



Minister Zdrowia

PLD.054.658.2023.AK
Warszawa, 04 lutego 2024

Pan
Marcin Wiącek
Rzecznik Praw Obywatelskich

Szanowny Panie Rzeczniku,

W nawiązaniu do pisma z dnia 30 listopada 2023 r. o znakach V.7013.115.2023.ETP dotyczącego przekazania stanowiska w sprawie możliwości finansowania leków Kaftrio oraz Kalydeco w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”) w związku z treścią wystąpienia skierowanego do Rzecznika Praw Obywatelskich przez Fundację Mukobohaterowie, Minister Zdrowia uprzejmie informuje co następuje. Obowiązująca od dnia 23 lipca 2017 r. procedura RDTL umożliwia finansowanie leczenia z zastosowaniem produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu ze środków publicznych na potrzeby pacjentów, u których w toku dotychczasowego leczenia wykorzystano wszelkie dostępne metody terapeutyczne finansowane ze środków publicznych w danym wskazaniu. W ramach przepisów ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 2561, z późn. zm., zwanej dalej „ustawą o świadczeniach”) obowiązujących od dnia 26 listopada 2020 r. w ramach procedury RDTL dopuszczone jest finansowanie leków posiadających pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, które pozostają w obrocie lub są dostępne na polskim rynku i które **nie znajdują się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL**, publikowanym cyklicznie przez Ministra Zdrowia.

Produkty lecznicze Kaftrio oraz Kalydeco znajdują się na przywołanym powyżej wykazie od dnia 10 listopada 2023 r. w związku z treścią rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr 113/2022 z dnia 28 listopada 2022 r., w której zasadność finansowania w/w leków ze środków publicznych w ramach refundacji systemowej została uzależniona od pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka oraz zaproponowania przez podmiot odpowiedzialny dodatkowego instrumentu dzielenia ryzyka zabezpieczającego całkowity wpływ na budżet płatnika. W toku postępowania o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla powyższych leków podmiot

odpowiedzialny nie przedłożył propozycji pogłębienia mechanizmów podziału ryzyka, co skutkowało niespełnieniem warunków wskazanych w powyższej rekomendacji i na wniosek podmiotu odpowiedzialnego o umorzenie postępowań o objęcie refundacją w tych wskazaniach Minister Zdrowia uwzględniając żądanie strony umorzył postępowanie w dniu 26 października 2023 roku, tym samym kończąc procedurę administracyjną. Powyższe przełożyło się na umieszczenie leków na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL.

Odnosząc się do kwestii dotyczących rzetelnego opracowywania wykazu produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL należy wskazać, że w toku opracowywania takiego wykazu każdy lek, wobec którego zachodzi podejrzenie zaistnienia okoliczności będących podstawą do jego wpisania na wykaz (tj. przesłanek wskazanych w art. 47f ust. 3 pkt 1-4 ustawy o świadczeniach) jest dokładnie weryfikowany pod kątem rzeczywistego ich występowania. Weryfikacja ta polega m.in. na analizie negatywnych decyzji refundacyjnych wydawanych przez Ministra Zdrowia, jak również na dokładnej analizie pełnych treści rekomendacji wydawanych przez Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

W przypadku produktów leczniczych Kaftrio oraz Kalydeco sformułowanie wskazania, w którym powyższe leki nie mogą podlegać finansowaniu w ramach procedury RDTL podyktowane było:

1. obowiązującym stanem wiedzy, zgodnie z którym mukowiscydoza jest chorobą genetyczną dziedziczną autosomalnie recesywnie, tj. ujawnienie się choroby następuje w wyniku otrzymania od każdego z rodziców wadliwej kopii genu *CFTR*, kodującego chlorkowy kanał jonowy (dwóch kopii genu z mutacją F508del w przypadku pacjentów **homozygotycznych** lub jednej kopii genu z mutacją F508del i jednej kopii genu z inną mutacją w przypadku pacjentów **heterozygotycznych**);
2. skutkami wywołanymi obecnością zmutowanych kopii genu *CFTR* na poziomie molekularnym tj. powstaniem białka CFTR o nieprawidłowej strukturze przestrzennej, które zostaje rozpoznane jako wadliwe i następnie zdegradowane lub **minimalną jego aktywnością w przypadku gdy dojdzie do ekspresji białka CFTR na powierzchni komórek.**

Mając na uwadze powyższe należy wskazać, że zarówno wykaz leków niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL, jak również wskazanie, w ramach którego leki Kaftrio oraz Kalydeco nie mogą podlegać finansowaniu w ramach tej procedury, zostały sformułowane w sposób prawidłowy i nie powinny budzić zastrzeżeń.

Jednocześnie firma deklarowała chęć powtórnego rozpoczęcia procesu refundacyjnego niezwłocznie, jednak do dnia dzisiejszego taki proces ze strony firmy nie został zainicjowany a tylko wniosek strony może przyczynić się do zakończenia procesu i

finansowania leku dla populacji, która nie była objęta wcześniejszym pozwoleniem na dopuszczenie leku na terytorium Europy.

Z poważaniem,

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