



Minister Zdrowia

PLD.050.24.2025.AK
Warszawa, 21 lipca 2025

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

W nawiązaniu do interpelacji nr 10658 Pana Witolda Tumanowicza, Posta na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej w sprawie dostępu do leczenia chorych na zespół von Hippel-Lindau z zastosowaniem leku Welireg (belzutifan), Minister Zdrowia uprzejmie informuje co następuje.

Produkt leczniczy Welireg w sierpniu 2021 r. został dopuszczony do obrotu w Stanach Zjednoczonych przez amerykańską Agencję ds. Żywności i Leków (FDA) do leczenia dorosłych pacjentów z zespołem von Hippel-Lindau, którzy wymagają terapii w związku ze zwiększonymi predyspozycjami do nowotworów o typie raka nerkowokomórkowego, naczynek krwionośnych zarodkowych ośrodkowego układu nerwowego lub guzów neuroendokrynych trzustki i którzy nie wymagają natychmiastowej interwencji chirurgicznej. Od 12 lutego 2025 r. lek Welireg posiada również pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Unii Europejskiej we wskazaniu tożsamym z powyższym oraz w leczeniu dorosłych pacjentów z rakiem nerkowokomórkowym o komponentie jasnokomórkowym, u których nastąpiła progresja choroby po dwóch lub więcej liniach leczenia zawierających inhibitor PD-(L)1 i co najmniej dwie terapie ukierunkowane na naczyniowy śródbłonkowy czynnik wzrostu (ang. VEGF).

W związku z niedostępnością produktu leczniczego Welireg w obrocie na polskim rynku, mógł on podlegać sprowadzaniu z zagranicy na potrzeby indywidualnego pacjenta w ramach procedury importu docelowego, uregulowanej w art. 4 ust. 9 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2025 r. poz. 750). Pacjenci mieli także możliwość wystąpienia o jego refundację, przedkładając Ministrowi Zdrowia wniosek o wydanie zgody na refundację, w oparciu o art. 39 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907).

Możliwość ubiegania się przez pacjentów o refundację leku Welireg na zasadach opisanych powyżej przełożyła się w 2025 r. na 24 złożone wnioski o wydanie zgody na refundację na potrzeby 23 pacjentów. Minister Zdrowia w 21 przypadkach uznał za zasadne wydanie zgody na refundację leku, a 3 wnioski znajdują się jeszcze w trakcie rozpatrywania.

Obecnie, w związku z faktem, iż lek Welireg jest dostępny na polskim rynku, jego sprowadzanie z zagranicy oraz zastosowanie refundacji przewidzianej dla leków sprowadzanych w drodze importu docelowego nie są możliwe.

Jednocześnie Minister Zdrowia wskazuje, iż lek Welireg, z uwagi na jego dostępność w Polsce, może aktualnie podlegać finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”), w ramach której możliwe jest sfinansowanie leku na potrzeby konkretnego świadczeniobiorcy (pacjenta), u którego w toku dotychczasowego leczenia wyczerpano dostępne metody terapii finansowane ze środków publicznych w danym wskazaniu. W ramach procedury RDTL o finansowanie leku mogą ubiegać się wyłącznie wybrani świadczeniodawcy (tj. szpitale III stopnia, szpitale ogólnopolskie, onkologiczne, pulmonologiczne oraz pediatryczne). Warunkiem koniecznym dla uzyskania zgody na pokrycie kosztów leku jest uzyskanie przez świadczeniodawcę opinii konsultanta wojewódzkiego lub krajowego w dziedzinie medycyny właściwej ze względu na chorobę pacjenta (w sytuacji wdrożenia leczenia w ramach procedury RDTL) i przekazanie tej opinii do właściwego oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia. W przypadku kontynuacji leczenia, świadczeniodawca zobowiązany jest przekazać do właściwego oddziału Narodowego Funduszu Zdrowia stosowne zgłoszenie wraz z potwierdzeniem skuteczności terapii prowadzonej dotychczas w ramach procedury RDTL. Koszty leku finansowanego w ramach procedury RDTL pokrywane są ze środków subfunduszu terapeutyczno-innowacyjnego Funduszu Medycznego, co sprawia, że pacjent nie ponosi żadnych kosztów związanych z uzyskaniem dostępu do leczenia.

Minister Zdrowia ponownie podkreśla, że możliwość finansowania leku Welireg w ramach procedury RDTL może podlegać pewnym ograniczeniom w związku z faktem, iż do ubiegania się o finansowanie leku w ramach procedury RDTL uprawniona jest określona powyżej grupa świadczeniodawców.

Odnosząc się do kwestii związanych z wielkością populacji chorych na zespół von Hippel-Lindau, Minister Zdrowia wskazuje, iż zgodnie z danymi zawartymi w rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr 50/2023 z dnia 9 października 2023 r. oraz raportem nr OT.4211.3.2023, częstość występowania choroby szacuje się na 1:36 000 urodzeń. Ponadto w raporcie wskazano, iż problem występowania zespołu von Hippel-Lindau w stadium wymagającym zastosowania leku Welireg może dotyczyć kilkudziesięciu osób w skali roku.

Minister Zdrowia zaznacza jednocześnie, że w przyszłości nie jest wykluczone objęcie leku Welireg finansowaniem ze środków publicznych w ramach mechanizmu refundacji systemowej. Należy jednak podkreślić, że polski system refundacji leków ma charakter wnioskowy, tj. wszczęcie postępowania o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu może nastąpić wyłącznie na wniosek podmiotu odpowiedzialnego lub jego przedstawiciela. Postępowanie to ma charakter wieloetapowy i obejmuje m.in. ustalenie

sposobu finansowania danego leku, ocenę technologii medycznej dokonywaną przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, negocjacje cenowe oraz etap rozstrzygnięcia postępowania przez Ministra Zdrowia. Dopiero po wydaniu ostatecznego rozstrzygnięcia będzie wiadomo, czy, w jakim mechanizmie refundacji i dla jakiej populacji pacjentów dany lek będzie finansowany ze środków publicznych.

Z poważaniem,

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