



Minister Zdrowia

PLR2.050.12.2025.RB
Warszawa, 26 marca 2025

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

odpowiadając na interpelację nr 8060 z 19 lutego 2025 r. Posła na Sejm RP Pana Filipa Kaczyńskiego w sprawie pomocy dzieciom chorym na dystrofię mięśniową Duchenne'a, Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji:

W ramach obowiązujących przepisów prawa tylko produkt, który jest dopuszczony do obrotu na terenie UE lub w Polsce może zostać objęty refundacją (zgodnie z art. 10 pkt.1. ustawy o refundacji¹) czy finansowany w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej (zgodnie z art. 47d pkt.4. ustawy o świadczeniach²).

22 czerwca 2023 r. FDA (Agencja Żywności i Leków- amerykańska instytucja rządowa) wydała przyspieszoną decyzję dotyczącą zatwierdzenia **Elevidys** (delandistrogen moxeparvovec-rokl) – **pierwszej terapii genowej** do leczenia pacjentów pediatrycznych w wieku od 4 do 5 lat z dystrofią mięśniową Duchenne'a (Duchenne muscular dystrophy, DMD) z potwierdzoną mutacją w genie DMD, którzy mają zachowaną umiejętność chodzenia.

Następnie **20 czerwca 2024 r.** FDA zatwierdziła rozszerzenie wskazania dla omawianego leku:

Elevidys to terapia genowa oparta na wektorze wirusa adenowirusowego, wskazana u osób w wieku co najmniej 4 lat:

¹ 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”)

² Na podstawie przepisów ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r. poz. 146, z późn.zm., zwanej dalej „ustawą o świadczeniach”)

- W leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a (DMD) u pacjentów chodzących, u których potwierdzono mutację genu DMD.
- W leczeniu DMD u pacjentów niechodzących, u których potwierdzono mutację w genie DMD (1, 12.2) Wskazanie DMD u pacjentów niechodzących jest zatwierdzone w ramach przyspieszonej procedury zatwierdzania na podstawie ekspresji mikro-dystrofiny Elevidys. Dalsze zatwierdzanie tego wskazania może być uzależnione od weryfikacji i opisu korzyści klinicznych w badaniu(-ach) potwierdzającym(-ych).

Wskazana terapia genowa nie może być aktualnie objęta refundacją w Polsce z uwagi na fakt, że nie posiada pozwolenia na dopuszczenie do obrotu wydanego przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską. Na terenie Unii Europejskiej preparat Elevidys pozostaje nadal preparatem eksperymentalnym.

Za rejestrację leków w Polsce odpowiada Prezes Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, który wskazał, że aktualnie nie toczy się postępowanie rejestracyjne dla produktu Elevidys.

Jednocześnie należy podkreślić, że **aktualnie trwa w drodze procedury centralnej postępowanie rejestracyjne omawianego leku w Europejskiej Agencji Leków (EMA)**. Zakończenie procesu zostało zaplanowane na lipiec 2025 r.

Procedurę obejmowania refundacją leków w Polsce reguluje ustawa o refundacji, zgodnie z którą objęcie refundacją produktu leczniczego w danym wskazaniu jest dokonywana w drodze decyzji administracyjnej wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta, importera leku).

W przypadku zakończenia procesu rejestracyjnego, a następnie dopuszczenia do obrotu na terenie UE leku Elevidys możliwa będzie jego refundacja w Polsce pod warunkiem złożenia odpowiedniego wniosku do Ministerstwa Zdrowia przez podmiot odpowiedzialny.

W związku z powyższym, w przypadku leku, dla którego został złożony wniosek i który nie posiada odpowiednika refundowanego we wnioskowanym wskazaniu, Minister Zdrowia przesyła wniosek wraz ze złożoną dokumentacją Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w celu przygotowania: analizy

weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa. W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, 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.

Należy mieć na uwadze fakt, że w wykazie leków refundowanych umieszczane są wyłącznie technologie medyczne w odniesieniu do których zostały przedstawione wyczerpujące dowody naukowe oraz zebrano możliwie najpełniejszy zbiór wyników badań klinicznych i literaturowych na temat ich terapeutycznego działania.

Zgodnie z wykazem refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, który obowiązuje od 1stycznia 2025 r., dzieci z dystrofią mięśniową Duchene'a (DMD) mogą uzyskać bezpłatne leczenie lekami Translarna w ramach programu lekowego B.130 *Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne'a spowodowaną mutacją nonsensowną w genie dystrofiny* (ICD-10: G71.0).

Program lekowy to świadczenie gwarantowane, w ramach którego leczenie odbywa się z zastosowaniem innowacyjnych, kosztownych substancji czynnych, które nie są finansowane w ramach innych świadczeń gwarantowanych. Leczenie jest prowadzone w wybranych jednostkach chorobowych i obejmuje ściśle zdefiniowaną grupę pacjentów. Treść każdego programu lekowego jest publikowana jako załącznik do obwieszczenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Pacjenci zakwalifikowani do programów lekowych są leczeni bezpłatnie. Decyzję o kwalifikacji do ww. programów podejmuje lekarz placówki posiadającej kontrakt w tym zakresie – w oparciu o szczegółowe kryteria włączenia do programu.

Obwieszczenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych są publikowane co 3 miesiące – aktualne dostępne jest m.in. na stronie

internetowej Ministerstwa Zdrowia:

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekow-refundowanych>

Odnosząc się do kwestii testu diagnostycznego, aktualnie w Ministerstwie Zdrowia nie planuje się refundacji testu pod kątem weryfikacji nosicielstwa delekcji /duplikacji w genie DMD (badanie MLPA, eksony: 11-20, 31-40, 51-60, 71-79, nr 322).

Trwają prace nad objęciem refundacją badań genetycznych. Planuje się umożliwienie, w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, wykonywania badań genetycznych techniką sekwencjonowania NGS finansowanych ze środków publicznych, w tym badania całoeksomowego (WES- Whole Exome Sequencing) z zastosowaniem sekwencjonowania następnej generacji (NGS- Next Generation Sequencing), badań małych i średnich paneli NGS oraz badania kompleksowego profilowania genomowego metodą wysoko przepustowego sekwencjonowania następnej generacji (NGS).

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