



IZBA GOSPODARCZA
„FARMACJA POLSKA”

Warszawa dnia 5 marca 2021r.

Pani
DOMINIKA JANISZEWSKA-KAJKA
Zastępca Dyrektora
Departamentu Lecznictwa
Ministerstwo Zdrowia

l.dz. 411-2021

dotyczy: projektu uchwały Rady Ministrów w sprawie przyjęcia dokumentu Plan dla Chorób Rzadkich – pre – konsultacje

Izba Gospodarcza „FARMACJA POLSKA” wyraża swoje uznanie dla materiału opracowanego w dokumencie Plan chorób rzadkich. Cieszy nas fakt, że znalazły się tam analizy pozwalające na uporządkowanie rynku leków w chorobach ultrarzadkich i rzadkich a przede wszystkim skupiły się na następujących zagadnieniach, które od lat postulowaliśmy i co do niektórych mamy następujące uwagi:

Zadanie 1.

Analiza w kierunku wprowadzenia wielokryterialnej analizy decyzyjnej (MCDA) do formalnej oceny HTA leków w chorobach rzadkich

Bez uwag

Zadanie 2.

Określenie i wprowadzenie do ustawy o refundacji wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość leków zarejestrowanych w chorobach rzadkich,

Bez uwag

Zadanie 3.

Wsparcie rozwoju i wykorzystania zaawansowanych instrumentów podziału ryzyka (strona 53 Planu): Ministerstwo proponuje, aby można było w decyzjach o refundacji umawiać się z wnioskodawcami na takie instrumenty dzielenia ryzyka, które będą uzależniały refundację od konkretnych wyników terapii / wyników zdrowotnych. Ale przy okazji Ministerstwo chce wprowadzić zróżnicowanie okresów obowiązywania decyzji o refundacji. Nie jest dla nas jasne, czemu ma służyć ta zmiana (czy na przykład decyzje wydawane łącznie z takim instrumentem jakościowym mają obowiązywać krócej, żeby móc sprawdzić, czy produkt działa? Czy może dłużej, żeby dać sobie czas na weryfikację skuteczności terapii?) **Niewątpliwie wprowadzenie nowych, odrębnych okresów obowiązywania decyzji mocno zdestabilizuje system, tak dla wnioskodawców, jak i dla pacjentów.** Dzisiaj wnioskując o decyzję o refundację wiemy od razu, jak długo będzie obowiązywała (o ile ją uzyskamy).

Zadanie 4.

Uproszczona procedura wnioskowania o refundacje leków o niewielkim wpływie na budżet płatnika

(strona 54-55 Planu): Z opisu wynika, że uproszczenia miałyby w szczególności dotyczyć samych analiz farmakoekonomicznych/analizy wpływu na budżet (aczkolwiek być może będą dalsze uproszczenia proceduralne) w przypadku leków

o niewielkim wpływie na budżet. Pomysł wprowadzenia ułatwień proceduralnych w przypadku refundacji takich produktów należy ocenić pozytywnie, natomiast nie bardzo rozumiemy, jak mają one pomóc w zwiększeniu dostępności pacjentów do nowoczesnych terapii stosowanych w chorobach rzadkich i ultrarzadkich. Być może mylimy się, ale wydaje się nam, że zwykle są to terapie jednak drogie i nawet przy niewielkiej populacji pacjentów ten wpływ na budżet może być znaczniejszy niż w przypadku szerszej stosowanych, ale bardzo tanich leków. Ujęcie więc tego zadania w polityce dotyczącej chorób rzadkich jest dla nas średnio zrozumiałe.

Zadanie 5.

Inne zadania wymagające nowelizacji ustawy refundacyjnej (strona 55-56 Planu): Ministerstwo (bardzo słusznie) chce odstąpić od wymogu udowodnienia dostępności w obrocie leków przy wnioskowaniu o refundację; jednak niesłusznie ma to dotyczyć tylko niektórych kategorii produktów, np. radiofarmaceutyków i terapii personalizowanych. Tymczasem wymóg składania dowodu dostępności leku w obrocie jest dużym utrudnieniem / kłopotem przy refundacji wszystkich leków stosowanych w chorobach rzadkich, które często muszą być sprowadzane do polskiej hurtowni w ilości jednego opakowania specjalnie po to, by móc złożyć wniosek o refundację. O wiele bardziej zasadnym rozwiązaniem byłoby składanie oświadczenia (razem z wnioskiem) o gotowości zapewnienia dostępności produktu w razie uzyskania decyzji o refundacji;

Zadanie 6.

Opracowanie procedury rozszerzenia refundacji leku o dodatkowe pozarejestrowane wskazania „choroby rzadkie”

(strona 58 Planu): Ministerstwo planuje opracowanie procedury rozszerzania refundacji leku o dodatkowe wskazanie off-label w chorobie rzadkiej. Niepokoi nas fakt, że jest tu z góry przyjęte założenie, że będą to decyzje wydawane przez Ministra Zdrowia, jak się zdaje, z urzędu (nie znaleźliśmy w komentarzu do tego zadania żadnego odniesienia do składania wniosku przez podmiot odpowiedzialny). Tymczasem łatanie dziur w dostępie pacjentów do terapii chorób rzadkich poprzez refundację wskazań off - label **może spowodować wątpliwości dotyczące odpowiedzialności** za ewentualne działania niepożądane u pacjentów leczonych taką niezarejestrowaną (w tym wskazaniu) terapią. Nie będzie przecież za nie odpowiadał producent, który nie zarejestrował leku w danym wskazaniu;

Zadanie 7. Opracowanie zasad prowadzenia programów CU

Zadanie 8. Opracowanie zasad prowadzenia PWD

Uwagi wspólne do 7 i 8

(strony 60 i 61 Planu): Ministerstwo bardzo słusznie chce uregulować procedurę wnioskowania i uzyskiwania zgody na tzw. compassionate use, czyli na dostęp pacjentów do niezarejestrowanych nigdzie leków, w sytuacjach ratujących życie. Nieco bardziej dziwi nas pomysł uregulowania programów wczesnego dostępu, a więc programów **stosowania leków już zarejestrowanych, ale przed ich refundacją**. Te drugie obecnie toczą się zupełnie swobodnie i nie wymagają żadnej ingerencji ze strony Ministerstwa, bo mowa tu jest o stosowaniu leków przed ich objęciem refundacją, ale zgodnie ze wskazaniami zarejestrowanymi - firmy czasami sponsorują wcześniejszy dostęp pacjentów do takich produktów, żeby przyspieszyć leczenie i móc już lek pacjentom zaoferować w czasie trwania postępowania refundacyjnego. Ale! Jednocześnie Ministerstwo zastrzega, że zarówno compassionate use, jak i programy wczesnego dostępu mogą być prowadzone wyłącznie na koszt

podmiotu odpowiedzialnego. Dotychczas zdarzało się, że pacjent występował z wnioskiem o sfinansowanie mu ze środków publicznych leczenia lekiem niedopuszczonym do obrotu w ramach compassionate use (na podstawie przepisów ustawy o refundacji), teraz, jak rozumiemy, ma być to wyłączone; ponadto programy wczesnego dostępu są niekiedy realizowane odpłatnie, aczkolwiek za symboliczną odpłatnością, np. 1 złoty. Pytanie, czy taka formuła będzie jeszcze dopuszczalna w sytuacji, gdy mają obowiązywać przepisy wprost zastrzegające, że program wczesnego dostępu może być prowadzony wyłącznie na koszt firmy? Ingerencja ustawodawcy zwłaszcza w obszar tych programów wczesnego dostępu wydaje się zaskakująca, ponieważ przepisy prawa już obecnie pozwalają sprowadzanie leków i udostępnianie ich pacjentom w ramach normalnego, porejestacyjnego ich stosowania.

Zadanie 9.

Wprowadzenie wskazania „choroba rzadka” wśród wskazań refundacyjnych, w których leki wydawane są bezpłatnie

Bez uwag

Zadanie 10.

Rozliczanie produktów, głównie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, stosowanych w trakcie hospitalizacji i sprowadzanych w ramach procedury importu docelowego przez szpital

Bez uwag

Zadanie 11.

Rozliczanie produktów, głównie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, dla chorych wnioskujących o import docelowy tych produktów indywidualnie

Bez uwag

Mimo, że prace nad tym projektem trwały kilka lat cieszymy się, że powstał dokument obejmujący wszystkie sprawy i zagadnienia interesujące dla wszystkich stron tj. branżę farmaceutyczną oraz pacjentów. Szkoda, że czas na komentarze był tak krótki.

Podsumowując: cele i założenia Planu dla Chorób Rzadkich są słuszne i chwalebne, ale szczegóły Planu zwłaszcza co do zmian w Ustawie o refundacji są naszym zdaniem mocno niepokojące i wymagają dalszej dyskusji.

Z wyrazami szacunku,

Irena Rej


Prezes Zarządu Izby Gospodarczej
„FARMACJA POLSKA”