



PLR2.050.43.2024.ZL
Warszawa, 14 października 2024

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 4832 z dnia 25 września 2024 r. Pani Marceliny Zawisy oraz Marty Stożek, posłanek na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej i grupy posłów, w sprawie wprowadzenia do obrotu leku Deflazakort, Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Według przekazanych przez Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (dalej jako „URPL”) informacji, na mocy art. 7 ust. 1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne, postępowania w przedmiocie wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego są postępowaniami wnioskowymi, tj. ich wszczęcie następuje na wniosek strony. W odniesieniu do rejestracji produktu leczniczego zawierającego jako substancję czynną *Deflazacortum* URPL poinformował, iż na chwilę obecną nie został złożony stosowny wniosek.

Odnosząc się do kwestii rozpatrzenia możliwości refundacji przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej jako „AOTMiT”), w okresie ostatnich 5 lat lek zawierający przedmiotową substancję czynną wielokrotnie był oceniany przez AOTMiT w zakresie zasadności wydania zgody na refundację w kilku różnych wskazaniach leczniczych. Poniżej zestawiono zlecenia realizowane przez AOTMiT, których przedmiotem była ocena możliwości refundacji w ramach importu docelowego leków z *deflazakortem*.

Nazwa, postać leku oraz rozpatrywane przez AOTMiT wskazanie	Numer zlecenia	Numer rekomendacji	Stanowisko AOTMiT	Uzasadnienie w przypadku braku rekomendacji
Calcort, <i>Deflazacort</i> , tabletki 6 mg Wskazanie: dystrofia mięśniowa Duchenne'a	159/2024	W trakcie oceny	W trakcie oceny	W trakcie oceny
Calcort, <i>Deflazacort</i> , tabletki 6 mg Wskazanie: miastenia ciężka rzekomoporaźna o ciężkim przebiegu z wielokrotnymi przełomami miastenicznymi	95/2024	101/2024	Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu Calcort (<i>deflazakort</i>) we wskazaniu: miastenia rzekomoporaźna o ciężkim przebiegu z wielokrotnymi przełomami miastenicznymi.	Zebrane w procesie oceny informacje uznano za niewystarczające, by uzasadnić wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazakort</i>) w ocenianym wskazaniu.
Calcort, <i>Deflazacort</i> , tabletki 6 mg, Wskazanie : zespół nerczycowy, autoimmunologiczne zapalenie wątroby	20/2024	29/2024	Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację leku Calcort (<i>deflazakort</i>) we wskazaniach: zespół nerczycowy, autoimmunologiczne zapalenie wątroby.	Aktualizacja dostępnych danych podtrzymuje przyjęte dotychczas wnioskowanie i wskazuje na brak zasadności finansowania produktu leczniczego Calcort w ocenianych wskazaniach.
Calcort, <i>Deflazacort</i> , tabletki 6 mg Wskazanie: miastenia.	108/2023	128/2023	Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazakort</i>) we wskazaniu: miastenia.	Aktualizacja dostępnych informacji podtrzymuje przyjęte dotychczas wnioskowanie i rekomendację wskazującą na brak zasadności finansowania produktu Calcort w ocenianym wskazaniu
Calcort, <i>Deflazacort</i> , tabletki 6 mg, Wskazanie: toczeń rumieniowaty układowy	97/2023	95/2023	Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazakort</i>) we wskazaniu: toczeń rumieniowaty układowy.	

Calcort, <i>Deflazacort</i> , tabletki 6 mg, Wskazanie: zespół nerczycowy.	29/2023	75/2023	Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazakort</i>) we wskazaniu: zespół nerczycowy.	Zbrane w procesie oceny informacje uznano za niewystarczające, by uzasadnić wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazakort</i>) w analizowanym wskazaniu.
Dezacor, <i>Deflazacort</i> , krople doustne, roztwór 22,75 mg/ml Wskazanie: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a leczenie pacjentów pediatrycznych	109/2021	106/2021	Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Dezacor (<i>deflazacort</i>) we wskazaniu dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a w populacji pacjentów Pediatrycznych	
Calcort, <i>Deflazacort</i> Wskazanie: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a	99/2021	95/2021	Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazakort</i>) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a.	W wyniku aktualizacji nie zidentyfikowano nowych dowodów naukowych, które wykazałyby skuteczność stosowania deflazakortu w porównaniu z prednizonem oraz prednizolonem.
Calcort, <i>Deflazacort</i> , tabletki 6 mg i 30 mg dla pacjentów pediatrycznych Wskazanie : dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a , u których leczenie glikokortykosteroidami spowodowało wzrost masy ciała przekraczający 20% w stosunku do wartości wyjściowej	235/2019	11/2020	Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazakort</i>) dla pacjentów pediatrycznych ze wskazaniem dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a, u których leczenie glikokortykosteroidami spowodowało wzrost masy ciała przekraczający 20% w stosunku do wartości wyjściowej.	Brak badań odnoszących się bezpośrednio do wnioskowanej populacji liczne ograniczenia przytoczonych badań pośrednio odnoszących się do wnioskowanej populacji, powodują że nie ma wystarczających przesłanek do rekomendowania finansowania ze środków publicznych terapii deflazakortem, w populacji określonej zleceniem Ministra Zdrowia.

<p>Calcort, <i>Deflazacort</i>, tabletki 6 mg i 30 mg, Wskazanie : dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a (DMD), u których istnieją przeciwwskazania do zastosowania prednizonu</p>	123/2019	72/2019	<p>Prezes Agencji nie rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazacort</i>) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a (DMD) u pacjentów z przeciwwskazaniami do zastosowania prednizonu.</p>	<p>Liczne ograniczenia odnalezionych badań, jak również mała liczba dowodów naukowych odnoszących się do populacji wnioskowanej – pacjentów z DMD z przeciwwskazaniami do zastosowania prednizonu (1 opis przypadku) i fakt, że ten typ badań jest nisko sklasyfikowany w hierarchii wiarygodności doniesień naukowych, nie ma wystarczających przesłanek do rekomendowania finansowania terapii deflazakortem w DMD ze środków publicznych</p>
<p>Calcort, <i>Deflazacort</i>, tabletki 6 mg i 30 mg, Wskazanie : dystrofia mięśniowa typu Beckera; miastenia; mieszana choroba tkanki łącznej; neuropatia nerwów obwodowych; olbrzymiokomórkowe zapalenie tętnic; zapalenie błony naczyniowej oczu; reumatoidalne zapalenie stawów; sarkoidoza; stan po przeszczepie nerki; toczeń rumieniowaty układowy; układowe zapalenie naczyń, w tym układowe zapalenie</p>	27/2019	97/2019	<p>Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazacort</i>) we wskazaniu: toczeń rumieniowaty układowy.</p>	
		23/2020	<p>Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazacort</i>) we wskazaniu: stan po przeszczepie nerki u dzieci przed okresem pokwitania.</p>	
		28/2020, 29/2020	<p>Prezes Agencji nie rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (<i>deflazacort</i>) we wskazaniach: dystrofia mięśniowa typu Beckera, neuropatia nerwów obwodowych, zespół Ormonda, zespół Sjogrena, zespół Churga-Strauss, zespół</p>	<p>W ramach analizy klinicznej we wskazaniu dystrofia mięśniowa typu Beckera odnalezione wytyczne nie zalecają stosowania glikokortykosteroidów. Zalecanym postępowaniem jest stosowanie terapii</p>

naczyń w przebiegu choroby Takayasu; autoimmunologiczne zapalenie wątroby; zespół antyfosfolipidowy; zespół Churga-Strauss; zespół nerczycowy; zespół Ormonda; zespół Sjogrena, zmiany śródmiąższowe w płucach.			antyfosfolipidow	koncentrującej się na kontrolowaniu występujących u pacjenta objawów
---	--	--	------------------	--

Tabela nr 1. Dane opracowane na podstawie danych dostępnych AOTMiT dostępnych pod adresem : <https://bip.aotm.gov.pl/wyszukiwarka?q=deflaz>

Analizie Agencji Oceny Technologii Medycznej i Taryfikacji poddane zostały dwa produkty o różnej postaci leku oraz nazwie handlowej. Lek Calcort występujący w postaci tabletek, w dawkach 6 mg oraz 30 mg, poddawany był wielokrotnej ocenie na przestrzeni ostatnich lat. Analizowana była zasadność refundacji w ramach importu docelowego w kilku wskazaniach klinicznych, w tym również **dystrofii mięśniowej Duchenne’a** (rekomendacje nr 72/2019 z dnia 3 września 2019 r., 11/2020 z dnia 10 lutego 2020 r oraz 95/2021 z dnia 26 lipca 2021 r.). Wszystkie **rekomendacje** dla tego wskazania w tej postaci leku były **negatywne**. W w/w wskazaniach, jak również wcześniejszych dotyczących wskazań w zakresie dystrofii mięśniowych Prezes Agencji nie rekomendował wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego.

Treści pełnych uzasadnień braku udzielonej rekomendacji AOTMiT dostępne są pod adresem: <https://bip.aotm.gov.pl/wyszukiwarka?q=deflaz>.

Drugi lek zawierający w składzie *deflazacort*, występuje pod nazwą Dezacor w postaci kropli doustnych w stężeniu 22,75 mg/ml. Poddany analizie w przypadku wskazania „dystrofia mięśniowa typu Duchenne’a - leczenie pacjentów pediatrycznych” **uzyskał pozytywną rekomendację** Prezesa AOTMiT (rekomendacja nr 106/2021 z dnia 30 sierpnia 2021 r.) na wydawanie zgód na sprowadzanie leku w ramach importu docelowego.

W kwestii wskazanej w pytaniu nr 3 należy wskazać, że w Ministerstwie Zdrowia trwają obecnie prace nad nowelizacją ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji

leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r. poz. 930), dalej jako ustawa o refundacji.

W pracach tych rozważa się różne ułatwienia dla Wnioskodawców w postępowaniu o objęciu refundacją. Jedną z propozycji jest, aby Minister Zdrowia mógł wzywać do złożenia wniosku na konkretną substancję czynną w konkretnym wskazaniu i jeżeli wnioskodawca to uczyni będzie mógł skorzystać z udogodnień. Należy jednak podkreślić, że wszystkie decyzje o objęciu refundacją są wydawane na podstawie przesłanek wskazanych w art. 12 ustawy o refundacji. Natomiast leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyroby medyczne, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu będą wymagać przedstawienia wskazanych prawem analiz, które stanowią podstawę do przygotowania analizy weryfikacyjnej i opinii ciał doradczych Ministra Zdrowia, a które to następnie stanowią przesłanki wydania decyzji.

Warto przypomnieć w tym miejscu, iż w chwili obecnie obowiązującego prawa możliwość objęcia refundacją leków zarejestrowanych w Polsce oparte jest o złożenie wniosku przez Wnioskodawcę.

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 Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji;
- 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.

Należy wskazać, iż dla żadnego leku zawierającego substancję czynną *deflazacort* podmioty odpowiedzialne nie złożyły dotychczas odpowiednich wniosków o objęcie refundacją leku, a jak już wskazano powyżej, Minister Zdrowia może podjąć

działania w sprawie objęcia refundacją leku jedynie w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera).

W odpowiedzi na pytanie dotyczące importu docelowego należy wziąć pod uwagę iż, produkt leczniczy zawierający substancję czynną *deflazacort* nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w Polsce, zatem aby mógł być sprowadzony z zagranicy w ramach procedury importu docelowego, muszą być spełnione przesłanki, o których mowa w art. 4 ust. 1 i ust. 3 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2024 r. poz. 686). Oznacza to, że produkt leczniczy musi posiadać aktualne pozwolenie na dopuszczenie do obrotu w kraju importu oraz nie może być dostępnego na terenie Polski leku, który posiadałby taką substancję czynną, tą samą postać farmaceutyczną i dawkę, co lek sprowadzany z zagranicy.

W tym miejscu należy zaznaczyć, że o terapii pacjenta zawsze decyduje lekarz, ponieważ zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentystry (Dz.U. z 2024 r. poz. 1287), lekarz ma obowiązek wykonywać zawód, zgodnie ze wskazaniami aktualnej wiedzy medycznej, dostępnymi mu metodami i środkami zapobiegania, rozpoznawania i leczenia chorób, zgodnie z zasadami etyki zawodowej oraz z należytą starannością. Lekarz jest więc osobą odpowiedzialną za dokonanie rozpoznania, ocenę stanu pacjenta i wybór najkorzystniejszej metody leczenia w danym przypadku klinicznym. W związku z powyższym, w przypadku podjęcia przez lekarza decyzji o zastosowaniu w terapii pacjenta produktu leczniczego nieposiadającego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Polski lub niedostępnego w Polsce, możliwe jest sprowadzenie z zagranicy takiego produktu leczniczego w ramach procedury importu docelowego.

Zapotrzebowanie na sprowadzenie produktu leczniczego z zagranicy wystawia lekarz wyłącznie w formie elektronicznej za pośrednictwem Systemu Obsługi Importu Docelowego (dalej SOID) i w ramach tego systemu następuje także potwierdzenie zasadności wystawienia zapotrzebowania przez konsultanta z danej dziedziny medycyny. Minister Zdrowia dokonuje potwierdzenia zapotrzebowania także w SOID, zaś pacjent otrzymuje rozstrzygnięcie zapotrzebowania albo na adres poczty elektronicznej, który powinien podać lekarzowi w momencie wystawiania zapotrzebowania na lek albo listownie dostarczone na adres

zamieszkania za pośrednictwem Poczty Polskiej. Podstawą sprowadzenia produktu leczniczego z zagranicy jest zapotrzebowanie, potwierdzone przez Ministra Zdrowia na okoliczność braku wystąpienia przesłanek, o których mowa w art. 4 ust. 3 ustawy Prawo farmaceutyczne.

Należy nadmienić, że zapotrzebowanie jest ważne tylko przez okres 60 dni od daty wydania rozstrzygnięcia przez Ministra Zdrowia i w tym czasie pacjent powinien je dostarczyć do apteki ogólnodostępnej, w celu sprowadzenia leku z zagranicy za pośrednictwem hurtowni farmaceutycznej. Recepta wystawiona przez lekarza uprawnia do odbioru leku z apteki.

W celu uproszczenia i przyspieszenia procedury importu docelowego, od 1 kwietnia 2021 r. wprowadzono obowiązek wystawiania i rozpatrywania zapotrzebowań w formie elektronicznej poprzez system SOID, co znacznie przyspiesza cały proces. Działania pacjenta ograniczają się jedynie do wizyty u lekarza i oczekiwania na rozstrzygnięcie zapotrzebowania.

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