



# Ministerstwo Zdrowia

---

Podsekretarz Stanu  
Maciej Miłkowski

PLR.4504.1011.2022.1.JW  
Warszawa, 09 stycznia 2023

Pan  
Marcin Wiącek  
Rzecznik Praw Obywatelskich

*Szanowny Panie Rzeczniku,*

w odpowiedzi na pismo znak V.7013.61.2022.ETP z 14 grudnia 2022 r. należy wskazać, że w dwóch poprzednich odpowiedziach:

MI.07.45.2022.MBJ z 25 sierpnia 2022 r.,

PLR.4504.1011.2022.JW z 24 września 2022 r.,

zostały już wyjaśnione wszelkie wątpliwości dotyczące leczenia chorych na rdzeniowy zanik mięśni (SMA). Niezrozumienie przedstawionych wyjaśnień nie oznacza, że nie zostały wyczerpująco przedstawione przez Ministra Zdrowia.

Poniżej przedstawiono najistotniejsze kwestie:

1. Od czterech lat w Polsce ze środków publicznych finansowane jest leczenie rdzeniowego zaniku mięśni dla całej populacji chorych na 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

potwierdzonego badaniem genetycznym. **Powyższe oznacza, że od czterech lat cała populacja chorych jest zabezpieczona w skuteczne i bezpłatne leczenie.**

2. Od 1 września 2022 r. refundacją objęto dwie dodatkowe terapie – terapię genową Zolgensma (Onasemnogenum abeparvovecum ) oraz lek Evrysdi (rysydplam). Wszystkie trzy leki są dostępne w ramach jednego zintegrowanego programu lekowego, i nadal program lekowy obejmuje całą populację osób chorych na rdzeniowy zanik mięśni. **Obecnie brak jest badań typu head-to-head, które bezpośrednio porównywałyby skuteczność terapii genowej z dostępnymi, alternatywnymi metodami leczenia.** W rezultacie, nie ma podstaw naukowych do stwierdzenia wyższości terapii genowej nad technologiami medycznymi dostępnymi w ramach programu B.102.

3. Lek Zolgensma został objęty finansowaniem w ramach Funduszu Medycznego ujętego w ustawie z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym (Dz.U. z 2020 r. poz. 1875 z późn. zm.), jako technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności (TLI). Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji, TLI to technologia lekowa stosowana w onkologii lub chorobach rzadkich, która uzyskała pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Radę Unii Europejskiej lub Komisję Europejską i która została umieszczona w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (art. 2 pkt 24 b ustawy o refundacji).

Ustalenie poziomu innowacyjności technologii lekowych stosowanych w onkologii lub chorobach rzadkich oraz ustalenie danych gromadzonych w rejestrze medycznym, w tym między innymi wskaźników oceny efektywności terapii i oczekiwanych korzyści zdrowotnych dokonywane jest przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, zwanej dalej „Agencją”.

4. Poziom innowacyjności technologii lekowych ustalany jest m. in. w oparciu o wskaźniki oceny efektywności terapii i oczekiwanych korzyści zdrowotnych wobec czego **wybór grupy docelowej jest niejako udzieleniem przez Wnioskodawcę gwarancji efektywności terapii.**

5. Zapisy programów lekowych uzgadniane są każdorazowo z gronem specjalistów klinicznych w odpowiedniej dziedzinie medycyny. W kwestii przedmiotowego programu lekowego nie było wyjątku. **Zespół ekspertów kilkakrotnie opiniował**

aspekty kliniczne programu lekowego B.102.FM., a jego ostateczny kształt został zaakceptowany przez wszystkie strony uczestniczące w procesie jego wdrażania, w tym również podmioty odpowiedzialne. Sukces wdrożonego programu lekowego podkreślony został w stanowisku Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych opublikowanym 25 sierpnia 2022 r.<sup>1</sup>, w którym środowisko medyczne nie zgłasza zastrzeżeń do warunków kwalifikacji pacjentów:

*„Kryteria włączenia pacjentów do programu lekowego były szeroko dyskutowane przez ekspertów neurologów dziecięcych i neurologów i oparte są o dane naukowe zaczerpnięte z dostępnych badań i literatury przedmiotu. Program został skonstruowany tak, aby wszyscy pacjenci byli objęci należną im opieką i nie pozostawieni bez leczenia.”*

6. Argumentację uzasadniającą refundację terapii genowej na zasadach opisanych w obowiązującym od 1 września 2022 r. programie lekowym B.102.FM. przedstawiono m. in. na posiedzeniu Komisji Zdrowia w dniu 5 października 2022 r.<sup>2</sup>, na którym część merytoryczna uzupełniona została przez doświadczone klinicystki na co dzień pracujące z chorymi na SMA - Panią prof. Marię Mazurkiewicz-Betdzińską z Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych oraz Panią prof. Annę Kosterę-Pruszczyk z Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni.

Minister Zdrowia informuje, iż nie planuje modyfikacji programu lekowego B.102.FM. Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1).

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

Z wyrazami szacunku  
Maciej Miłkowski  
Podsekretarz Stanu  
/dokument podpisano elektronicznie/

---

<sup>1</sup> Źródło: <https://ptnd.pl/aktualnosc/nowy-program-leczenia-sma> (dostęp 09.01.2023 r.)

<sup>2</sup>

[https://www.sejm.gov.pl/Sejm9.nsf/transmisja.xsp?documentId=E1A396F0CB030484C12588CD0040578D&symbol=TRANSMISJA\\_ARCH&info=T](https://www.sejm.gov.pl/Sejm9.nsf/transmisja.xsp?documentId=E1A396F0CB030484C12588CD0040578D&symbol=TRANSMISJA_ARCH&info=T)