

Warszawa, dnia 9 kwietnia 2024 r.

Fundacja Mukobohaterowie
ul. Mariana Seredyńskiego 18/3
80-753 Gdańsk

reprezentowana przez:

adw. Marcina Pieklaka
adres do korespondencji:
Rymarz Zdort Maruta
ul. Prosta 18, XVII p.
00-850 Warszawa

Szanowny Pan
Maciej Miłkowski
Podsekretarz Stanu
Ministerstwo Zdrowia
ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

**PISMO DOT. ZASADNOŚCI
USUNIĘCIA Z LISTY LEKÓW NIEPODLEGAJĄCYCH
FINANSOWANIU W RAMACH RDTL LEKÓW KAFTRIO I KALYDECO**

Szanowny Panie Ministrze,

Działając w imieniu Fundacji Mukobohaterowie z siedzibą w Gdańsku przy ul. Mariana Seredyńskiego 18/3, 80-753 Gdańsk, wpisanej do 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”), zwracam się do Pana Ministra z prośbą o:

- **przyjęcie niniejszego pisma wskazującego na zasadność usunięcia z listy produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych (zwanego: „RDTL”), wydawanej na podstawie art. 47f ust. 4 Ustawy o świadczeniach, leków Kaftrio, *Ivacaftorum* + *tezacaftorum* + *elxacaftorum* oraz Kalydeco, *Ivacaftorum*.**

#<RZDMS>

Powyższa prośba motywowana jest następującymi okolicznościami:

- koniecznością zapewnienia pacjentom chorującym na mukowiscydozę:
 - w wieku od 6 do 11 lat, którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu CFTR oraz
 - w wieku od 12 lat, którzy mają co najwyżej jedną mutację F508del genu CFTR oraz dodatkowo drugą mutację inną niż określana jako minimalna wartość funkcji (MF)
- możliwości finansowania terapii niezbędnych dla ratowania ich życia lub zdrowia ze środków publicznych w ramach RDTL,
- brakiem jakichkolwiek ograniczeń prawnych, które zgodnie z powszechnie obowiązującymi przepisami ograniczałyby możliwość włączenia ww. pacjentów do terapii w ramach RDTL,
 - brakiem spełnienia którejkolwiek z negatywnych przesłanek, o których mowa w art. 47f ust. 3 Ustawy o świadczeniach, które wyłączają możliwość rozpoczęcia terapii.

UZASADNIENIE

I. Prawo pacjenta do finansowania świadczeń w ramach systemu refundacji

Zgodnie z art. 68 ust. 1 oraz 2 Konstytucji¹, każdy ma prawo do ochrony zdrowia a władze publiczne zapewniają obywatelom równy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, niezależnie od ich sytuacji materialnej. W literaturze można spotkać się z poglądem, zgodnie z którym **prawo do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych jest istotą konstytucyjnego prawa do ochrony zdrowia**. Wskazuje się, że charakter gwarancyjny względem ww. regulacji ma Ustawa o świadczeniach².

Samo pojęcie „świadczenia opieki zdrowotnej”, do którego referuje art. 68 ust. 2 Konstytucji, zostało zdefiniowane w art. 5 pkt 4 Ustawy o świadczeniach i obejmuje świadczenie zdrowotne, świadczenie zdrowotne rzeczowe i świadczenie towarzyszące. Jednocześnie świadczeniem opieki zdrowotnej jest również świadczenie gwarantowane, a więc takie, które jest w całości lub w części finansowane ze środków publicznych na zasadach i w zakresie określonych w ustawie (art. 5 pkt 34 Ustawy o świadczeniach).

Obecnie tzw. koszyk świadczeń gwarantowanych został wskazany w art. 15 ust. 2 ustawy o świadczeniach. Należy doprecyzować, iż z art. 15 ust. 2 pkt 9 oraz 14–18 ustawy o świadczeniach wynika, że *„refundacja jest jedynym z uprawnień przysługujących świadczeniobiorcom ze środków systemu powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego w Polsce”*³.

Mechanizm refundacji jest więc jednym z elementów zapewnienia obywatelom bezpieczeństwa zdrowotnego będącego częścią szeroko rozumianego bezpieczeństwa

¹ Konstytucja Rzeczypospolitej Polskiej z dnia 2 kwietnia 1997 r. (Dz. U. z 2009 r., Nr 114, poz. 946) – zwana: „Konstytucją”

² Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (t.j. Dz. U. z 2024 r. poz. 146) – zwana: „Ustawą o świadczeniach”; T. Sroka [w:] A. Barczak-Oplustil, T. Sroka (red.), *Odpowiedzialność publicznoprawna. Tom 6, System Prawa Medycznego*, Warszawa 2023, komentarz do art. 68 Konstytucji, teza 37 oraz 51.

³ J. Haberko (red.), *Prawo farmaceutyczne. Tom 4, System Prawa Medycznego*, Warszawa 2019, komentarz do art. 15 ustawy o świadczeniach, teza 11.

publicznego. Innymi słowy jest częścią systemu opieki zdrowotnej, do którego zapewnienia zobowiązane zostały przepisami ustawy zasadniczej władze publiczne⁴.

Jednocześnie pacjentom, oprócz leków dostępnych w systemie refundacji, przysługują również świadczenia gwarantowane z zakresu ratunkowego dostępu do technologii lekowych, co wynika wprost z art. 15 ust. 2 pkt 17a Ustawy o świadczeniach.

Tym samym należy uznać, że zarówno:

- (i) postanowienia Ustawy o refundacji⁵ określające zasady dostępu do refundowanych terapii, jak i
- (ii) regulacje Ustawy o świadczeniach w zakresie RDTL,

wpływają na realizację obowiązku władz publicznych do zapewnienia obywatelom świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych poprzez zwiększanie dostępności do skutecznych oraz bezpiecznych terapii dla pacjentów.

II. Problem zdrowotny

Mukowiscydoza to **choroba rzadka**, której częstość występowania w Polsce wynosi ok. 1 na 5000 urodzeń. Szacuje się, że w Polsce co 35. osoba jest bezobjawowym nosicielem genu odpowiedzialnego za występowanie mukowiscydozy. Jednocześnie choroba pojawia się wyłącznie u osób, które odziedziczyły nieprawidłowe geny od obojga rodziców. Zgodnie z informacjami wskazanymi w Rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji⁶ (zwanej: „**Agencją**”) średni czas życia pacjenta mieści się w przedziale od ok. 11 do 25,5 lat. Należy jednak podkreślić, iż średni czas życia w 2016 wzrósł o 60-70% w stosunku do wartości z roku 2000 (25 vs 14,7 lat). Zmalał jednocześnie odsetek osób umierających na mukowiscydozę poniżej 18 roku życia – na początku XXI w. wynosił on około 60%, zaś w drugiej dekadzie spadł do 20-30%. **Na dalszą poprawę tego krytycznego parametru znaczący wpływ może mieć objęcie refundacją od marca 2022 roku trzech innowacyjnych terapii w leczeniu chorych na mukowiscydozę, tj.: Kaftrio (w skojarzeniu z Kalydeco), Symkevi (w skojarzeniu z Kalydeco) oraz Orkambi.**

W dyskusji o innowacyjnych lekach jako istotne mogą zostać uznane informacje z analizy danych z amerykańskiego rejestru pacjentów z mukowiscydozą (abstrakt WS22.05, dotyczy grupy ponad 16 tys. amerykańskich chorych), z których wynika, że ich stosowanie wpływa na zmniejszenie ryzyka przeszczepienia płuc (operacja ratująca życie) u chorych o 87% i ryzyka zgonu o 74%. Według danych, którymi podzielił się publicznie prof. Szczepan Cofta z Uniwersyteckiego Szpitala Klinicznego w Poznaniu, po rozpoczęciu stosowania modulatorów CFTR u znacznej części chorych „o blisko 70 procent zmniejszyła się [liczba] pacjentów, którzy przebywają na oddziale szpitalnym z powodu zaostrzenia choroby”⁷.

⁴ R. Stankiewicz [w:] M. Piekłak (red.), *Ustawa o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Komentarz*, Warszawa 2014, komentarz do art.1.

⁵ Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (t.j. Dz. U. z 2023 r. poz. 826 ze zm.) – zwana: „**Ustawą o refundacji**”.

⁶ Rekomendacja Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr 113/2022 z 28 listopada 2022 r. w sprawie objęcia refundacją leków Kalydeco 75 mg, 28 tabl., GTIN 00351167144503; Kalydeco 150 mg, 28 tabl., GTIN 00351167136201 stosowanych w skojarzeniu z Kaftrio, 37,5 mg + 25 mg + 50 mg, 56 tabl., GTIN 00351167149409; Kaftrio 75 mg + 50 mg + 100 mg, 56 tabl., GTIN 00351167143902 we wskazaniu do stosowania w programie lekowym B.112 „Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84) - zwana: „**Rekomendacją**”.

⁷<https://www.medexpress.pl/leki-technologie-medyczne/prof-szczepan-cofta-prof-szczepan-cofta-w-mukowiscydozie-nieuniknione-jest-zlagodzenie-kryteriow-wlaczania-w-programie-lekowym/>

Mukowiscydoza pozostaje jednak nadal jednym z najpoważniejszych problemów zdrowotnych, z którym muszą zmagać się pacjenci. Jest chorobą wielonarządową, a upośledzenie funkcji organów wydzielniczych niesie za sobą liczne konsekwencje:

- (i) Z raportu Europejskiego Towarzystwa Mukowiscydozy (ang. *European Cystic Fibrosis Society*) wynika, że większość polskich pacjentów jest zmuszona do przyjmowania **enzymów trawiennych** do każdego posiłku zawierającego tłuszcz⁸.
- (ii) Jednym z charakterystycznych objawów mukowiscydozy u mężczyzn jest **niepłodność**, która dotyka w Polsce ponad 95% chorujących. Problemy z zajściem w ciążę dotyczyły także kobiet. Niemniej dzięki modulatorom CFTR obserwujemy „eksplozję” ciąż u pacjentek z mukowiscydozą stosujących Kaftrio⁹. Warto jednak pamiętać, że ciąża pacjentki chorej na mukowiscydozę jest klasyfikowana jako ciąża wysokiego ryzyka¹⁰, a bezpieczeństwo stosowania terapii dla płodu jest badane¹¹.
- (iii) Należy pamiętać, że aby zachować dobrą kondycję dróg oddechowych niemal wszyscy pacjenci muszą wykonywać **codziennie długotrwałą rehabilitację**.
- (iv) Ponadto pacjenci z uwagi na konieczność częstego stosowania antybiotyków i zakażenia szpitalne zmagają się z wyzwaniem **wielolekoopornych patogenów, które kolonizują ich organizmy**. Część świata nauki określa antybiotykooporność jako „*wielkie wyzwanie dla nauki, medycyny i zdrowia publicznego XXI wieku, na miarę odkrycia penicyliny niemal sto lat temu*”¹².

Wyzwaniem pozostaje także to, że dla części pacjentów nadal nie wynaleziono skutecznego leczenia. W USA, gdzie zgodnie z rejestracją Agencji Żywności i Leków (ang. *U.S. Food and Drug Administration, FDA*) modulatory CFTR są dopuszczone w najszerszym zakresie spośród wszystkich krajów na świecie (część z mutacji uzyskała dostęp do leczenia na podstawie badań in-vitro), szacuje się, że dla około 6% pacjentów nie będą one skuteczne.

Niemniej postęp medycyny i farmacji, a co za tym idzie lepsza dostępność do opieki wykwalifikowanych zespołów interdyscyplinarnych, leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z pewnością ma znaczący wpływ na poprawę wspomnianej już długości, ale także jakości życia.

To wszystko wymaga jednak efektywnej współpracy pomiędzy pacjentem lub jego opiekunem a wykwalifikowanym personelem, posiadającym odpowiednią wiedzę, a także istotnego zaangażowania w proces leczniczy (w tym licznych podróży do specjalistów oraz ośrodków eksperckich). Ponadto mukowiscydoza jako choroba dziedziczona autosomalnie recesywnie daje aż 25% szansy na to, że kolejne potomstwo dwojga biologicznych rodziców chorego dziecka urodzi się także obciążone chorobą. **Te kwestie mogą prowadzić do wykluczenia społecznego pacjentów lub ich opiekunów (z racji na długotrwałe infekcje**

⁸ ECFS Patient Registry. Annual Data Report, 2019, https://pcfs.pl/wp-content/uploads/2022/01/ECFS-Report_2019_v1_23Dec2021.pdf

⁹ <https://www.rynekzdrowia.pl/Farmacja/Mukowiscydoza-Terapia-tak-skuteczna-ze-jest-eksplozja-ciaz-u-pacjentek-stosujacych-Kaftrio,229798,6.html>

¹⁰ N. Łazarz, *Opieka nad ciężarną z mukowiscydozą i współistniejącymi chorobami*, 2023, <https://ruj.uj.edu.pl/xmlui/handle/item/314315>.

¹¹ <https://www.termedia.pl/pulmonologia/Wyniki-poloznicze-u-kobiet-z-mukowiscydoza-leczonych-modulatorami-CFTR,39728.html>

¹² <https://www.medexpress.pl/nauka-medycyna/jest-najczesciej-przepisywanym-antybiotykiem-na-swiecie-jej-odkrycie-zrewolucjonizowalo-swiat-medycyny/>

i konieczność unikania zakażeń krzyżowych), konieczności mierzenia się przez nich z wyzwaniami finansowymi oraz wpływać na psychiczny dobrostan rodziny.

III. Realny dostęp do terapii na mukowiscydozę dla polskich pacjentów

Obecnie chorzy na mukowiscydozę mają dostęp do refundowanych terapii prowadzonych w ramach programu lekowego B.112. LECZENIE CHORYCH NA MUKOWISCYDOZĘ (ICD-10: E84; zwanym: „Programem lekowym”) przy wykorzystaniu następujących substancji czynnych:

- 1) iwakaftorem w monoterapii,
- 2) lumakaftorem/ iwakaftorem,
- 3) tezakaftorem/ iwakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem,
- 4) eleksakaftorem/ tezakaftorem/ iwakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem.

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 18 marca 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2024 r. aktualnie w Programie lekowym refundowanych jest 10 produktów leczniczych o 4 nazwach handlowych, z czego:

- 5 produktów o jednej nazwie handlowej zawiera iwakaftor;
- 2 produkty o jednej nazwie handlowej zawierają lumakaftor i iwakaftor;
- 2 produkty o jednej nazwie handlowej zawierają tezakaftor i iwakaftor;
- tylko 1 produkt leczniczy zawiera eleksakaftor, tezakaftor i iwakaftor.

Substancja czynna	Nazwa postać i dawka leku
Ivacaftorum	Kalydeco, tabl. powl., 150 mg
Ivacaftorum	Kalydeco, tabl. powl., 150 mg
Ivacaftorum	Kalydeco, granulát w saszetce, 50 mg
Ivacaftorum	Kalydeco, tabl. powl., 75 mg
Ivacaftorum	Kalydeco, granulát w saszetce, 75 mg
Ivacaftorum + Lumacaftorum	Orkambi, granulát, 125+100 mg
Ivacaftorum + Lumacaftorum	Orkambi, granulát, 188+150 mg
Ivacaftorum + Tezacaftorum	Symkevi, tabl. powl., 150+100 mg
Ivacaftorum + Tezacaftorum	Symkevi, tabl. powl., 75+50 mg
Ivacaftorum + Tezacaftorum + Elexacaftorum	Kaftrio, tabl. powl., 75+50+100 mg

Dostęp do ww. terapii dla pacjentów jest ograniczony w zależności od spełnienia przez nich kryteriów włączenia do Programu lekowego, które z wyjątkiem kryteriów ogólnych różnią się w zależności od terapii:

Szczegółowe kryteria kwalifikacji do leczenia				
	iwakaftor w monoterapii	lumakaftorem/ iwakaftorem	tezakaftorem/iwakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem	eleksakaftorem/ tezakaftorem /iwakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem
wiek	12 miesięcy i powyżej	2 lata i powyżej	6 lat i powyżej	12 lat i powyżej
mutacja	potwierdzone wystąpienie jednej z poniżej wymienionych mutacji, w przynajmniej 1 allelu genu CFTR: mutacja bramkująca genu CFTR (klasy III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N lub S549R	potwierdzone wystąpienie mutacji F508del genu CFTR na obu allelech.	homozygotyczność pod względem mutacji F508del lub heterozygotyczność pod względem mutacji F508del i obecność jednej z następujących mutacji genu CFTR: P67L, R117C, L206W	homozygotyczność pod względem mutacji F508del genu CFTR lub heterozygotyczność pod względem mutacji F508del z mutacją o minimalnej wartości funkcji (MF) genu CFTR

W związku z powyższym chciałbym tym samym zwrócić uwagę na to, iż na podstawie aktualnie obowiązującego obwieszczenia refundacyjnego **pacjenci chorujący na mukowiscydozę:**

- (i) **w wieku od 6 do 11 lat, którzy mają co najmniej jedną mutację F508del genu CFTR oraz**
- (ii) **w wieku od 12 lat, którzy mają co najwyżej jedną mutację F508del genu CFTR oraz dodatkowo drugą mutację inną niż określana jako minimalna wartość funkcji (MF)**

nie mają dostępu do bezpłatnej terapii eleksakaftorem/ tezakaftorem /iwakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem.

A zatem okazuje się, że pacjenci chorujący na mukowiscydozę z niektórymi mutacjami, w szczególności pacjenci powyżej 12 roku życia (przy czym należy mieć na uwadze, że choroba postępuje wraz ze starzeniem się chorego) oraz młodsi chorzy w obecnej chwili nie mogą korzystać z szansy ratowania życia lub zdrowia przy pomocy modulatorów CFTR.

Pragnę jednocześnie dodać, że mukowiscydoza jest chorobą, która wywołuje w organizmie pacjenta nieodwracalne zmiany, co rzutuje oczywiście w istotnym stopniu na nastoletni oraz dorosły okres życia młodego pacjenta.

IV. Finansowanie terapii w ramach RDTL

W związku z powyższym dotychczasowo terapia skojarzona iwakaftor oraz eleksakaftor/tezakaftor/iwakaftor dla pacjentów poniżej 12 roku życia homozygotycznych pod względem mutacji F508del genu CFTR lub heterozygotycznych pod względem mutacji F508del z mutacją o minimalnej wartości funkcji (MF) genu CFTR była finansowana ze środków przeznaczonych na RDTL.

Zgodnie z informacją uzyskaną od Ministra Zdrowia w odpowiedzi na pismo Rzecznika Praw Pacjenta: *„Produkty lecznicze Kaftrio i Kalydeco podlegały finansowaniu w ramach procedury RDTL - zgodnie ze sprawozdaniem rocznym, przekazanym przez Narodowy Fundusz Zdrowia, leczenie w ramach procedury RDTL prowadzone było w 2023 r. u 11 pacjentów w wieku 6-12 lat; na leczenie tych pacjentów przekazano ze środków Funduszu Medycznego około 5,2 mln zł”*¹³.

Z kolei według danych uzyskanych przez Fundację Mukobohaterowie w odpowiedzi na wniosek o udzielenie informacji publicznej (znak pisma PLD.0164.23.2023.AK) w okresie od 26 listopada 2020 r. do dnia 31 października 2023 r. leczenie mukowiscydozy z zastosowaniem schematu Kaftrio + Kalydeco zostało wprowadzone łącznie u 12 pacjentów, z czego czworo lub pięcioro było pacjentami powyżej 12 roku życia.

Tak więc, mając na względzie, iż leki Kaftrio i Kalydeco do dnia 17 listopada 2023 r. były finansowane w ramach RDTL należy uznać, że w przypadku ww. pacjentów przesłanki, o których mowa w art. 47f ust. 1 Ustawy o świadczeniach zostały spełnione.

To oznacza, że zostało uznane przez konsultantów opiniujących poszczególne wnioski, że dla wspomnianych pacjentów:

- wyczerpano wszystkie możliwe do zastosowania technologie medyczne finansowane ze środków publicznych,
- zastosowanie leków Kaftrio i Kalydeco było niezbędne dla ratowania ich życia lub zdrowia.

Niemniej jednak zgodnie z komunikatem Ministra Zdrowia z dnia 10 listopada 2023 r. leki Kaftrio i Kalydeco od dnia 17 listopada 2023 r. **nie podlegają dalszemu finansowaniu** w ramach procedury RDTL z wyjątkiem pacjentów, którzy rozpoczęli leczenie przed ww. datą i u których leczenie będzie skuteczne¹⁴.

W związku z powyższą informacją Rzecznik Praw Obywatelskich skierował do Ministra Zdrowia pismo z prośbą o dodatkowe wyjaśnienia, w odpowiedzi na które Minister Zdrowia doprecyzował, że:

„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

¹³ Odpowiedź Ministra Zdrowia na pismo Rzecznika Praw Pacjenta znak: RzPP-DWS-WPS.420.153.2023.MPu z dnia 2 lutego 2024 r. w sprawie leczenia mukowiscydozy w ramach programu lekowego.

¹⁴ Komunikat Ministra Zdrowia w sprawie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych z dnia 10 listopada 2023 r. - zwany: „Komunikatem”.

odpowiedzialny dodatkowego instrumentu dzielenia ryzyka zabezpieczającego całkowity wpływ na budżet płatnika”¹⁵.

Pragnę wskazać, iż art. 47f ust. 3 Ustawy o świadczeniach wyodrębnia sytuacje, których zaistnienie uniemożliwia finansowanie terapii danymi lekami w ramach RDTL, tj.:

- (i) podmiot odpowiedzialny nie złożył wniosku w terminie określonym w ust. 2, albo nie uzupełnił braków formalnych wniosku o refundację w terminie określonym przez Ministra Zdrowia,
- (ii) została wydana decyzja o umorzeniu postępowania o objęciu refundacją i ustalenia urzędowej ceny wszczęta z wniosku, o którym mowa w ust. 2,
- (iii) została wydana rekomendacja, o której mowa w art. 35 ust. 6 pkt 2 Ustawy o refundacji, w odniesieniu do danej substancji czynnej w tym wskazaniu, tj. rekomendacji w zakresie niezasadności objęcia refundacją danego leku,
- (iv) została wydana decyzja o odmowie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu, o której mowa w art. 11 Ustawy o refundacji, w odniesieniu do danej substancji czynnej w tym wskazaniu.

Powyższy katalog jest katalogiem zamkniętym, co oznacza, że wyłącznie w ww. przypadkach dany lek:

- **nie może być stosowany u pacjentów w danej jednostce chorobowej,**
- **zostaje uwzględniony na liście produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych.**

Mając na względzie powyższe należy zwrócić uwagę, że w Rekomendacji **Prezes Agencji zarekomendował objęcie refundacją leków Kaftrio i Kalydeco** 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.

Prezes Agencji nie wydał zatem do tej pory rekomendacji o niezasadności objęcia ww. leków refundacją. Wydanie przez Prezesa Agencji rekomendacji warunkowej nie może być bowiem utożsamiane z wydaniem rekomendacji negatywnej. Przeczy temu przede wszystkim jej literalne brzmienie. Uznanie, iż niespełnienie przez podmiot odpowiedzialny warunku, o którym mowa w rekomendacji Prezesa Agencji niejako „zmienia” charakter rekomendacji z „pozytywnej warunkowej” na negatywny jest całkowicie nieuzasadnione i nie znajduje oparcia w powszechnie obowiązujących przepisach prawa.

Co więcej, przesłanki, o których mowa w art. 47f ust. 3 Ustawy o świadczeniach nie mogą być odczytywane w sposób rozszerzający zakres sytuacji która ogranicza możliwość zastosowania mechanizmu RDTL. Celem RDTL jest bowiem zapewnienie pacjentom ostatniej szansy na skuteczną terapię pozwalającą na uratowanie ich życia lub zdrowia w momencie, w którym inne terapie zawiodły.

¹⁵ Odpowiedź Ministra Zdrowia na pismo Rzecznika Praw Obywatelskich znak: V.7013.115.2023.ETP z dnia 4 lutego 2024 r. dotyczącego przekazania stanowiska w sprawie możliwości finansowania leków Kaftrio oraz Kalydeco w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

Należy jednoznacznie podkreślić, że stosowanie przedstawionej powyżej interpretacji art. 47f ust. 3 pkt 3 Ustawy o świadczeniach, tzn. interpretacji wskazującej na to, że „rekomendacją w zakresie niezasadności objęcia refundacją leku” jest także rekomendacja pozytywna warunkowa, powodowałoby nieuzasadnione ograniczenie dostępu pacjentów do terapii ratujących ich życie lub zdrowie.

W związku z powyższym wnoszę jak we wstępie.

Z wyrazami szacunku



adw. Marcin Piekłak

Do wiadomości:

1. dr hab. Marcin Wiącek, prof. UW Rzecznik Praw Obywatelskich,
2. Bartłomiej Chmielowiec, Rzecznik Praw Pacjenta.



FUNDACJA
MUKOBOHATEROWIE

Gdańsk, dnia 27 marca 2024 r.

PEŁNOMOCNICTWO

Ja, niżej podpisany, Wojciech Szymański, PESEL: 90110401639, działając w imieniu Fundacji Mukobohaterowie z siedzibą w Gdańsku przy ul. Mariana Seredyńskiego 18/3, 80-753 Gdańsk, wpisanej do 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 („Mocodawca”) niniejszym upoważniam:

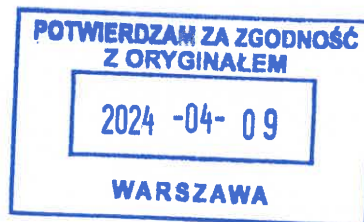
adw. Marcina Pieklaka (nr wpisu WAW/Adw/5879)

(adres do korespondencji: Kancelaria Rymarz Zdort, Maruta, Wachta, Gasiński, Her i Wspólnicy sp. k., ul. Prosta 18, 16 piętro, 00-850 Warszawa)

do reprezentowania Mocodawcy we wszelkich postępowaniach przed organami administracji publicznej, samorządu terytorialnego, organami ścigania oraz wszystkimi innymi instytucjami w sprawach związanych z ratunkowym dostępem do technologii lekowych, o którym mowa w ustawie z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, w szczególności w postępowaniach przed Ministrem Zdrowia. Pełnomocnictwo upoważnia także do składania w imieniu Mocodawcy wszelkich oświadczeń wiedzy i woli niezbędnych do zrealizowania zakresu pełnomocnictwa. Umocowanie niniejsze udzielone zostaje na okres do dnia 31 grudnia 2024 roku.

Szymański

Wojciech Szymański
Prezes Zarządu
Fundacji Mukobohaterowie



Marcin Pieklak
Adwokat
nr wpisu 5879