



Minister
Zdrowia



PLR2.050.34.2024.PR
Warszawa, 03 sierpnia 2024

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację Pana Posła Norberta Pietrykowskiego z 23 lipca 2024 r. nr 3943 w sprawie poprawy dostępu do skutecznej terapii dla pacjentów dotkniętych szpiczakiem plazmocytowym, Minister Zdrowia informuje jak niżej.

Na wstępie należy wskazać, iż 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 2024 r. poz. 930, z późn. zm.) - dalej jako „ustawa o refundacji”.

Zgodnie z art. 24 ustawy o refundacji, w odniesieniu do produktów leczniczych, które są dostępne na terenie Rzeczypospolitej Polskiej, w zakresie wskazań rejestracyjnych, Minister Zdrowia może podjąć działania w sprawie objęcia refundacją bądź zmiany wskazań w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera).

Złożony wniosek, o którym mowa wyżej, jest poddawany ocenie formalno-prawnej, a następnie, w przypadku produktu leczniczego, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, jest przesyłany do oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej też jako „Agencja”) celem przygotowania analizy weryfikacyjnej, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa. Prezes Agencji, biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości, jakość dostępnych dowodów naukowych oraz wiarygodność porównań i wyników przeprowadzonych analiz, wydaje rekomendację w sprawie

objęcia refundacją wnioskowanego leku w danym wskazaniu. Następnie prowadzone są negocjacje z Komisją Ekonomiczną, która prowadzi z podmiotami odpowiedzialnymi negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto oraz wskazań, w którym lek ma być refundowany.

Minister Zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, wydaje decyzję administracyjną o objęciu refundacją, przy uwzględnieniu następujących kryteriów:

- 1) stanowiska Komisji Ekonomicznej;
- 2) rekomendacji Prezesa Agencji;
- 3) istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją;
- 4) skuteczności klinicznej i praktycznej;
- 5) bezpieczeństwa stosowania;
- 6) relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania;
- 7) stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym;
- 8) konkurencyjności cenowej;
- 9) wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców;
- 10) istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania;
- 11) wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3-10;
- 12) mapy potrzeb zdrowotnych, o której mowa w art. 95a ust. 1 ustawy o świadczeniach;
- 13) wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto, a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia;
- 14) zobowiązania do zapewnienia ciągłości dostaw, o którym mowa w art. 25 pkt 4 – biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek.

W odniesieniu do wskazanego w interpelacji zapytania o refundację schematu KDd (karfilzomib w skojarzeniu z daratumumabem i deksametazonem) należy wskazać, iż w Ministerstwie Zdrowia toczyło się postępowanie pierwszoinstancyjne o objęcie refundacją leku Kyprolis (karfilzomib) w terapii skojarzonej KDd w leczeniu chorych na szpiczaka plazmocytoowego w 2.-4. linii w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10 C90.0)”.

Zgodnie z opisaną powyżej procedurą Minister Zdrowia zlecił Prezesowi Agencji przygotowanie analizy weryfikacyjnej dla przedmiotowego leku w ww. wskazaniu oraz przygotowanie na jej podstawie stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa Agencji.

29 sierpnia 2023 r. Prezes Agencji wydał negatywną rekomendację nr 96/2023 w sprawie oceny leku Kyprolis (karfilzomib) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10 C90.0)” w ww. wskazaniu. Jawna treść dokumentu dostępna jest pod adresem:

https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/058/REK/2023.08.29%20BP.410.96.2023.AP%20RP%2096_2023%20Kyprolis%20BIP_REOPTR.pdf.

Minister Zdrowia, rozpatrując sprawę w oparciu o całość zebranego w toku postępowania materiału, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, biorąc pod uwagę kryteria określone w art. 12 ustawy o refundacji oraz inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, decyzją z 21.03.2024 r. odmówił objęcia refundacją leku Kyprolis w ww. wskazaniu.

Jednym z niespełnionych kryteriów w przedmiotowym postępowaniu była konkurencyjność cenowa leku względem terapii aktualnie refundowanych w leczeniu chorych na szpiczaka plazmocytoowego. Należy wskazać, iż w przedmiotowej terapii dwa składniki leczenia skojarzonego (karfilzomib i daratumumab) są lekami oryginalnymi, z trwającymi jeszcze okresami ochronnymi, o bardzo wysokim koszcie stosowania. Minister Zdrowia zaś, rozpatrując wniosek o objęcie refundacją leku w danym wskazaniu, musi brać pod uwagę wpływ objęcia refundacją danej terapii na budżet płatnika publicznego przy uwzględnieniu dodatkowych kosztów leczenia pozostałymi składowymi terapii skojarzonej, które

w przedmiotowej terapii także są bardzo wysokie, ze względu na koszt daratumumabu.

Jednocześnie informuję, że Wnioskodawca skorzystał z prawa do odwołania się od decyzji odmownej i 4.04.2024 r. złożył do Ministerstwa Zdrowia wniosek o ponowne rozpatrzenie sprawy. Postępowanie drugoinstancyjne jest w toku.

Warto podkreślić, iż ostatnie lata pokazują przełom, jaki dokonuje się w refundacji leków hematologicznych, przynosząc z roku na rok coraz więcej nowych cząsteczko-wskazań dostępnych bezpłatnie dla chorych na nowotwory krwi w ramach programów lekowych i katalogu chemioterapii. W 2022 r. udostępniono 14 nowych cząsteczko-wskazań hematologicznych, w 2023 r. – aż 28, natomiast trzy pierwsze obwieszczenia refundacyjne w 2024 r. to 9 kolejnych nowych terapii objętych refundacją w hematologii.

Przykładem wręcz rewolucji w dostępie do refundowanego leczenia jest refundacja leków w leczeniu chorych **właśnie na szpiczaka plazmocytozy**. Jeszcze przed listopadem 2018 roku w ramach programu lekowego B.54. refundowany był tylko jeden lek – Revlimid (lenalidomid). Aktualnie, lek oryginalny jak i jego odpowiedniki, są refundowane w wielu dodatkowych wskazaniach w ramach katalogu chemioterapii, natomiast w programie lekowym dostępnych jest obecnie 10 różnych schematów leczenia.

Należy także wskazać, iż w ramach ww. programu lekowego od drugiej linii leczenia dostępne są poniższe schematy niezawierające lenalidomidu:

- PVd (pomalidomid w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem),
- DVd (daratumumab w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem) oraz
- Kd (karfilzomib w skojarzeniu z deksametazonem, niezawierający również bortezomibu).

Dodatkowo, od trzeciej linii leczenia chorych na szpiczaka plazmocytozy dostępne w ramach programu B.54. są kolejne terapie dla pacjentów, u których wcześniej zastosowano lenalidomid i inhibitor proteasomu (do tej grupy leków należy m.in. bortezomib), tj.:

- Pd (pomalidomid w skojarzeniu z deksametazonem),
- EloPd (elotuzumab w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem) oraz
- IsaPd (izatuksymab w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem).

Ostatnie dwa lata (od 1 marca 2022 r.) to aż 14 nowych cząsteczko-wskazań objętych refundacją w leczeniu chorych na szpiczaka plazmocytoowego, szczegóły w tabeli niżej.

Nazwa i numer programu lekowego / załącznika do chemioterapii	Rodzaj zmiany	Data wejścia w życie
<p>B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10 C90.0)”</p>	<p>Nowe objęcia dla leków:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) Revlimid (lenalidomid) (a w kolejnych obwieszczeniach także dla jego odpowiedników) we wskazaniu: leczenie lenalidomidem w skojarzeniu z deksametazonem (schemat Rd) w I linii leczenia dorosłych pacjentów z nieleczonym uprzednio szpiczakiem plazmocytoowym, 2) Revlimid (lenalidomid) (a w kolejnych obwieszczeniach także dla jego odpowiedników) we wskazaniu: leczenie lenalidomidem w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem (schemat RVd) w I linii leczenia dorosłych pacjentów z nieleczonym uprzednio szpiczakiem plazmocytoowym, 3) Imnovid (pomalidomid) we wskazaniu: leczenie pomalidomidem w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem (schemat PVd) w II-IV linii leczenia dorosłych pacjentów z opornym lub nawrotowym szpiczakiem plazmocytoowym, 4) Darzalex (daratumumab w formie podskórnej) we wskazaniu: leczenie daratumumabem (w formie podskórnej) w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem (schemat DVd) w II-IV linii leczenia dorosłych pacjentów z opornym lub nawrotowym szpiczakiem plazmocytoowym. 	<p>1.03.2022 r.</p>
<p>B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD10 C90.0)”</p>	<p>Wprowadzenie kompleksowych zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego uwzględniających m.in.:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) rozszerzenie wskazań do stosowania icksazomibu poprzez możliwość terapii lekiem w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem (schemat IRd) od II linii leczenia szpiczaka plazmocytoowego (dotychczas możliwość leczenia od III linii), 2) nowe objęcie dla leku Darzalex (daratumumab) we wskazaniu: Leczenie daratumumabem w skojarzeniu z bortezomibem, talidomidem i deksametazonem (schemat DVTd) dorosłych pacjentów z uprzednio nieleczonym szpiczakiem plazmocytoowym (I linia leczenia), kwalifikujących się do leczenia chemioterapią wysokodawkową z przeszczepieniem autologicznych krwiotwórczych komórek macierzystych, 3) nowe objęcie dla leku Darzalex (daratumumab) we wskazaniu: Leczenie daratumumabem w skojarzeniu z bortezomibem i deksametazonem (schemat DVd) w II-IV linii leczenia dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytoowego, u których nie stwierdzono oporności na leczenie bortezomibem (rozszerzenie dotychczas refundowanego wskazania), 4) nowe objęcie dla leku Darzalex (daratumumab) we wskazaniu: Leczenie daratumumabem w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem (schemat DRd) w II-IV linii leczenia dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytoowego 5) nowe objęcie dla Empliciti (elotuzumab) we wskazaniu: Leczenie elotuzumabem w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem (schemat EloPd) od III linii leczenia dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytoowego, 6) przeniesienie lenalidomidu do katalogu chemioterapii. 	<p>1.01.2023 r.</p>

C.84.a. LENALIDOMI DUM	<p>Nowy załącznik w katalogu chemioterapii uwzględniający dotychczas refundowane wskazania dla leków zawierających lenalidomid w ramach programu lekowego B.54. (szpiczak plazmocytowy), a także nowe wskazania rejestracyjne dla lenalidomidu:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) Leczenie lenalidomidem w skojarzeniu z deksametazonem dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym, u których stosowano uprzednio co najmniej jeden schemat leczenia (rozszerzenie dotychczas refundowanego wskazania) 2) Leczenie lenalidomidem w skojarzeniu z melfalanem i prednizonem dorosłych pacjentów z nieleczonym uprzednio szpiczakiem plazmocytowym, którzy nie kwalifikują się do przeszczepienia autologicznych krwiotwórczych komórek macierzystych (auto-HSCT), 3) Leczenie lenalidomidem w monoterapii w leczeniu podtrzymującym dorosłych pacjentów ze szpiczakiem plazmocytowym po przeszczepieniu autologicznych krwiotwórczych komórek macierzystych (auto-HSCT) stosowanym po pierwszej linii leczenia 	1.01.2023 r.
B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocyto- go (ICD10 C90.0)”	<p>Nowe objęcia dla leków:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) Kyprolis (karfilzomib) we wskazaniu: Leczenie karfilzomibem w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem (schemat KRd) dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocyto- go w II-IV linii leczenia (tj. rozszerzenie dotychczas refundowanego wskazania w schemacie KRd), 2) Sarclisa (izatuksymab) we wskazaniu: Leczenie izatuksymabem w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem (schemat IsaPd) od III linii leczenia dorosłych chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocyto- go z niewydolnością nerek (RI), i u których w którymkolwiek z poprzedzających protokołów leczenia zastosowano lenalidomid i inhibitor proteasomu 	1.07.2023 r.
B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocyto- go (ICD10 C90.0)”	<p>Nowe objęcie dla leku:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) Darzalex (daratumumab w formie podskórnej) we wskazaniu: I linia leczenia dorosłych chorych na szpiczaka plazmocyto- go, niekwalifikujących się do przeszczepienia autologicznych krwiotwórczych komórek macierzystych daratumumabem (w formie do podania podskórnego) w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem (schemat DRd) 	1.01.2024 r.

Należy także wskazać, iż w 2022 r. program lekowy B.54. znalazł się na 6. miejscu spośród wszystkich 114 funkcjonujących programów lekowych pod względem największych wydatków ponoszonych przez płatnika publicznego na refundację leków w programach lekowych. W 2023 r., pomimo przeniesienia lenalidomidu do katalogu chemioterapii, udostępnienie nowych terapii w programie B.54. spowodowało, że program B.54. znowu znalazł się w pierwszej dziesiątce (na 9. miejscu) najbardziej kosztochłonnych programów lekowych (wśród 118 programów lekowych funkcjonujących w 2023 r.).

Ministerstwo Zdrowia dostrzega potrzebę zmian w programach lekowych i jak widać – na podstawie wskazanych powyżej przykładów, wprowadza je w życie systematycznie. Wydaje się, że ostatnie lata i powyżej wskazane informacje potwierdzają, że resort zdrowia przykładą bardzo dużo uwagi także do problemu chorych na szpiczaka plazmocyto- go. Należy mieć jednak na uwadze, że środki na refundację są ograniczone, a środkami publicznymi należy gospodarować w sposób

racjonalny, zapewniający wszystkim obywatelom mającym zróżnicowane potrzeby zdrowotne sprawiedliwy dostęp do skutecznych terapii.

Z wyrazami szacunku

z upoważnienia Ministra Zdrowia

Marek Kos

Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/