



Minister Zdrowia

Warszawa, 2014-11-25

MZ-PLA-4610-342/ISU/14

Pan
Jerzy Szydłowski
Prezes Stowarzyszenia
Chorych na Niemann-Picka
i Choroby Pokrewne
ul. Malików 74
25-639 Kielce

Grzeczny Panie Prezese!

W odpowiedzi na pismo z dnia 20 października 2014 r. (data wpływu: 27 października 2014 r.) w sprawie utworzenia programu lekowego „Leczenie choroby Niemann-Picka typu C z zastosowaniem produktu leczniczego Zavesca (miglustat)” uprzejmie informuję, że w 2012 r. został złożony wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny urzędowej produktu leczniczego Zavesca (miglustat) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Niemann-Picka typu C z wykorzystaniem substancji czynnej miglustat”.

Kwestie związane z refundacją poszczególnych technologii lekowych reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.). W myśl tej ustawy Minister Zdrowia podejmuje decyzje w przedmiocie refundacji produktów leczniczych mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, uwzględniając szereg pomocniczych (lecz nie restrykcyjnych) kryteriów:

- 1) stanowisko Komisji Ekonomicznej;

- 2) rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych;
- 3) istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wnioski o objęcie refundacją;
- 4) skuteczność kliniczną i praktyczną;
- 5) bezpieczeństwo stosowania;
- 6) relację korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania;
- 7) stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotyczących refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym;
- 8) konkurencyjność cenową;
- 9) wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców;
- 10) istnienie alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania;
- 11) wiarygodność i precyzję oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3-10;
- 12) priorytety zdrowotne określone w przepisach wydanych na podstawie art. 31a ust. 2 ustawy o świadczeniach;
- 13) wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz. U. Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia

- biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny.

W rekomendacji nr 120/2012 z dnia 26 listopada 2012 r. Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych, w ślad za stanowiskiem Rady Przejrzystości, nie zarekomendował objęcia refundacją przedmiotowego produktu leczniczego. Powyższe podyktowane zostało trudnymi do jednoznacznej interpretacji danymi o efektywności klinicznej miglustatu oraz bardzo wysokim kosztem terapii. Na chwilę prowadzenia prac przez Agencję Oceny Technologii Medycznych w jedynym dostępnym badaniu RCT zaobserwowano istotną statystycznie poprawę tylko w odniesieniu do: redukcji

poziomego ruchu sakadowego gałek ocznych (HSEM) oraz problemów z połykaniem. W przedmiotowym badaniu nie uległa poprawie ostrość słuchu (niepogorszenie), wskaźnik (upośledzenia) poruszania się (SAI) oraz zmiana ≥ 2 punkty w skali MMSE (krótka skala oceny stanu psychicznego) oceniającej funkcje poznawcze, dodatkowo w odniesieniu do większości parametrów nie określono istotności statystycznej zaobserwowanych zmian. Jak przywołuje w swojej opinii Prezes Agencji dodatkowo trudno jednoznacznie stwierdzić, czy uwzględnione punkty końcowe przekładają się na rzeczywistą poprawę jakości życia pacjentów z chorobą Niemann - Picka typu C (NP-C). Wyniki otrzymane podczas prowadzonej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych oceny wniosku wskazują, iż zastąpienie terapii standardowej (leczenie objawowe i fizjoterapia) leczeniem produktem Zavesca nie przynosi istotnych korzyści dla pacjentów w zakresie poprawy jakości życia i rokowania. W analizach dołączonych do wniosku o objęcie refundacją przedmiotowego leku nie wykazano istotnego statystycznego wpływu na funkcje bezpośrednio przekładające się na zachowanie lub poprawę samodzielności pacjenta.

Dodatkowo pragnę nadmienić, iż wnioskowana technologia medyczna była już przedmiotem prac Agencji w 2011 r. Uzyskała negatywną opinię Rady Konsultacyjnej (Stanowisko RK Nr 28/2011 z dnia 29.03.2011 r.) oraz warunkową rekomendację Prezesa AOTM (rekomendacja nr 20/2011 z dnia 29 marca 2011 r.) na okres 3 lat, pod warunkiem obniżenia ceny leku lub partycypacji podmiotu odpowiedzialnego w kosztach leczenia.

W oparciu o wszystkie kryteria w art. 12 ustawy o refundacji leków, w tym ofertę cenową stanowiącą wynik negocjacji z Zespołem Negocyjnym Komisji Ekonomicznej z Wnioskodawcą, w świetle w/w rekomendacji Prezesa AOTM, Minister Zdrowia nie zaakceptował propozycji cenowej Wnioskodawcy i wydał w dniu 17 czerwca 2013 r. decyzję, w której postanowił odmówić objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leku Zavesca. W dniu 29 listopada 2013 r. Minister Zdrowia utrzymał w mocy decyzję o odmowie objęcia refundacją i ustalenia ceny urzędowej leku Zavesca.

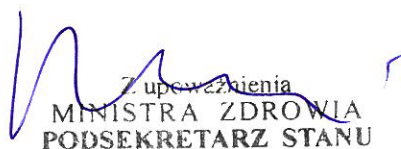
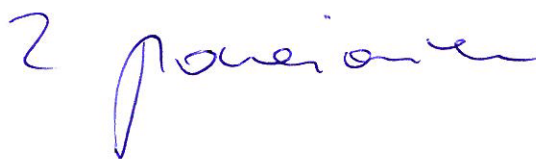
Uprzejmie informuję, iż zgodnie z art. 24 ust. 1 pkt. 1 ustawy o refundacji leków, Wnioskodawca może złożyć do ministra właściwego do spraw zdrowia wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku. Należy podkreślić, iż art. 2 pkt 27 przedmiotowej ustawy definiuje Wnioskodawcę jako: podmiot odpowiedzialny, przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego, podmiot uprawniony do importu

równoległego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne, wytwórcę wyrobów medycznych, jego autoryzowanego przedstawiciela, dystrybutora albo importera, w rozumieniu ustawy z dnia 20 maja 2010 r. o wyrobach medycznych (Dz. U. Nr 107, poz. 679), a także podmiot działający na rynku spożywczym. Tym samym jedynie na podstawie wniosku złożonego przez ww. podmioty Minister Zdrowia może podjąć działania mające na celu wydanie decyzji administracyjnej w zakresie objęcia refundacją leku Zavesca.

Należy również wskazać, że przepis art. 26 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (t.j. Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.), na podstawie którego odbywa się kierowanie pacjentów do przeprowadzenia poza granicami Polski leczenia, które nie jest wykonywane w kraju, należy interpretować w ten sposób, że odnosi się on do leczenia, które de facto (aktualnie) nie jest przeprowadzane w Polsce, lecz jednocześnie należy do świadczeń gwarantowanych.

Na mocy ostatniej nowelizacji ww. ustawy (z 10 października br.), która weszła w życie 15 listopada br., przepis art. 26 został zastąpiony przepisem art. 42j, w którym ww. zasada została zapisana wprost.

W związku z powyższym wnioski dotyczące skierowania przez Prezesa NFZ na leczenie nienależące do świadczeń gwarantowanych, jakim jest leczenie z zastosowaniem leku Zavesca, nie kwalifikują się do pozytywnego rozpatrzenia.



Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Igor Radziewicz-Winnicki