



Minister Zdrowia

PLR2.050.7.2025.DG
Warszawa, 20 lutego 2025

**Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej**

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 7709 Pana Witolda Tumanowicza, Posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej oraz grupy Posłów na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej w sprawie refundacji enzymatycznej terapii zastępczej dla pacjentów z niedoborem kwaśnej lipazy lizosomalnej (LAL-D), Minister Zdrowia przekazuje poniższe informacje.

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.), zwana dalej „ustawą o refundacji”.

Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji, objęcie refundacją produktu leczniczego w określonym wskazaniu jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej, wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny. Złożony wniosek musi zawierać wszystkie elementy, określone w art. 25. ustawy o refundacji. Wniosek o objęcie refundacją nowej substancji czynnej lub nowego wskazania dla danej substancji czynnej podlega ocenie przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto, instrumentów dzielenia ryzyka oraz wskazania, w którym produkt ma być refundowany. 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 produktu we wnioskowanym wskazaniu.

Podmiot odpowiedzialny leku Kanuma (*sebelipazum alfa*) dwukrotnie starał się o wprowadzenie przedmiotowej technologii do systemu refundacyjnego:

- wnioskiem z 6.08.2020 r., z wydaną negatywną opinią Rady Przejrzystości (nr 56/2021 z 24.05.2021 r.) oraz negatywną rekomendacją Prezesa Agencji (nr 56/2021 z 25.05.2021 r.),
- wnioskiem z 15.12.2023 r., z wydaną warunkowo pozytywną opinią Rady Przejrzystości (nr 63/2024 z 8.07. 2024 r.) oraz negatywną rekomendacją Prezesa Agencji (nr 66/2024 z 10.07.2024 r).

Minister Zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, biorąc pod uwagę wszystkie kryteria decyzji o objęciu refundacją wskazane w art. 12 ustawy o refundacji tj.:

- 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.

dwukrotnie odmówił objęcia refundacją leku Kanuma (sebelipazum alfa) na zaproponowanych przez podmiot odpowiedzialny warunkach.

Drugie postępowanie administracyjne, w którym lek otrzymał pozytywne warunkowo Stanowisko Rady Przejrzystości, z warunkiem ograniczenia populacji do wczesnej postaci choroby (ciężka postać) i obniżenia kosztów terapii, zakończyło się w grudniu 2024 r. wydaniem negatywnej decyzji Ministra Zdrowia. W obu postępowaniach Prezes Agencji, którego opinia jest jednym z wymienionych powyżej kryteriów art. 12 ustawy o refundacji, nie rekomendował objęcia refundacją produktu, jednak wskazywał taką możliwość w populacji z wczesną postacią choroby po obniżeniu kosztów terapii.

Aktualnie, w celu rozważenia objęcia refundacją systemową leku Kanuma w całej lub zawężonej do ciężkiej postaci choroby populacji, niezbędne jest ponowne złożenie wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto przez podmiot odpowiedzialny i przejście pełnej ścieżki refundacyjnej, opisanej na wstępie.

Zgodnie z danymi przedstawionymi w analizie weryfikacyjnej agencji nr OT.423.1.29.2024 z 28.06.2024 r. w Polsce jest ok 15-25 chorych z późną postacią LAL-D. Minister Zdrowia wskazuje, iż prowadzone są intensywne prace w zakresie Systemu dla Chorób Rzadkich, którego elementami są Karta Pacjenta z chorobą rzadką oraz Polski Rejestr Chorób Rzadkich. Wskazany rejestr umożliwi gromadzenie danych o faktycznej liczbie pacjentów z chorobami rzadkimi w Polsce.

W sierpniu 2024 roku, Uchwałą Rady Ministrów, ustanowiono dokument *Plan dla Chorób Rzadkich 2024-2025*. Jest to druga edycja Planu, mająca na celu poprawę sytuacji polskich pacjentów cierpiących na choroby rzadkie oraz ich rodzin. Stworzenie modelu zintegrowanej opieki zdrowotnej umożliwi kompleksową i skoordynowaną opiekę nad pacjentami. W Planie dla Chorób Rzadkich, który ma charakter operacyjny, proponuje się rozwiązania dotyczące ogółu chorób rzadkich. Ten dokument strategiczny, określa kierunki działań w sześciu obszarach:

- 1) Powołanie Ośrodków Ekspertkich Chorób Rzadkich (OECR) oraz analiza wprowadzonych dla OECR produktów rozliczeniowych. W ramach Unii Europejskiej działają Europejskie Sieci Referencyjne (ERN), czyli wirtualne sieci skupiające świadczeniodawców z całej Europy, utworzone w celu radzenia sobie ze złożonymi lub rzadkimi schorzeniami wymagającymi wysoce specjalistycznego leczenia oraz łączenia fachowej wiedzy, zasobów i doświadczenia specjalistycznych ośrodków z państw członkowskich Unii Europejskich.
 - obecnie w Polsce funkcjonują 44 OECR zrzeszone w Europejskich Sieciach Referencyjnych (ERN). Opracowano kryteria powoływania nowych OECR zgodne z europejskimi rekomendacjami.

- Dla ośrodków eksperckich przygotowano nowe rozwiązania finansowania specyficznych dla chorób rzadkich ścieżek diagnostycznych i terapeutycznych.
- 2) Poprawa dostępu do badań diagnostycznych wykorzystywanych w diagnostyce i leczeniu chorób rzadkich.
- dostęp do nowoczesnej diagnostyki genetycznej ma szczególnie duże znaczenie w opiece nad pacjentami z podejrzeniem choroby rzadkiej,
 - zaplanowano doposażenie szpitali w nowoczesny sprzęt diagnostyczny aby wyrównać dostęp do diagnostyki.
- 3) Dostęp do leków, wyrobów medycznych i środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanych w chorobach rzadkich.
- 4) Polski Rejestr Chorób Rzadkich.
- 5) Karta Pacjenta z chorobą rzadką.
- 6) Platforma Informacyjna „Choroby Rzadkie”.
- realizacja trzech powyższych zadań to budowa Systemu dla Chorób Rzadkich. Celem Systemu jest podnoszenie świadomości dla lekarzy i społeczeństwa na temat chorób rzadkich jak i poprawa dostępu pacjentów do zindywidualizowanego procesu diagnostyczno-terapeutycznego,
 - w ramach systemu powstanie Polski Rejestr Chorób Rzadkich. Z tego systemu będzie generować się Karta Pacjenta z Chorobą Rzadką, która będzie zbiorem podstawowych, kluczowych informacji na temat sytuacji zdrowotnej pacjenta, regularnie aktualizowanym. - Szczegółowe informacje na temat danej choroby znajdują się na aktualizowanej Platformie Informacyjnej, uruchomionej jesienią 2023 r.

W realizacji Planu dla chorób rzadkich MZ wspiera powołana Rada ds. Chorób Rzadkich.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Jerzy Szafranowicz
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/