



Minister Zdrowia

PLR2.050.67.2025.JW
Warszawa, 17 listopada 2025

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 13087 Pana Marka Hoka, Posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej oraz Grupy Posłów, w sprawie oceny efektywności programów lekowych dotyczących leczenia rdzeniowego zaniku mięśni (SMA), Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Od ponad 6 lat w Polsce ze środków publicznych finansowane jest leczenie rdzeniowego zaniku mięśni dla całej populacji chorych na SMA. Pacjenci są zabezpieczeni we wszystkie terapie dedykowane tej jednostce chorobowej. Program lekowy B.102.FM. uznaje się za kompletny, zgodny z aktualnymi wytycznymi co do standardów leczenia SMA.

Od 1 stycznia 2019 r. Minister Zdrowia objął refundacją lek Spinraza (nusinersen) w ramach programu lekowego „Leczenie rdzeniowego zaniku mięśni” w populacji przedobjawowych i objawowych pacjentów z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzone-go badaniem genetycznym. Powyższe oznacza, że od ponad 6 lat cała populacja chorych jest zabezpieczona w skuteczne i bezpłatne leczenie. W ocenie środowiska medycznego wspomniany powyżej lek nusinersen (Spinraza) zapoczątkował przełom w leczeniu pacjentów cierpiących na SMA.

Od 1 września 2022 r. refundacją objęto dwie dodatkowe terapie – terapię genową Zolgensma (Onasemnogenum abeparvovec) oraz lek Evrysdi (rysydylam) w postaci roztworu doustnego. Wszystkie trzy leki są dostępne w ramach jednego zintegrowanego programu lekowego B.102.FM. LECZENIE CHORYCH NA RDZENIOWY ZANIK MIĘŚNI (ICD-10: G12.0, G12.1):

- Nusinersen – lek Spinraza;
- Onasemnogen abeparvovec – lek Zolgensma (terapia genowa);
- Rysdyplam – lek Evrysdi.

Od 1 kwietnia 2024 r. w programie lekowym B.102.FM. rozszerzono kryteria kwalifikacji poprzez:

- możliwość zastosowania terapii onasemnogen abeparwówek otrzymali pacjenci leczeni terapią nusinersen lub rysdyplam:
 - a) po ustąpieniu przeciwwskazań do terapii onasemnogen abeparwówek (pierwotnie pacjent nie otrzymał onasemnogen abeparwówek ze względu na wystąpienie przeciwwskazań z zastrzeżeniem masy ciała do 13,5 kg);
 - b) urodzeni przed 1 września 2022 r. (z zastrzeżeniem masy ciała do 13,5 kg);
- możliwość stosowania nusinersenu podczas ciąży;
- możliwość kontynuacji terapii nusinersenem lub rysdyplamem u pacjentów, którzy z powodu okoliczności niezwiązanych z brakiem skuteczności leczenia (np. uraz, zabieg operacyjny) spełnili kryterium wyłączenia z programu, a jednocześnie po ustaniu tych okoliczności wykazują poprawę.

Od 1 października 2024 r. w programie lekowym B.102.FM. rozszerzono populację pacjentów stosujących rysdyplam o pacjentów bez ograniczenia wiekowego oraz ze zmienioną definicją przeciwwskazań do terapii nusinersenem (dotychczas od 2 mies. życia dla pacjentów, u których stwierdzono przeciwwskazania).

Finansowanie trzech leków i aktywny program badań przesiewowych stawia Polskę w czołówce Europy pod względem diagnostyki i dostępnych w ramach refundacji terapii SMA.

Ponadto w procesie refundacyjnym znajduje się lek Evrysdi (rysdyplam) w postaci tabletek, który może być stosowany jako alternatywa dla obecnego już w programie leku w postaci roztworu doustnego. Wniosek został już oceniany przez AOTMiT, obecnie rozpoczyna się faza negocjacji cenowych Wnioskodawcy z Komisją Ekonomiczną.

Poniżej przedstawiono koszty programu lekowego B.102.FM. w podziale na substancję czynną.

Substancja czynna	Wartość zrealizowanych jednostek rozliczeniowych
2022	
nusinersen	181 819 121,91
onasemnogen abeparwówek	61 799 760,00
rysdyplam	7 017 028,10
2023	
nusinersen	223 912 338,30

onasemnogen abeparwovek	144 171 973,44
rysdyplam	95 874 652,19
2024	
nusinersen	245 740 659,72
onasemnogen abeparwovek	192 252 186,72
rysdyplam	145 146 596,35

Od powstania programu lekowego, w ramach programu leczeniem objętych zostało 1367 pacjentów.

Z danych sprawozdawczo-rozliczeniowych wynika, że zmiany terapii dokonano u 256 pacjentów. Szczegółowe dane zawiera poniższa tabela:

Zmiana terapii z:	
NUSINERSENUM na ONASEMNOGENUM ABEPARVOVECUM	7
NUSINERSENUM na RISDIPLAMUM	246
RISDIPLAMUM na ONASEMNOGENUM ABEPARVOVECUM	3

Odnosząc się do kwestii skuteczności terapii genowej SMA, na podstawie danych Narodowego Funduszu Zdrowia zarejestrowanych w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych oraz danych przekazanych przez Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia Rdzeniowego Zaniku Mięśni wynika, że u 2 pacjentów leczonych terapią genową nie uzyskano oczekiwanego poziomu skuteczności leczenia.

Ponadto, w kwestii danych z rzeczywistej praktyki klinicznej należy wskazać, że lek Zolgensma (onasemnogen abeparwovek) został objęty refundacją jako technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności (TLI). Na 90 dni przed zakończeniem okresu refundacji technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności AOTMiT publikuje raport z oceny efektywności objętych refundacją technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności oraz jakości leczenia w oparciu o dane z rejestrów medycznych lub elektronicznego systemu monitorowania programów lekowych. Raport dla leku Zolgensma (onasemnogen abeparwovek) dostępny jest na stronie internetowej:

<https://bip.aotm.gov.pl/tli/raport-z-oceny-efektywnosci-tli>

Zgodnie z art. 16b ustawy o refundacji Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia Rdzeniowego Zaniku Mięśni składa do Prezesa NFZ półroczne raporty z realizacji programu lekowego.

Raporty te nie odnoszą się do oceny skuteczności leczenia w porównaniu z danymi z badań klinicznych. W ostatnio przekazanym raporcie za okres II półrocza 2024 roku Zespół Koordynacyjny poinformował, iż opracował dane dotyczące długoterminowej skuteczności nusinersenu i przygotowuje się do ich publikacji. Zgodnie z założeniem, pełna publikacja wyników nastąpi w 2025 r.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Katarzyna Kacperczyk
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/