



Ministerstwo Zdrowia

Departament Polityki Lekowej
i Farmacji

Warszawa,

2017 -10- 31

PLA.4604.854.2017.PB

Stowarzyszenie Chorych
na chorobę Niemann-Picka

Szanowni Państwo!

W odpowiedzi na pismo sprawie udzielenia informacji dotyczących prac nad refundacją leku Zavesca, stosowanego w leczeniu chorych na chorobę Niemann-Picka typu C uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Na wstępie niniejszej odpowiedzi uprzejmie informuję, że choroba Niemann-Picka należy do grupy dziedzicznych chorób metabolicznych, spowodowanych przez gen recesywny. Choroba ta znana jest jako leukodystrofia lub choroba spichrzania lipidów. W obecnej chwili u chorych z tym rozpoznaniem stosuje się głównie leczenie wspomagające, polegające na walce z symptomami choroby związanymi z jej przebiegiem, a zajmują się tym lekarze specjaliści z różnych dziedzin (np. pulmonologii, kardiologii, dietetyki, gastroenterologii itp.) i to oni, w oparciu o najlepszą wiedzę medyczną i doświadczenie kliniczne, decydują o postępowaniu w każdym indywidualnym przypadku.

W tym miejscu warto podkreślić, iż do niedawna nie była znana żadna skuteczna metoda leczenia choroby Niemann-Picka. Obecnie z zebranych informacji wynika, że prowadzone są intensywne badania nad substancjami pomocnymi w walce z tą jednostką chorobową, a coraz więcej nowych cząsteczek chemicznych jest poddawanych badaniom klinicznym. Toczące się badania dla nowych terapii można odnaleźć na stronie <https://clinicaltrials.gov//>.

W tym miejscu uprzejmie informuję, iż w obowiązującym stanie prawnym, objęcie leku refundacją, wymaga zgodnie z zapisami ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów

medycznych złożenia przez Podmiot Odpowiedzialny (producenta, importera leku), odpowiedniego wniosku, który określony jest w art. 24 ust. 1 pkt. 1 ww. ustawy. **Na ten moment do resortu zdrowia nie został złożony żaden wniosek o objęcie refundacją leku Zavesca (Miglustat) we wskazaniu: Leczenie Choroby Niemann-Picka.**

Obecność produktu leczniczego na wykazie refundacyjnym wymaga zarówno złożenia wniosku, jak i (w przypadku nowych substancji lub nowych wskazań), dokonania jego oceny przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia urzędowej ceny zbytu, poziomu odpłatności oraz wskazania, w którym lek ma być refundowany. Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 wymienionej na wstępie ustawy, Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją leku we wnioskowanym wskazaniu. Z powyższego wynika zatem, iż objęcie leku refundacją wymaga przeprowadzenia wieloetapowego postępowania administracyjnego.

Należy wyjaśnić, iż problematyka objęcia refundacją leku Zavesca w Polsce znana jest Ministrowi Zdrowia. Podkreślenia wymaga fakt, iż na **przestrzeni ostatnich sześciu** lat przedmiotowa technologia medyczna została aż sześciokrotnie poddana ocenie, podczas której dokonano analizy jej skuteczności klinicznej, bezpieczeństwa stosowania oraz efektywności cenowej, w oparciu o cały dostępny materiał naukowy zebrany w tym zakresie. W poniższej tabeli przedstawiono wyniki w/w raportów.

Opiniowanie	Rok	Wynik	Uwagi
Stanowisko Rady Konsultacyjnej nr 28/2011 z dnia 29.03.2011 r.	2011	Negatywne	Rada Konsultacyjna uważa za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie choroby Niemann-Picka typu C” z zastosowaniem substancji czynnej miglustat w ramach programu zdrowotnego, jako świadczenia gwarantowanego.
Rekomendacja nr 20/2011 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych z dnia 29 marca 2011 r. w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki	2011	Warunkowo pozytywna	Prezes Agencji rekomenduje i opowiada się za okresowym, trzyletnim finansowaniem ze środków publicznych świadczenia opieki zdrowotnej leczenie choroby Niemann-Picka typu C z zastosowaniem substancji czynnej miglustat (Zavesca) w ramach programu zdrowotnego, pod warunkiem obniżenia ceny leku lub partycypacji podmiotu

<p>zdrowotnej „Leczenie choroby Niemann-Picka typu C z zastosowaniem substancji czynnej miglustat (Zavesca) w ramach programu zdrowotnego” jako świadczenia gwarantowanego.</p>			<p>odpowiedzialnego w kosztach leczenia. Ponadto powinien być prowadzony ścisły rejestr leczonych pacjentów, który umożliwi ocenę skuteczności leczenia i bezpieczeństwa terapii. Realizacja powyższych warunków umożliwi pacjentom dostęp do jedynego leczenia (poza leczeniem paliatywnym) przy akceptowalnym poziomie kosztów, jak również przyczyni się do poznania faktycznej przydatności stosowania substancji czynnej miglustat</p>
<p>Rekomendacja nr 120/2012 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych z dnia 26 listopada 2012 r. w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Zavesca (miglustat) w ramach programu lekowego: „Leczenie choroby Niemann-Picka typu C (NP-C) z wykorzystaniem substancji czynnej miglustat”.</p>	<p>2012/2013</p>	<p>Negatywna</p>	<p>Prezes Agencji, w ślad za stanowiskiem Rady Przejrzystości, uważa za niezasadne finansowanie produktu leczniczego Zavesca (Miglustat). Powyższe podyktowane jest trudnymi do jednoznacznej interpretacji danymi o efektywności klinicznej miglustatu oraz bardzo wysokim kosztem terapii.</p>
<p>Stanowisko Rady Przejrzystości nr 130/2012 z dnia 26 listopada 2012 w sprawie zasadności finansowania Zavesca (Miglustat) we wskazaniu: leczenie postępujących objawów neurologicznych u pacjentów dorosłych oraz u dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C.</p>	<p>2012/2013</p>	<p>Negatywne</p>	<p>Rada uważa za niezasadne finansowanie produktu leczniczego Zavesca (Miglustat). Przy wysokiej cenie terapii efekty kliniczne miglustatu wydają się wątpliwe.</p>

<p>Opinia Rady Przejrzystości nr 314/2016 z dnia 24 października 2016 roku w sprawie skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania, relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, oraz niepewności oszacowań leku Zavesca (miglustat) we wskazaniu: leczenie choroby Niemann-Picka.</p>	2016	Negatywna	<p>Wyniki analiz serii przypadków oraz badań obserwacyjnych wskazują na słaby wpływ leczenia miglustatem na niektóre objawy neurologiczne i jakość życia. W pojedynczych przypadkach może przyczynić się także do zahamowania progresji choroby, zwłaszcza u osób z późnym początkiem objawów. Dostępne dane wskazują na akceptowalną tolerancję leczenia miglustatem. Należy jednakże podkreślić, że w chwili obecnej praktycznie brak jest dowodów na skuteczność leku pochodzących z badań klinicznych wysokiej jakości, należy jednak wziąć pod uwagę, że ze względu na bardzo małą populację dotkniętą chorobą możliwości przeprowadzenia większej liczby badań są ograniczone. Nie ma również dowodów, że stosowanie miglustatu ma wpływ na przedłużenie życia pacjentów. Wobec powyższego wnioskowanie dotyczące skuteczności klinicznej miglustatu w chorobie Niemann-Picka typu C jest obarczone wysokim ryzykiem niepewności. Przez ostatnie 6 lat nie pojawiły się żadne nowe dowody naukowe na skuteczność tej terapii.</p>
<p>Opinia Prezesa Agencji przy piśmie BP.434.17.2016.JTM z dnia 2.12.2016 r. w sprawie skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania, relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, oraz niepewności oszacowań leku Zavesca (miglustat) we wskazaniu: leczenie choroby Niemann-Picka.</p>	2016	Negatywna	<p>Prezes stoi na stanowisku, że finansowanie ocenianej technologii nie znajduje uzasadnienia. Prezes ma świadomość, że rzadkie występowanie choroby może utrudniać przeprowadzenie badań RCT wysokiej jakości, jednakże w dostępnych dowodach naukowych zakres badanych punktów końcowych nie jest adekwatny do istoty i charakteru choroby NPC. Nie badano wpływu ocenianej interwencji na przeżycie pacjentów, natomiast wyniki dotyczące jakości życia nie wykazały istnienia różnic istotnych statystycznie między grupą leczoną miglustatem a grupą stosującą terapię standardową.</p>

Ponadto uprzejmie wskazuję, od 23 lipca 2017 roku wprowadzony został tzw. „ratunkowy dostęp do technologii lekowych”. Zgodnie z art. 47d ustawy dnia 27 sierpnia 2004 r. o

świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych w przypadku uzasadnionej i wynikającej ze wskazań aktualnej wiedzy medycznej potrzeby zastosowania u świadczeniobiorcy leku, który nie jest finansowany ze środków publicznych w danym wskazaniu, jeżeli jest to niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia świadczeniobiorcy we wskazaniu występującym u jednostkowych pacjentów, a zostały już wyczerpane u danego świadczeniobiorcy wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych, minister właściwy do spraw zdrowia może wydać (na wniosek świadczeniodawcy posiadającego w dniu złożenia wniosku zawartą umowę z Narodowym Funduszem Zdrowia o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w zakresie leczenia szpitalnego) w drodze decyzji administracyjnej, zgodę na pokrycie kosztów tego leku w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej. Ww. przepisy określają szczegółowe zasady, kiedy tryb ten może zostać zastosowany.

Z upoważnienia Dyrektora
Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji
NACZELNIK
Wydziału Refundacyjno-Prawnego
Bonecka
Katarzyna Bonecka