



# Minister Zdrowia

---

PLR2.050.4.2025.JW  
Warszawa, 06 lutego 2025

**Pan**  
**Szymon Hołownia**  
Marszałek Sejmu  
Rzeczypospolitej Polskiej

*Szanowny Panie Marszałku,*

w odpowiedzi na interpelację nr 7417 Pani Katarzyny Ueberhan, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, w sprawie refundacji terapii lekiem Skyclarys (omaveloksolon) dla pacjentów z ataksją Friedreicha, Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji.

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). Na podstawie przepisów art. 37 ww. ustawy Minister Zdrowia ogłasza co do zasady raz na 3 miesiące, w drodze obwieszczenia wykazy refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobów medycznych.

Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji, objęcie refundacją produktu leczniczego w danym wskazaniu jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera). Oznacza to, że warunkiem podjęcia działań mających na celu objęcie refundacją leku jest złożenie adekwatnego wniosku o objęcie refundacją.

Wniosek podmiotu odpowiedzialnego jest procedowany zgodnie z zapisami przedmiotowej ustawy, co obejmuje dla leku zawierającego nową substancję czynną, przygotowanie analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej jako „AOTMiT”), stanowiska Rady Przejrzystości, rekomendacji Prezesa Agencji. Wydanie rekomendacji, stanowiącej efekt oceny skuteczności, bezpieczeństwa oraz efektywności kosztowej leku, przez Prezesa AOTMiT dla nowego produktu leczniczego umożliwia przekazanie projektu do Komisji Ekonomicznej celem przeprowadzenia negocjacji warunków cenowych objęcia refundacją.

Następnie Minister Zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, wydaje decyzję administracyjną (pozytywną bądź negatywną) w przedmiocie objęcia refundacją i ustaleniu urzędowej ceny zbytu, przy uwzględnieniu następujących kryteriów:

- 1) stanowiska Komisji Ekonomicznej, o której mowa w art. 17,
  - 2) rekomendacji Prezesa Agencji, o której mowa w art. 35 ust. 6,
  - 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 (Dz.U. z 2021 r. poz. 151), 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, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny.

Należy wskazać, że wniosek dla leku Skyclarys (omaweloksolon) wpłynął do Ministerstwa Zdrowia i nie został jeszcze oceniony przez AOTMiT, jak również nie przeprowadzono jeszcze negocjacji cenowych z Komisją Ekonomiczną. Dopiero po wydaniu opinii ciał

doradczych cały zebrany w sprawie materiał zostanie przekazany Ministrowi Zdrowia celem wydania finalnej decyzji w zakresie objęcia refundacją.

Na dziś lek Skyclarys nie jest finansowany ze środków publicznych w ramach refundacji systemowej. Jednocześnie należy wskazać, że obecnie lek ten może podlegać finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”) na ogólnie obowiązujących warunkach (tj. po wyczerpaniu w toku terapii pacjenta dostępnych technologii medycznych finansowanych ze środków publicznych oraz uzyskania przez uprawnionego świadczeniodawcę zgody konsultanta, potwierdzającej zasadność wdrożenia terapii lub zgłoszenia kontynuacji leczenia wraz z potwierdzeniem skuteczności dotychczas stosowanego leczenia).

Zgodnie z przedstawionym sprawozdaniem z finansowania leczenia w ramach procedury RDTL, lek Skyclarys został sfinansowany na potrzeby 14 pacjentów w wieku od 15 do 46 lat, we wskazaniach definiowanych kodami ICD-10: G.11.1, G11.2, G11.8 (tj. odpowiednio: bezład mózdkowy o wczesnym początku, bezład mózdkowy o późnym początku, inne bezładny dziedziczne).

O sfinansowanie kosztów leku Skyclarys w 2024 r. zawnioskowało łącznie 8 świadczeniodawców z województw: dolnośląskiego (1), lubelskiego (1), podlaskiego (1), pomorskiego (2), śląskiego (1), wielkopolskiego (1) oraz zachodniopomorskiego (1); najwięcej pacjentów (8) było leczonych w województwie pomorskim.

łącznie w 2024 r. pozytywnie rozpatrzonych zostało 18 wniosków o wydanie zgody na pokrycie kosztów leku Skyclarys na łączną kwotę 3 503 326,18 zł.

Odnosząc się do kwestii konsekwencji ewentualnego wydania w toku postępowania o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu netto dla leku Skyclarys we wskazaniu dotyczącym ataksji Friedreicha negatywnej rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w przedmiotowym zakresie, należy wskazać, że powyższe spowoduje wpisanie leku Skyclarys na wykaz leków niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL – możliwość finansowania leku Skyclarys w ramach tej procedury zostanie wtedy zachowana wyłącznie dla tych świadczeniodawców, którzy rozpoczęli leczenie przed wejściem w życie wykazu wprowadzającego brak możliwości finansowania leku w ramach procedury RDTL, pod warunkiem zaistnienia uzasadnionych przesłanek potwierdzających zasadność kontynuacji terapii (tj. udowodnionej skuteczności leczenia).

Przedstawiając powyższe należy zapewnić, iż Ministerstwo Zdrowia podejmuje wszelkie możliwe działania mające na celu zwiększenie dostępu pacjentom do skutecznej i

bezpiecznej farmakoterapii w ramach posiadanych środków publicznych. 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.

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