział pozytywnie na prośbę Ministra Zdrowia i w kwietniu 2024 r. odbyły się dwa spotkania, w ramach których podmiot odpowiedzialny wstępnie zadeklarował chęć złożenia wniosku o objęcie refundacją leku Voxzogo.

Niezależnie od powyższego Minister Zdrowia podkreśla, że obowiązujący w Polsce system refundacji leków opiera się na mechanizmie wnioskowym, tj. wszczęcie postępowania o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu może nastąpić wyłącznie w sytuacji przedłożenia przez podmiot odpowiedzialny (lub jego przedstawiciela) stosownego wniosku. Dopiero w sytuacji złożenia wniosku uruchamiane jest właściwe postępowanie, na które składają się m.in. etapy szacowania wielkości populacji docelowej, ocena technologii medycznej, negocjacje cenowe oraz etap rozstrzygnięcia postępowania. Rozstrzygnięcie postępowania następuje w drodze decyzji administracyjnej, w oparciu o materiał zgromadzony w toku postępowania o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu (w tym również w oparciu o dowody naukowe i opinie ekspertów klinicznych). W sytuacji wydania przez Ministra Zdrowia decyzji o objęciu refundacją danej technologii medycznej, lek udostępniany jest wszystkim pacjentom, którzy spełniają kryteria kwalifikacji do terapii, co jest sytuacją odmienną do tej mającej miejsce w ramach procedury RDTL (w której leczenie ma charakter zgody na potrzeby indywidualnego pacjenta).

Minister Zdrowia zaznacza jednocześnie, że decyzja o złożeniu przez podmiot odpowiedzialny wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla danego leku w danym wskazaniu jest autonomiczną decyzją podmiotu odpowiedzialnego. Z powyższych względów nie jest możliwe określenie, czy kiedy i w jakim zakresie terapia achondroplazji z zastosowaniem leku Voxzogo zostanie udostępniona polskim pacjentom w ramach mechanizmu systemowej jego refundacji.

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