



Minister  
Zdrowia



PLR2.050.32.2024.EL

Warszawa, 03 sierpnia 2024

**Pan**  
**Szymon Hołownia**  
**Marszałek Sejmu**

*Szanowny Panie Marszałku,*

w odpowiedzi na interpelację nr 3825, posłanki na Sejm RP Pani Moniki Wielichowskiej, dotyczącej dostępu do terapii dla pacjentów chorujących na hipofosfatazję, Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższego.

Kwestie związane z refundacją poszczególnych technologii lekowych reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r. poz. 930, z późn. zm.) zwana dalej „ustawą o refundacji”.

Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji, objęcie refundacją produktu leczniczego dopuszczonego do obrotu na terenie Unii Europejskiej lub w Polsce jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera).

W przypadku leku, który nie posiada odpowiednika refundowanego we wnioskowanym wskazaniu, Minister Zdrowia przesyła wniosek o objęcie refundacją wraz ze złożoną dokumentacją Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) w celu przygotowania: analizy weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa Agencji. W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej (KE), która prowadzi z Wnioskodawcą negocjacje m.in. w zakresie

ustalenia ceny zbytu netto, instrumentów dzielenia ryzyka czy wskazania. 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 leku we wnioskowanym wskazaniu.

W związku z powyższym należy wskazać, iż 22 grudnia 2022 r. do Ministerstwa Zdrowia wpłynął wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku zawierającego *asfotaze alfa* (Strensiq) w ramach nowego programu lekowego "Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3)". Wniosek wraz z całą dokumentacją przeszedł ocenę AOTMiT, po czym została wydana **negatywna** rekomendacja Prezesa Agencji o numerze 99/2023.

W rekomendacji Prezes Agencji wskazał między innymi, że odnalezione wytyczne postępowania medycznego zalecają stosowanie asfotasum alfa we wnioskowanym wskazaniu, zwłaszcza u chorych z HPP o niekorzystnym rokowaniu, natomiast rekomendacje Agencji HTA są podzielone. Przedstawione dowody naukowe nie rozwiewają wątpliwości wskazywanych przez inne Agencje HTA, tj. dotyczące skuteczności leku w populacji chorych z HPP o początku w wieku dziecięcym do 18 r.ż., niepewności określenia wielkości korzyści klinicznych oraz dotyczące niepewności oszacowań efektywności kosztowej. Rada Przejrzystości wydała w przedmiotowej kwestii pozytywne stanowisko nr 98/2023 jednak wyraźnie w nim wskazała na konieczności wdrożenia instrumentu dzielenia ryzyka celem osiągnięcia efektywności kosztowej wnioskowanej terapii wzorem innych krajów.

Pełna treść rekomendacji dostępna jest na stronie internetowej AOTMiT:

[https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2023/060/REK/2023%2009%2011%20BP%20RP%20nr%2099\\_2023%20Strensiq%20publikacja\\_BIP\\_REOPTR.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/060/REK/2023%2009%2011%20BP%20RP%20nr%2099_2023%20Strensiq%20publikacja_BIP_REOPTR.pdf).

W dalszym kroku wniosek o objęcie refundacją leku Strensiq został skierowany na negocjacje cenowe Wnioskodawcy z Zespołem Negocjacyjnym Komisji Ekonomicznej. Po zakończonych negocjacjach Komisja Ekonomiczna wydała w sprawie negatywną uchwałę.

W dalszym kroku postępowania całość dokumentacji została przekazana Ministrowi Zdrowia celem podjęcia pozytywnej bądź negatywnej decyzji w zakresie objęcia refundacją leku w ramach wnioskowanej kategorii dostępności refundacyjnej. W związku z powyższym należy podkreślić, iż postępowania refundacyjne dla leku Strensiq nadal jest w toku.

Ministerstwo Zdrowia realizując szeroko pojętą politykę lekową państwa przykłada dużo uwagi do kwestii skuteczności jak i bezpieczeństwa refundowanych leków. Trzeba wskazać, że każda pozycja na wykazie refundacyjnym jest technologią medyczną, w odniesieniu do terapeutycznego działania której zostały przedstawione wyczerpujące dowody naukowe oraz zebrano możliwie najpełniejszy zbiór wyników badań klinicznych i literaturowych.

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. Należy zaznaczyć, iż środki finansowe przeznaczone na refundację są ograniczone, zatem istotne jest racjonalne wprowadzanie na wykazy kolejnych opcji terapeutycznych.

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