

Warszawa, 4 grudnia 2024 r.

Fundacja Mukobohaterowie

ul. Armii Krajowej 2/16
64-100 Leszno

reprezentowana przez:

adw. Marcina Pieklaka

adres do korespondencji:

Rymarz Zdort Maruta
ul. Prosta 18, XVII p.
00-850 Warszawa

STANOWISKO FUNDACJI MUKOBOHATEROWIE

**w stosunku do komunikatu Ministra Zdrowia z dnia 30 września 2024 r.
w sprawie leków niepodlegających finansowaniu w ramach RDTL**

Działając w imieniu Fundacji Mukobohaterowie z siedzibą w Lesznie przy ul. Armii Krajowej 2/16, wpisanej do Rejestru przedsiębiorców oraz Rejestru stowarzyszeń, innych organizacji społecznych i zawodowych, fundacji oraz samodzielnych publicznych zakładów opieki zdrowotnej Krajowego Rejestru Sądowego prowadzonego przez Sąd Rejonowy Gdańsk-Północ w Gdańsku, VII Wydział Gospodarczy Krajowego Rejestru Sądowego pod numerem KRS 0000925833, NIP: 5833437752 (dalej jako: „Fundacja”), pragnę:

- **przekazać stanowisko Fundacji odnoszące się do komunikatu Ministra Zdrowia z dnia 30 września 2024 r. w sprawie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL), znak pisma PLD.4731.3.2024.AK (dalej jako: „Komunikat”) w zakresie w jakim dotyczy leku Kaftrio (iwakaftor, tezakaftor oraz eleksakaftor) oraz Kalydeco (iwakaftor).**

Zgodnie z aktualną treścią Komunikatu możliwość zastosowania leku Kaftrio w procedurze RDTL, o której mowa w art. 47d Ustawy o świadczeniach¹, została ograniczona poprzez wykluczenie wskazania: *leczenie mukowiscydozy w ramach terapii skojarzonej z zastosowaniem preparatów zawierających iwakaftor, tezakaftor oraz eleksakaftor u pacjentów w wieku co najmniej 6 lat i starszych, którzy posiadają co najmniej jedną mutację F508del w genie CFTR.*

¹ Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (t.j. Dz.U. z 2024 r. poz. 146 ze zm.) – zwana: „Ustawą o świadczeniach”.

Powyższe było konsekwencją wydania rekomendacji nr 113/2022 z dnia 28 listopada 2022 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej jako: „Agencja”), w której zarekomendowano objęcie refundacją leku Kaftrio (iwakaftor, tezakaftor, eleksakaftor) stosowanego w skojarzeniu z Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego B.112. Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84) we wskazaniu: *pacjenci w wieku co najmniej 6 lat homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu CFTR lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del z mutacją o minimalnej wartości funkcji (MF) genu CFTR* **pod warunkiem** pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka oraz zaproponowania dodatkowego instrumentu dzielenia ryzyka zabezpieczającego całkowity wpływ na budżet płatnika.

Jak wskazano w komunikacie Ministra Zdrowia w sprawie finansowania leków Kaftrio i Kalydeco w leczeniu mukowiscydozy w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych z dnia 10 listopada 2023 r.:

„Podmiot odpowiedzialny zwrócił się do Ministra Zdrowia z wnioskiem o umorzenie postępowań o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu dla leków Kaftrio oraz Kalydeco we wnioskowanym wskazaniu, wszczętym na podstawie wniosku o objęcie refundacją zgodnie z art. 24 ust. 1 pkt 1) ustawy o refundacji. Minister Zdrowia, uwzględniając żądanie strony, umorzył postępowania w dniu 26 października 2023 r. W świetle powyższego produkty lecznicze Kaftrio i Kalydeco zostały objęte wykazem produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL we wnioskowanych wskazaniach.”

Mając powyższe na względzie, chciałbym wskazać, iż w dniu 7 listopada 2024 r. w Biuletynie Informacji Publicznej Agencji opublikowana została rekomendacja nr 119/2024 Prezesa Agencji w sprawie oceny leku Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor) stosowanego w skojarzeniu z Kalydeco (iwakaftor) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)”, w której wskazano, co następuje:

„Prezes Agencji **rekomenduje** objęcie refundacją produktu leczniczego Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor) stosowanego w skojarzeniu z Kalydeco (iwakaftor) w programie lekowym B.112. „Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)” **wyłącznie w następujących populacjach pacjentów:**

- **w wieku od ukończonego 2. r.ż. do ukończenia 12. r.ż. z mutacją typu F/F lub F/MF,**
- **w wieku od ukończonego 12. r.ż. z mutacją typu F/RF lub F/G,**

pod warunkiem ustalenia nie mniej korzystnych dla płatnika publicznego warunków finansowych (mechanizmy RSS) wobec aktualnie (od kwietnia 2024 r.) obowiązujących dla całego refundowanego portfolio produktów leczniczych wnioskodawcy.

Prezes nie wskazuje dodatkowych warunków objęcia refundacją, o których mowa w art. 35 ust. 8a ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (ustawa o refundacji)”.

Tym samym aktualna rekomendacja Prezesa Agencji w sprawie zasadności objęcia refundacją leków Kaftrio i Kalydeco:

- **obejmuje szerszą populację pacjentów niż ta, o której była mowa w rekomendacji Prezesa Agencji nr 113/2022 z dnia 28 listopada 2022 r., oraz**

- dotyczy także części pacjentów wykluczonych z dostępu do terapii finansowanej w ramach RDTL, tj. pacjentów w wieku co najmniej 6 lat i starszych, którzy posiadają co najmniej 1 mutację F508del w genie CFTR,

a tym samym w jej skutek nie powinno dochodzić do dalszego ograniczania dostępu do terapii.

Pragnę dodać, że procedura RDTL, zgodnie z art. 47d Ustawy o świadczeniach, została wprowadzona w celu umożliwienia dostępu do technologii medycznych w szczególnych przypadkach, gdy nie są one dostępne w ramach standardowego finansowania. Wprowadzenie procedury RDTL miało za zadanie eliminować bariery systemowe, które mogłyby uniemożliwić zastosowanie skutecznej terapii w krytycznych momentach, szczególnie u pacjentów, dla których inne opcje leczenia są niedostępne lub nieskuteczne. Pełni on swego rodzaju funkcję zabezpieczającą, umożliwiając dostęp do terapii w kluczowych dla pacjenta momentach.

W związku z tym, aby zapewnić spójność systemu ochrony zdrowia, transparentność działań instytucji publicznych oraz dostęp do bezpiecznej i skutecznej terapii dla chorych z mukowiscydozą, komunikat Ministra Zdrowia w sprawie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL, wydawany na podstawie art. 47f ust. 4 Ustawy o świadczeniach, powinien zostać zaktualizowany w zakresie możliwości finansowania leku Kaftrio i Kalydeco poprzez wykreślenie ww. leków z tego wykazu.

Marcin Piekłak
Adwokat
Kancelaria
adw. Marcin Piekłak