



Minister Zdrowia

Warszawa, 24 marca 2021

PLR.4504.230.2021.PB

Pani
Zofia Szozda
Przewodnicząca Wojewódzkiej
Rady Kobiet

Szanowna Pani,

w odpowiedzi na apel Wojewódzkiej Rady Kobiet w sprawie finansowania terapii genowej dzieci chorych na SMA - rdzeniowy zanik mięśni, z 21 stycznia 2021 r., uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Na wstępie Minister Zdrowia uprzejmie wskazuje, że obecnie, od ponad dwóch lat, refundowany jest lek Spinraza (nusinersen). Lek ten dostępny jest w ramach programu lekowego „Leczenie rdzeniowego zaniku mięśni” w populacji przedobjawowych i objawowych pacjentów z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzonego badaniem genetycznym. Powyższe oznacza, że cała populacja chorych jest zabezpieczona w skuteczne i bezpłatne leczenie. Co wymaga dodatkowego podkreślenia nie ma żadnych obostrzeń dotyczących wieku, liczby genów, czy parametrów płucnych. Zgodnie z aktualnymi danymi dotyczącymi realizacji programu aktywnie leczonych jest 760 pacjentów, a zakwalifikowanych do terapii jest 780 pacjentów.

Produkt leczniczy Zolgensma podmiotu odpowiedzialnego AveXis EU Limited został z dniem 18 maja 2020 r. dopuszczony do obrotu w procedurze centralnej, co oznacza, że może być przedmiotem obrotu na terytorium wszystkich państw Unii Europejskiej jako „lek sierocy” czyli wykorzystywany w leczeniu chorób rzadko występujących. Zolgensma

posiada ponadto oznaczenie wskazujące na to, że będzie dodatkowo monitorowany, co ma na celu zidentyfikowanie nowych informacji o bezpieczeństwie. Co w tym miejscu trzeba podkreślić, pozwolenie na dopuszczenie do obrotu zostało udzielone w procedurze dopuszczenia warunkowego. Produkt leczniczy „Zolgensma - onasemnogen abeparwówek” wprowadza się do unijnego rejestru produktów leczniczych pod numerem EU/1/20/1443.

Minister Zdrowia uprzejmie wyjaśnia, iż Ministerstwo Zdrowia działa na wniosek podmiotu odpowiedzialnego, co oznacza, że wyłącznie wpłynięcie wniosku rozpoczyna postępowanie administracyjne w przedmiocie objęcia refundacją. Taki wniosek dla Zolgensma jak na ten moment nie został jeszcze złożony. Ministerstwo Zdrowia może rozpatrywać wnioski refundacyjne dopiero po ich złożeniu przez podmioty odpowiedzialne. Każda sprawa jest rozpatrywana indywidualnie w oparciu o zgromadzony materiał w postępowaniu administracyjnym.

Obecność produktu leczniczego na wykazie refundacyjnym wymaga zarówno złożenia wniosku, jak i wieloetapowego postępowania administracyjnego. Minister zdrowia decyduje o zasadności objęcia refundacją leku w danym wskazaniu. W przypadku rozpatrywania wniosku refundacyjnego mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, minister zdrowia wyda decyzję administracyjną o objęciu refundacją lub o odmowie objęcia refundacją, przy uwzględnieniu 13 kryteriów ustawowych.

Ponadto wskazuję, że 26 listopada 2020 r. weszły w życie przepisy ustawy o Funduszu Medycznym (Dz. U. z 2020 r. poz. 1875). Należy podkreślić, że wyżej wskazana ustawa nie przewiduje oddania do dyspozycji Ministra Zdrowia dodatkowych środków finansowych, które mógłby przekazać na indywidualne wsparcie pacjenta wymagającego niestandardowej terapii. Natomiast przepisy tej ustawy umożliwiają finansowanie innowacyjnych terapii w onkologii, a także chorobach rzadkich oraz skracają czas procedowania niektórych etapów postępowania refundacyjnego dla takich technologii lekowych.

Uprzejmie dodaję, że na podstawie art. 40a ust. 8 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2020 poz. 357, z późn. zm.) zmienianej w art. 36 ustawy z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym (Dz.U. poz. 1875), Prezes Agencji Technologii Medycznych i Taryfikacji ustalił wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (na dzień 26 lutego 2021 r.). Wykaz ten obejmuje 11 pozycji,

wśród których znajduje się m.in. lek Zolgensma. Należy dodać, że aktualnie trwają prace w zakresie ustalenia wykazu Ministra Zdrowia, zawierającego ostateczny wybór technologii o wysokim poziomie innowacyjności, który będzie podstawą do zawiadomienia podmiotów odpowiedzialnych o możliwości składania wniosków refundacyjnych w tym trybie. W związku z powyższym kwestia ew. objęcia refundacją leku Zolgensma we wskazanym trybie zostanie wzięta pod uwagę przez resort zdrowia.

Z poważaniem
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Maciej Miłkowski
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/