



Minister Zdrowia

PLR2.050.26.2025.RB
Warszawa, 11 czerwca 2025

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 9805 z 14 maja 2025 r. Posłów Czesława Hoca i Marka Gróbarczyka w sprawie pilnego finasowania z Funduszu Medycznego najdroższego leku świata w terapii genowej dystrofii mięśniowej Duchenne'a oraz ustanowienia programu badań przesiewowych noworodków w kierunku tej choroby, Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Fundusz Medyczny to mechanizm finansowy ustanowiony na mocy ustawy z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym, który powstał z inicjatywy Prezydenta RP, we współpracy z Ministrem Zdrowia. Fundusz jest finansowany ze środków publicznych.

Jednym z kilkudziesięciu obszarów wsparcia jest:

- finansowaniu technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej (TLK),
- finansowanie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI).

Na podstawie art. 40a 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, z późn. zm.), zwanej dalej „ustawą o refundacji”, Minister Zdrowia może wydać decyzję o objęciu refundacją i ustaleniu ceny zbytu netto technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności, w przypadku gdy Wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto dla danego leku w tym wskazaniu.

Technologią lekową o wysokim poziomie innowacyjności jest technologia lekowa stosowana w onkologii lub chorobach rzadkich, która uzyskała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską i która została umieszczona w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (art. 2 pkt 24 b ustawy o refundacji). Ustalenie poziomu innowacyjności technologii lekowych stosowanych w onkologii lub chorobach rzadkich oraz ustalenie danych gromadzonych w rejestrze medycznym, w tym między innymi wskaźników oceny efektywności terapii i oczekiwanych korzyści zdrowotnych dokonywane jest przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, zwanej dalej „Agencją”, w formie wykazu technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności nie rzadziej niż raz do roku. Agencja określa populację docelową oraz szczegółowe warunki stosowania technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności. Agencja ustala poziom innowacyjności oraz zasady tworzenia wykazu, uwzględniając wiedzę z zakresu oceny technologii medycznych, w szczególności oczekiwane efekty zdrowotne, biorąc pod uwagę między innymi siłę interwencji, jakość danych naukowych, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, wielkość populacji docelowej oraz priorytety zdrowotne.

Minister Zdrowia po zasięgnięciu opinii Rady Przejrzystości, konsultantów krajowych z danej dziedziny medycyny oraz Rzecznika Praw Pacjenta, publikuje listę technologii o wysokim poziomie innowacyjności na podstawie wykazu technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności przekazanego przez Agencję. Minister Zdrowia informuje podmioty odpowiedzialne, których technologie lekowe znajdują się na tej liście, o możliwości złożenia wniosku, o którym mowa w art. 24 ust. 1 pkt 1b ustawy o refundacji. Zatem postępowania o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności i o wysokiej wartości klinicznej są wszczynane na wniosek strony. Stosowny komunikat w sprawie możliwości składania takich wniosków Minister Zdrowia zamieszczał w publicznie dostępnej domenie mz.gov.pl.

Należy podkreślić, że postępowania refundacyjne w zakresie technologii lekowych wskazanych w ustawie o **Funduszu Medycznym są postępowaniami wszczynanymi na wniosek strony**, zatem rozpoczęcie postępowania o objęcie refundacją technologii lekowych jest możliwe jedynie, jeżeli zostanie złożony odpowiedni wniosek.

W tym miejscu należy podkreślić, iż Ministerstwo Zdrowia (MZ) co roku publikuje nową listę TLI, która tworzona jest na podstawie wykazu AOTMiT, przy czym MZ nie ma wpływu na liczbę terapii uwzględnionych na wykazie Agencji. Co więcej, po publikacji listy TLI Ministerstwo Zdrowia nie ma wpływu ani narzędzi prawnych obligujących podmioty do przedłożenia wniosku o objęcie, a ten jest konieczny, aby zrefundować daną technologię. Podsumowując, jeżeli terapia nie została ujęta w wykazie TLI AOTMiT to nie może zostać objęta w tym trybie finansowaniem z FM.

Dodatkowo należy wskazać, że 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 refundacji) czy finansowany w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej (zgodnie z art. 47d pkt.4. ustawy o świadczeniach¹).

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:

- 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

¹ 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”)

zatwierdzenie 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.

Jednocześnie należy podkreślić, że od czerwca 2024 r. 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 i instrumentów dzielenia ryzyka. 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.

Badania przesiewowe noworodków w Polsce są prowadzone na podstawie programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia pn. Rządowy program badań przesiewowych noworodków na lata 2019 – 2026. Aktualnie noworodki badane są pod kątem 30 chorób.

W przypadku rozszerzenia panelu badań o nowe choroby konieczne jest uprzednie przeprowadzenie analiz dostępnych metod oraz przeprowadzenie badań pilotażowych. Istotne jest również przyznanie dodatkowych środków finansowych najpierw na działania przygotowawcze, a następnie na objęcie nowymi badaniami całej populacji noworodków. Kluczową kwestią jest możliwość dalszego leczenia zdiagnozowanych pacjentów w ramach publicznego systemu opieki zdrowotnej. Ministerstwo Zdrowia, wspólnie z Instytutem Matki i Dziecka w Warszawie, który jest wykonawcą badań w ramach programu, analizuje aktualny stan i możliwości rozszerzenia panelu badań przesiewowych noworodków o kolejne choroby. Na tej podstawie są podejmowane decyzje o ewentualnym wprowadzeniu nowych badań do Programu. Tego typu zmiany w programie podlegają również ocenie i akceptacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Jednocześnie należy wspomnieć, że w marcu br. do Rządowego programu badań przesiewowych noworodków na lata 2019 – 2026, wprowadzono finansowanie wykonania badań próbnych w kierunku 6 nowych chorób:

1. Wrodzonego niedoboru odporności SCID (w teście podwójnym razem z będącym już w Programie rdzeniowym zanikiem mięśni SMA);
2. galaktozemii;
3. grupy
4. 4 lizosomalnych chorób spichrzeniowych (choroby Pompe'go, Fabry'ego, Gaucher'a oraz mukopolisacharydozy typu I MPS-I).

W przypadku pozytywnych wyników działań pilotażowych, w pierwszej kolejności planowane jest rozszerzenie programu o wybrane lub wszystkie powyższe choroby. Obecnie nie są prowadzone prace nad wprowadzeniem badań

przesiewowych w kierunku kolejnych chorób, w tym dystrofii mięśniowej Duchenne'a.

Należy jednak podkreślić, że Ministerstwo przychyli się do stanowiska, że badania przesiewowe są istotnym elementem profilaktyki i są niezbędne do jak najwcześniejszego wdrożenia leczenia, dlatego kwestia rozszerzania programu o kolejne choroby pozostaje otwarta. Jest ona jednak w dużym stopniu zależna od efektów podejmowanych analiz i działań oraz od czynników ekonomicznych.

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