



# Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich Orphan

Ministerstwo Zdrowia  
Departament Polityki Lekowej  
00-952 Warszawa  
ul. Miodowa 15,

Warszawa 14 maja 2013

Szanowni Państwo,

Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich ORPHAN niniejszym przedkłada uwagi do przekazanego do uzgodnień zewnętrznych w dniu 30 kwietnia 2013 roku projektu założeń do projektu ustawy o zmianie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych i niektórych innych ustaw.

1. Wnosimy o uregulowanie w nowelizacji ustawy problemu dotyczącego darowizn leków (art. 49.3) tak aby dopuszczona była darowizna leku refundowanego w przypadku gdy na podstawie decyzji o niezakwalifikowaniu do programu lekowego lub wykluczającej Pacjenta z tegoż programu oraz dopuszczenie darowizn leków na rzecz osób nie spełniających kryteriów włączenia do programu lekowego ( np. lek elaprazę dla MPS typ II – pacjenci poniżej 5 roku życia powinni mieć prawo otrzymywać darowizny leku).
2. Powszechnie obowiązująca w EU doktryna i praktyka wskazuje na konieczność odmiennego traktowania chorób rzadkich. Skutkuje to tym, że w Europie odchodzi się od stosowania finansowych ograniczeń w stosunku do terapii lekami sierocymi. Również w Polsce, postulat ten jest szeroko popierany przez środowiska medyczne, pacjenckie i decydentów dostrzegających istotę i potrzebę odmiennego podejścia do terapii chorób rzadkich. Takie stanowisko podzielają wszyscy członkowie Zespołu ds. chorób rzadkich przy Ministrze Zdrowia co zresztą było szeroko dyskutowane i znalazło swoje odzwierciedlenia w pracach nad Narodowym Planem dla chorób rzadkich. Dyspozycja obecnie obowiązującej ustawy refundacyjnej wynikająca ze stosowania ograniczeń progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia (3xPKB) skutkuje tym, że pomimo skuteczności leczenia żadna rekomendacja AOTM i Komisji Ekonomicznej nie może być „pozytywna” w stosunku do leku sierocego, którego roczna kuracja jest większa od limitu ustanowionego tym progiem. Co prawda Minister nie jest takimi negatywnymi rekomendacjami stricte związany przy wydawaniu decyzji o objęciu refundacją, to jednak ograniczenie progu efektywności kosztowej znacznie utrudnia podjęcie pozytywnej decyzji, która pomimo wysokich kosztów terapii, przy jednoczesnych pozytywnych rekomendacjach byłaby znacznie łatwiejsza do podjęcia. Wnosimy o uzupełnienie Art. 12 w ust. 13 poprzez stwierdzenie że ust. 13 nie ma zastosowania wobec leków, które na podstawie odrębnych przepisów i decyzji (COMP) uzyskały status sierocego produktu medycznego.
3. Standardowe poddawanie decyzji o zasadności refundacji leków sierocych rygorom HTA nie jest prawidłowe. Ocena technologii medycznych (HTA) w odniesieniu do leków sierocych, którą należy wykonać przed ustaleniem refundacji jest czynnikiem, który w Polsce odgrywa decydującą rolę w opóźnianiu i utrudnianiu dostępu pacjentów do leczenia lub nawet w uniemożliwianiu im skorzystania z terapii. Metody stosowane w ocenie efektywności leków przeznaczonych do leczenia częstych schorzeń nie dotyczą leków sierocych. Ponadto w większości przypadków brak jest leku porównawczego oraz zawsze w przypadku chorób rzadkich istnieje niewielka, w porównaniu z chorobami powszechnymi, ilość dowodów naukowych o skuteczności terapii. Na tym właśnie polega rzadkość.

W ramach zastosowania niezbędnych elementów dla efektywnej polityki w sprawie istotnego problemu rzadkich chorób w Europie zagadnienie to było niedawno przedmiotem konsultacji publicznych UE, których celem jest wydanie jeszcze w 2013 roku nowelizacji dyrektywy o transparentności nr 89/105/EEC ograniczającej zastosowanie oceny HTA w stosunku do leków sierocych. Uznano, że przyznanie statusu sierocemu produktowi medycznemu przez EMA nie powinno być przedmiotem ponownej oceny leku przez organy krajowe, regionalne lub lokalne. Konsekwentnie, przygotowywane jest dodanie nowego artykułu w nowelizowanej dyrektywie stwierdzającego, że centralna desygnacja produktu medycznego jako sierocy, dokonana przez COMP (EMA), będzie kryterium wykluczającym możliwość wykonywania ponownej oceny skuteczności leku przez organy państwa członkowskiego. Dlatego też, odnośnie założeń nowelizacji ustawy określonych w pkt. 3.13, w ślad za powyższym i zgłaszanym od dawna przez Krajowe Forum postulatem wnioskujemy o odpowiednie umieszczenie zapisów w ustawie stwierdzających, że artykułu 26.h, art.35.5, 1) oraz art. 35.7, 3)a nie stosuje się wobec leków, które na podstawie odrębnych przepisów i decyzji (COMP) uzyskały status sierociego produktu medycznego.

4. Za koniecznością wprowadzenia zapisów proponowanych powyżej punktach 2 i 3 dodatkowo przemawia zapis założeń nowelizacji ustawy w pkt. 3.13 zakładający, że przy ocenie dokonywanej przez AOTM w procesie ponownego ubiegania się o wydanie decyzji refundacyjnej, fakt wydania przez AOTM negatywnej rekomendacji może stanowić przesłankę do uchylania obowiązującej decyzji refundacyjnej albo do wydania kolejnej decyzji.
5. W zakresie założeń nowelizacji określonym w pkt. 3.7 zakłada się usankcjonowanie w ustawie refundacyjnej istnienia już powołanych i działających zespołów kwalifikacyjnych oraz określenie zasad ich powoływania i funkcjonowania przez Prezesa NFZ. Istotą zespołów będzie, jak jest i obecnie, kwalifikacja do i wykluczenia pacjentów z programu lekowego oraz monitorowanie przebiegu efektów terapii. Przypomnieć należy fakt, iż zespoły wydają decyzje o włączeniu lub wykluczeniu pacjenta w ramach istnienia ogólnej decyzji o refundacji programu lekowego wynikającej z faktu zamieszczenia opisu programu w obwieszczeniu Ministra Zdrowia. Zatem decyzje podejmowane przez takie zespoły kwalifikacyjne winny mieć charakter jedynie merytoryczny (medyczny). Decyzje te nigdy nie powinny mieć na uwadze wpływu na budżet płatnika lecz powinny koncentrować się na efektywności terapii tylko w stosunku do ocenianego przypadku ewaluowanego pacjenta. W tym świetle zasadnym jest czytelne określenie tej funkcji zespołów w ustawie i konsekwentne zaznaczenie, że przedstawiciele płatnika (NFZ) oraz AOTM nie mogą wchodzić w skład zespołów ani w nich zasiadać. Odnośnie powyższego ograniczenia roli AOTM zaznaczyć należy, że agencja ma już inny istotny wpływ na proces refundacyjny w innym jego momencie i funkcje systemowe, które pełni i które nie powinny nachodzić na obszar gdzie stanowione prawo – refundacja- jest realizowane. Ponadto biorąc pod uwagę transparentność funkcjonowania takich zespołów (i ich rzeczywisty stosunkowo wąski zakres – tylko programy lekowe) wnosimy o to aby uprawnienie do powoływania zespołów i mianowania ich członków i przewodniczącego przypadły w nowelizowanej ustawie bezpośrednio Ministrowi Zdrowia. Jedynie finansowanie funkcjonowania zespołów może być powierzone jako zadanie zlecone Prezesowi NFZ.
6. Na wstępie ostatniej z uwag cytujemy punkt 20 i 21 z preambuły Zalecenia Rady EU z dnia 8 czerwca 2009 r. w sprawie działań w dziedzinie rzadkich chorób (2009/C 151/02) :

*WHO określiła upodmiotowienie pacjentów jako jeden z „warunków wstępnych zdrowia” .....  
Państwa członkowskie powinny zmierzać do zaangażowania pacjentów i ich przedstawicieli w proces polityczny”.*

Stanowisko Komisji Europejskiej promując wzmocnienie udziału i zaangażowania organizacji pacjentów (empowerment of patients organisations) zaleca podjęcie działań w celu zwiększenia potencjału i uczestnictwa reprezentacji pacjentów (ich organizacji) w kształtowaniu decyzji i prawa, które ich bezpośrednio dotyczy. Uważamy, że nowelizowana ustawa refundacyjna winna również realizować w/w zalecenia KE. Wnioskujemy o zagwarantowanie przedstawicielowi organizacji pacjentów udziału z głosem doradczym na prawach członka bez prawa głosu w składzie i posiedzeniach zespołów kwalifikacyjnych. Stosowny zapis sankcjonujący trwałą obecność przedstawiciela organizacji pacjentów w obecnych i przyszłych zespołach powinien wynikać z zapisu o składzie komisji, podobnego jak np. obecny zapis dotyczący składu Komisji Ekonomicznej (art.17 ust.2). Obecność przedstawiciela organizacji pacjentów w tych ciałach powinna być podyktowana troską o dbałość i rzetelność podejmowanych decyzji przez komisje decyzji.

Uwzględnienie powyższych wniosków Krajowego Forum Orphan będzie faktycznie służyć realizacji szczytnych celów nowelizacji ustawy określonych w założeniach w punkcie 1.3.

Z poważaniem



W imieniu Zarządu Krajowego Forum na rzecz terapii chorób rzadkich- Orphan  
Prezes  
Mirosław Zieliński

**KRAJOWE FORUM NA RZECZ  
TERAPII CHOROÓB RZADKICH**  
02-093 Warszawa, ul. Pasteura 6a/28  
tel. 022 / 617- 54 - 81  
[www.rzadkiechoroby.pl](http://www.rzadkiechoroby.pl)