

Lp.	Komentowany przepis	Komentarz Izby Gospodarczej „FARMACJA POLSKA”
Zmiany w ustawie - Prawo Farmaceutyczne („PF”)		
1.	Art.4f. Nowe przepisy wymagają dookreślenia:(1) grupy pacjentów - brak jednoznacznej definicji dla terminu ‘skuteczne leczenie produktem leczniczym’. (2) Produkty lecznicze podlegające CU: : należałoby rozszerzyć zakres produktów leczniczych, którymi mogą być leczeni pacjenci w ramach ZPW, wskazany w projektowanym art. 4f ust. 1, o zarejestrowany produkt leczniczy, dla którego toczy się badanie kliniczne lub badanie zostało zakończone we wskazaniu innym niż zarejestrowane. Art. 4f ust. 3 pkt 3) PF, przewidujący konieczność uwzględnienia we wniosku zobowiązania wnioskodawcy do nieodpłatnego dostarczenia produktu leczniczego objętego wnioskiem oraz urządzeń stosowanych do jego podawania, w ramach realizacji zgody Prezesa Urzędu na Zastosowanie Podyktowane Współczuciem wraz z kosztorysem realizacji Zastosowania Podyktowanego Współczuciem	To postanowienie ograniczy możliwość prowadzenia programów Zastosowania Podyktowanego Współczuciem (dalej: „ZPW”) w odniesieniu do leków, których podanie wymaga zastosowania urządzeń o znaczącym koszcie, takich jak np. pompy infuzyjne. Wątpliwości może także budzić kwestia zastosowania urządzeń do diagnostyki w sytuacji, w której lek, który miałby być stosowany w takim programie, jest lekiem do diagnostyki właśnie, jak w przypadku niektórych radiofarmaceutyków, które są podawane w trakcie badania PET. W tym przypadku możliwa jest interpretacja, zgodnie z którą urządzeniem stosowanym do podawania leku jest skaner PET. To postanowienie jest tym bardziej problematyczne, że przepisy nie precyzują, na jaki okres jest wydawana zgoda na ZPW, ba, nie przewidują nawet, by wnioskodawca miał to wskazywać we wniosku. Niezależnie od powyższego, chcielibyśmy wskazać, że całkowite wykluczenie możliwości finansowania czy współfinansowania programów ZPW ze środków publicznych znacznie ograniczy możliwość pozyskania takich programów do prowadzenia w Polsce.
2.	Art. 4f – 4j PF w zakresie, w jakim regulują procedurę ubiegania się o zgodę na ZPW, wydawania tej zgody oraz odmowy wydania zgody na ZPW	W naszej ocenie zaproponowana przez autorów projektu ustawy procedura ubiegania się o zgodę na ZPW jest przeregulowana, nadmiernie rozbudowana i nie odpowiada wymaganiom programów tego rodzaju. Zwracamy uwagę, że zastosowanie leku podyktowane współczuciem bardzo często ma miejsce po zakończonym badaniu klinicznym u pacjentów wcześniej w tym badaniu uczestniczących, gdzie kluczowe jest zapewnienie im dostępu do leku dotychczas podawanego w badaniu jak najszybciej, tak, aby utrzymać ciągłość dostępu do terapii. Również w innych przypadkach szybkość udostępnienia leku pacjentowi może być kluczowa dla skuteczności leczenia. Tymczasem projekt przewiduje

		zasadniczo 30 dni na rozpatrzenie wniosku oraz 7dni na wydanie opinii przez wskazane w artykule 4g PF instytucje, które to terminy mogą jeszcze ulec wydłużeniu z uwagi na możliwość zwrócenia się przez Prezesa Urzędu rejestracji do wnioskodawcy o dodatkowe informacje. Co więcej, nie ma terminu na wydanie opinii przez Europejską agencję leków, co może znacząco wydłużyć czas oczekiwania na zgodę na realizację programu Zastosowania Podyktowanego Współczuciem. W dodatku rozbudowany zakres danych, które należy uwzględnić we wniosku, powoduje, że jego przygotowanie będzie czasochłonne i dodatkowo wydłuży proces ubiegania się o zgodę na ZPW. Niektóre z wymagań - np. zawarcie umów przed pozyskaniem zgody - czynią wręcz możliwość przeprowadzenia ZPW nierealną, skoro zgoda precyzuje tak istotne elementy przedmiotu umowy jak populację i okres. Ponadto, zgodnie z art. 4K ust. 1 pkt 4) PF, uruchomienie programu ZPW będzie wymagało także zawarcia umowy z podmiotem leczniczym, jeżeli wnioskodawcą o wydanie zgody na program będzie podmiot odpowiedzialny lub sponsor badania klinicznego, co także wydłuży proces przygotowania wniosku i jest niezgodne z praktyką - czasami niemożliwe do spełnienia. Zwykle na etapie składania wniosku nie wiadomo jeszcze, które podmioty lecznicze będą zainteresowane udziałem CU i w których podmiotach będą leczeni pacjenci kwalifikujący się do CU. W praktyce sponsor / MAH najpierw występuje o zgodę a dopiero następnie szpitale mogą przystępować do programu. Rekomendacja: usunięcie obowiązku wskazania konkretnego podmiotu na etapie składania wniosku (można wprowadzić wymóg przekazania tych danych później).
3.	Art. 4k ust. 1 pkt 5) PF, zgodnie z którym do obowiązków wnioskodawcy, który uzyskał zgodę na ZPW należy: - kontynuowanie ZPW do czasu stwierdzenia wygaśnięcia zgody na ZPW, jej cofnięcia albo skrócenia okresu ważności	Przepis ten przewiduje obowiązek wnioskodawcy do kontynuowania programu ZPW do czasu stwierdzenia wygaśnięcia zgody na ten program, jej cofnięcia albo skrócenia okresu ważności zgody przez Prezesa Urzędu rejestracji. To oznacza, że wnioskodawca nie będzie miał kontroli nad okresem prowadzenia programu ZPW, zwłaszcza, że w myśl artykułu 4n PF Prezes Urzędu Rejestracji może, ale nie musi, skrócić okres ważności zgody na wniosek wnioskodawcy. Stanowi to bardzo duże zobowiązanie dla wnioskodawcy, które może spowodować, że uruchomienie programu ZPW w Polsce będzie w praktyce bardzo trudne. Proponujemy wprost wskazać w ustawie okres na jaki powinna być wydawana zgoda / wprost wskazać, że to wnioskodawca określa ten okres we wniosku o ZPW.
4.	Art. 4k pkt 7) PF, który stanowi, że wnioskodawca, który otrzymał zgodę na ZPW, jest zobowiązany	Zapis ten rodzi wątpliwości wskazane w punkcie 1 powyżej. Dodatkowo wskazujemy, że wnioskodawcą, zgodnie z projektem ustawy, może być również podmiot leczniczy,

	zapewnić pacjentom bezpłatny dostęp do produktów leczniczych oraz urządzeń stosowanych do ich podawania objętych zgodą na Zastosowanie Podyktowane Współczuciem	w którym program ZPW będzie prowadzony. W takiej sytuacji wnioskodawca nie będzie mógł się zobowiązać do zapewnienia pacjentom bezpłatnego dostępu do leku stosowanego w programie przez cały okres jego trwania, ponieważ nie może zagwarantować, że będzie w stanie taki lek zakupić od wytwórcy czy podmiotu odpowiedzialnego. Do rozważenia postulat zawężenia obciążeń finansowych po stronie wnioskodawcy jedynie do wydatków na sam lek + na te świadczenia, które są nieodłącznie powiązane z jego podaniem i stosowaniem w ramach ZPW. Pożądane byłoby przy tym jednoznaczne wskazanie, jakie świadczenia kwalifikują się jako nieodłącznie powiązane z prowadzoną terapią oraz w jaki sposób należy definiować ich zakres. Warto rozważyć, aby wykaz tych świadczeń był powiązany z charakterystyką programu ZPW przedkładaną przez wnioskodawcę, a ich zakres był precyzowany już w momencie udzielania zgody na realizację programu.
5.	Art. 4n PF, zgodnie z którym Prezes Urzędu Rejestracji może, ale nie musi, skrócić okres ważności zgody ZPW na wniosek wnioskodawcy	W sytuacji, gdy w świetle projektu ustawy Wnioskodawca ponosi całkowicie koszty prowadzenia programu ZPW, powinien on mieć możliwość ograniczenia czasu trwania programu, a także jego skrócenia. Tymczasem wskazany tu przepis pozbawia wnioskodawcę kontroli nad okresem prowadzenia programu ZPW, co może oznaczać konieczność dalszego finansowania programu w sytuacji, gdy wnioskodawca z różnych powodów nie może już tego robić. Wskazujemy, że tego rodzaju regulacja rodzi ryzyko ograniczenia możliwości prowadzenia programów ZPW w Polsce, ponieważ podmioty odpowiedzialne lub sponsorzy badań klinicznych będą się obawiać rozpoczęcia programu, nad którym nie będą mieć kontroli.
6.	Art. 4s PF, regulujący zakres świadczeń finansowanych przez wnioskodawcę w programach ZPW, w tym świadczeń gwarantowanych	W ustępie 1 tego artykułu ponownie zapisano obowiązek wnioskodawcy zapewnienia pacjentom bezpłatnie produktów leczniczych objętych zgodą na ZPW oraz urządzeń stosowanych do ich podawania, co budzi wątpliwości wskazane w pkt. 1 i 4 powyżej. Niezależnie, zgłaszamy zastrzeżenia również do ustępu 2 i 3 tego artykułu, wprowadzających zasadę finansowania przez wnioskodawcę świadczeń opieki zdrowotnej związanych z programem ZPW, które nie mieszczą się w zakresie świadczeń gwarantowanych; a także świadczeń gwarantowanych w określonych przypadkach. Wprowadzono tu zasady finansowania identyczne do tych przewidzianych w odniesieniu do badań klinicznych, w artykule 59 ustawy o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi. Naszym zdaniem jednak podejście do programów ZPW powinno być odmienne, ponieważ tego typu programy są prowadzone z przyczyn charytatywnych, w celu zapewnienia pacjentom bezpłatnego dostępu do potrzebnego im leczenia, a nie w celu gromadzenia danych niezbędnych do wniosku o rejestrację produktu, a więc w celach komercyjnych jak w przypadku badań klinicznych.

7.	Art. 4u PF, zgodnie z którym zastosowanie podyktowane współzuciem jest eksperymentem leczniczym w rozumieniu przepisów ustawy o zawodach lekarza i lekarza dentysty	Pragniemy wskazać, że ten kategoryczny przepis, bezwzględnie wskazujący na to, że program ZPW jest eksperymentem leczniczym, może być nieadekwatny w odniesieniu do części takich programów. Należy bowiem inaczej ocenić program ZPW prowadzony dla produktu będącego jeszcze w trakcie badań klinicznych, a więc nie w pełni przebadanego, a inaczej program dotyczący produktu, dla którego badania kliniczne zostały już w pełni zakończone i oczekuje on jedynie na finalizację procesu rejestracji. Postanowienie to budzi też niejasności - kto jest zobowiązany do realizacji obowiązków wynikających z kwalifikacji jako eksperymentu leczniczego. Jest też nadmiarowe, skoro procedura ZPW, w ramach wielu obowiązków, które są w niej przewidziane, zapewnia odpowiedni balans zabezpieczenia praw pacjenta i ratowania jego zdrowia / życia.
Zmiany w ustawie o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych		
8.	Artykuł 47d ust. 1 Ustawy o świadczeniach, określający przesłanki zastosowania procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowej	Zwracamy uwagę, że wskazane w tym przepisie przesłanki zastosowania procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowej („RDTL”), które nie różnią się od tych obowiązujących obecnie, nie rozwiązują jednego z głównych problemów zgłaszanych w ostatnim czasie przez pacjentów i podmioty lecznicze, a mianowicie problemu z dostępem do RDTL w sytuacji, w której pacjent korzysta z innej formy refundowanego leczenia, np. w programie lekowym. Przepisy Ustawy o świadczeniach nie powinny wykluczać możliwości skorzystania przez pacjenta z dostępu do leku w trybie RDTL, jeżeli np. dodanie takiego leku do obecnie prowadzonej u pacjenta terapii daje szansę na całkowite wyleczenie albo znaczącą poprawę stanu pacjenta. Należy podkreślić, że fakt, że dodanie pacjentowi kolejnego leku do leczenia może znacząco poprawić jego stan, nie oznacza, że dotychczas podawany mu lek nie jest skuteczny – może być skuteczny, ale w mniejszym stopniu, niż w połączeniu z inną terapią. I analogicznie, w tej sytuacji nie jest też tak, że leczenie lekiem w RDTL jest zbędne, skoro daje szansę na większą poprawę stanu zdrowia pacjenta, niż dotychczasowa jego terapia. Zarówno obecnie obowiązujące przepisy, jak i regulacja objęta projektem nowelizacji, nie uwzględniają możliwości uzyskania u pacjenta korzyści z terapii łączonej dwoma lub więcej produktami, lecz każą pacjentowi, czy też jego lekarzowi prowadzącemu, wybierać pomiędzy dwiema potencjalnie dostępnymi terapiami, które w połączeniu mogłyby zadziałać znacznie lepiej.
9.	Art. 47d ust. 1a Ustawy o świadczeniach, w szczególności w zakresie, w jakim warunkuje uzyskanie przez świadczeniodawcę zgody na ratunkowy dostęp do technologii lekowej od	Niewątpliwie uzależnienie zgody na RDTL od akceptacji Narodowego Funduszu Zdrowia spowoduje, że dostęp do tej procedury zostanie drastycznie ograniczony, co kłóci się z jego ratunkowym – ratującym życie i zdrowie pacjentów – charakterem. Obecnie obowiązujące przepisy już przewidują ograniczenia wysokości finansowania

akceptacji pod względem finansowym przez właściwy oddział wojewódzki Narodowego Funduszu Zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem dostępności najtańszego odpowiednika produktu leczniczego

procedury RDTL, a dodatkowe zabezpieczenia przed nadmiernym wzrostem wydatków płatnika publicznego są przewidziane w projekcie nowelizacji. Wobec tego wprowadzenie kolejnego poziomu akceptacji wniosku o RDTL w postaci zgody Narodowego Funduszu Zdrowia, nieograniczonej żadnymi szczególnymi kryteriami (poza dostępnością najtańszego odpowiednika), jest naszym zdaniem niekorzystne dla pacjentów. Zwłaszcza, że nie jest jasne, jaki wpływ na rozstrzygnięcie NFZ będzie mieć dostępność lub brak dostępności tańszego odpowiednika leku, którego dotyczy wnioski. Zwracamy w tym miejscu uwagę, że z założenia RDTL jest procedurą przewidzianą dla leków niefinansowanych ze środków publicznych, często bardzo innowacyjnych, które nie mają dostępnych odpowiedników.

Natomiast do rozważenia byłoby wprowadzenie wymogu zatwierdzenia formalnej poprawności wniosku o RDTL przez Narodowy Fundusz Zdrowia, ponieważ uzyskanie takiej akceptacji przed rozpoczęciem leczenia uchroniłoby świadczeniodawców przed ryzykiem odmowy zwrotu kosztów leczenia już po jego przeprowadzeniu.

Wymagałoby to jednak doprecyzowania w treści przepisu, że zatwierdzenie wniosku dotyczy jedynie jego formalnej poprawności i nie może być uzależnione od swobodnej decyzji Narodowego Funduszu Zdrowia. Zwłaszcza, że miałyby to być decyzja oddziału Wojewódzkiego NFZ, co dodatkowo pogłębi już istniejące różnice w dostępie pacjentów do procedury RDTL w różnych województwach.

Niezależnie postulujemy:

- wprowadzenie mechanizmu milczącej akceptacji wniosku o RDTL przez podmioty wskazane w art. 47d ustęp 1a, podobnie, jak jest to uregulowane w projekcie nowelizacji w odniesieniu do procedury ZPW. Przyjęcie zasady, zgodnie z którą Komitet do spraw Ratunkowego Dostępu do Technologii Lekowej, konsultant krajowy lub wojewódzki, Narodowy Fundusz Zdrowia, mają krótki termin na wydanie pozytywnej opinii lub akceptacji – np. 7 dni – a po jego bezskutecznym upływie milczenie tych podmiotów uznaje się za brak zastrzeżeń co do wniosku i możliwość realizacji RDTL w podmiocie leczniczym, usprawniłoby i przyspieszyło dostęp pacjentów do tej procedury.

- Proponujemy dodać jeszcze postulat dot. wprowadzenia mechanizmu informowania pacjenta o przebiegu procedury i rozstrzygnięciach poszczególnych podmiotów opiniujących. Projektowane przepisy nie przewidują obowiązku powiadamiania świadczeniobiorcy o wydanych opiniach (Komitetu, konsultanta) ani o akceptacji lub odmowie akceptacji finansowej OW NFZ. Zaproponujemy wprowadzenie obowiązku

		niezwłocznego udostępniania świadczeniobiorcy w IKP informacji o każdym etapie rozstrzygnięcia. Tym bardziej, że sam projektodawca w uzasadnieniu wskazuje, że celem reformy jest m.in. „poprawa procesu oceny zasadności finansowania danych leków w ramach RDTL, szczególnie w zakresie jej jednolitości i przejrzystości” (s. 9 uzasadnienia). Przejrzystość wobec pacjenta, którego życie i zdrowie zależy od wyniku procedury, jest elementem koniecznym tak rozumianej transparentności. Świadczeniobiorca nie jest formalnie stroną postępowania w rozumieniu KPA (co swoją drogą również budzi poważne zastrzeżenia, w tym również natury konstytucyjnej), lecz jest jedynym rzeczywistym beneficjentem całej procedury - pozbawienie go informacji o jej przebiegu narusza standardy wynikające z art. 68 ust. 2 Konstytucji RP (równy dostęp do świadczeń gwarantowanych) oraz z zasady informowania wyrażonej w art. 9 KPA stosowanej per analogiam. Jednocześnie projektodawca przewidział analogiczne mechanizmy informacyjne w SOID (art. 4ac ust. 7 PF - informacja w IKP o wystawieniu zapotrzebowania) oraz w procedurze refundacji indywidualnej (art. 39 ust. 2j ustawy o refundacji - doręczanie rozstrzygnięcia na IKP). Systemowo uzasadnione jest zastosowanie tego samego standardu w RDTL. Propozycja brzmienia - dodanie art. 47d ust. 1l: „1l. Informacja o wydaniu opinii, o których mowa w ust. 1h i 1i, wraz z ich treścią, oraz informacja o akceptacji lub odmowie akceptacji pod względem finansowym przez właściwy oddział wojewódzki Funduszu jest niezwłocznie udostępniana świadczeniobiorcy w Internetowym Koncie Pacjenta, o którym mowa w art. 7a ust. 1 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia.”
10.	Art. 47d ust. 1d i 1e Ustawy o świadczeniach, dotyczące składu i zadań Komitetu do spraw Ratunkowego Dostępu do Technologii Lekowej („Komitet ds. RDTL”)	Z ustępu 1d w art. 47d Ustawy o świadczeniach wynika, że do Komitetu ds. RDTL wchodzi kierownik podmiotu leczniczego oraz dwóch lekarzy posiadających tytuł specjalisty z dziedziny medycyny odpowiedniej ze względu na chorobę lub problem zdrowotny pacjenta. Wątpliwości budzi w szczególności uwzględnienie w składzie Komitetu kierownika podmiotu leczniczego, którym w wielu przypadkach będzie osoba bez wykształcenia medycznego. Tymczasem do zadań komitetu należy nie tylko wydawanie opinii w zakresie zasadności zastosowania RDTL u danego pacjenta, z uwzględnieniem przesłanek medycznych, ale także wydawanie opinii w sprawie zasadności kontynuacji leczenia lekiem w tym trybie, z uwzględnieniem potwierdzenia skuteczności leczenia. Wprowadzenie zasady, zgodnie z którą w wydawaniu takich opinii uczestniczy osoba potencjalnie bez wykształcenia

		medycznego, jest naszym zdaniem nieprawidłowe. Co więcej, w skład komitetu ds. RDTL nie będzie wchodził lekarz prowadzący danego pacjenta, co oznacza, że opinia w sprawie zasadności leczenia będzie wydawana przez zespół złożony z osób, które najczęściej nie będą miały żadnego kontaktu z pacjentem, którego wniosek o leczenie dotyczy. Może to rodzić ryzyko sporu kompetencyjnego pomiędzy Komitetem, a lekarzem prowadzącym. Ponadto obowiązek tworzenia takich komitetów może realnie ograniczyć dostęp do RDTL w mniejszych ośrodkach, ponieważ może w nich być trudność ze znalezieniem dwóch specjalistów z danej dziedziny medycyny, którzy weszliby w skład komitetu. Uważamy także, że obowiązek powoływania Komitetów w celu uruchomienia terapii w ramach RDTL, w sytuacji, w której dotychczas takie Komitety nie funkcjonowały i nie były potrzebne, stanowi niepotrzebną komplikację proceduralną i nadmierny formalizm, który skomplikuje i przedłuży postępowanie o uruchomienie leczenia w tym trybie. Należy także zwrócić uwagę na to, że art. 47d ust. 1e Ustawy o świadczeniach wymaga potwierdzenia (w opinii w zakresie oceny zasadności kontynuacji leczenia lekiem finansowanym w ramach RDTL) również braku możliwości zastosowania u danego pacjenta dostępnych technologii medycznych finansowanych ze środków publicznych w tym wskazaniu, co nie uwzględnia sytuacji, w których optymalne leczenie wymagałoby połączenia terapii dwoma lub więcej produktami. Więcej na ten temat w punkcie 8 powyżej.
11.	Artykuł 47d ust. 2 Ustawy o świadczeniach, zgodnie z którym podanie leku w trybie RDTL może nastąpić w okresie nie dłuższym niż 3 miesiące od daty akceptacji wniosku pod względem finansowym przez właściwy oddział wojewódzki Narodowego Funduszu Zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem dostępności najtańszego odpowiednika produktu Leczniczego	Pomijając w tym miejscu wątpliwości co do zasadności uzależniania możliwości prowadzenia terapii lekiem w trybie RDTL od zgody wojewódzkiego oddziału Narodowego Funduszu Zdrowia, które zostały opisane szerzej w punkcie 9 powyżej, zwracamy uwagę na brak w przepisie terminu na wydanie opinii przez NFZ, a także przez inne podmioty wskazane w artykule 47d ust. 1 Ustawy o świadczeniach. Być może terminy będą uwzględnione w rozporządzeniu, które ma wydać Minister Zdrowia zgodnie z art. 47 ust. 1c Ustawy o świadczeniach. Niemniej, w świetle projektu nowelizacji postępowanie o uzyskanie zgody na RDTL jest nieograniczone żadnym terminem. Mamy to za to termin trzech miesięcy na podanie leku, który liczy się od akceptacji wniosku przez NFZ, co oznacza, że przeciąganie terminu udzielenia tej akceptacji może w praktyce uniemożliwić pacjentowi dostęp do leku – jego podanie nie będzie możliwe przed uzyskaniem akceptacji NFZ.
12.	Art. 47d ust. 3 Ustawy o świadczeniach, uzależniający możliwość kontynuacji podawania leku od pozytywnej opinii Komitetu ds. RDTL	Jak wskazaliśmy w punkcie 8 powyżej, dostęp do leków trybie RDTL nie powinien być wykluczony w sytuacji, w której zdaniem lekarza prowadzącego optymalne u danego pacjenta leczenie wymagałoby połączenia leku podawanego w tym trybie z innym

	potwierdzającej między innymi brak możliwości zastosowania u danego pacjenta dostępnych technologii medycznych finansowanych ze środków publicznych	refundowanym leczeniem, np. w ramach programu lekowego. W wielu bowiem przypadkach pacjent największą korzyść terapeutyczną odniesie z połączenia dwóch leków, a nie w przypadku monoterapii. Dlatego postulujemy wprowadzenie do ustawy rozwiązań, które pozwolą na łączenie różnych trybów finansowania leków ze środków publicznych, czyli łączenia RDTL z terapią innym lekiem, refundowanym w innym trybie.
13.	Artykuł 47d ust. 5 Ustawy o świadczeniach, który dopuszcza finansowanie w trybie RDTL leku refundowanego jednocześnie w programie lekowym jedynie do czasu zapewnienia realnej dostępności do finansowania leczenia ze środków publicznych w ramach tego programu lekowego.	W sytuacji, w której ten sam produkt jest finansowany w ramach programu lekowego, a jednocześnie składane są wnioski o jego finansowanie w trybie RDTL, ograniczenie możliwości skorzystania z tego drugiego trybu jest oczywiście słuszne, ale pod warunkiem, że wniosek o RDTL dotyczy tego samego wskazania , w którym lek jest finansowany w programie lekowym. Podany tu przepis jednak wyklucza finansowanie leku w ramach RDTL niezależnie od tego, czy wskazanie, o które wnioskujemy w RDTL, jest identyczne z tym finansowanym w programie lekowym. Dlatego proponujemy doprecyzowanie w treści tego przepisu, że ograniczenie możliwości finansowania leku trybie RDTL jedynie do czasu zapewnienia jego realnej dostępności w programie lekowym dotyczy wyłącznie tego samego wskazania; a w przypadku, gdy wniosek o leczenie w trybie RDTL dotyczy innego wskazania niż finansowane w programie lekowym, to może on być rozpatrzony pozytywnie nawet, jeżeli lek jest dostępny w programie lekowym. Dodatkowo proponujemy doprecyzowanie, że skoro - jak rozumiemy - ma być to uzupełnienie przepisów SZNUR o tzw. dostępie pomostowym, to w tym trybie pomostowym nie powinny mieć zastosowania klasyczne przesłanki RDTL (zagrożenie życia, wyczerpanie alternatyw terapeutycznych, opinia Komitetu/konsultanta, akceptacja finansowa OW NFZ) - jedynym warunkiem dostępu powinno być spełnienie przez pacjenta kryteriów włączenia do tego nowego programu lekowego. Cel tego mechanizmu jest bowiem odmienny od RDTL - chodzi o zapewnienie ciągłości leczenia, a nie o interwencję nadzwyczajną.
14.	Artykuł 47da ust. 1 - 3 Ustawy o świadczeniach, wprowadzający procedurę zlecenia Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji („AOTMiT”) sporządzania opinii w sprawie zasadności finansowania leku w danym wskazaniu w ramach RDTL	Nie jest jasne, na jakiej zasadzie i kierując się jakimi przesłankami AOTMiT wydawać będzie opinię, z której wynikać będzie maksymalny poziom kosztu leku (brak przesłanki o braku użyteczności/efektywności kosztowej; ICUR przekraczający próg efektywności kosztowej). Oznacza to, że leki w ramach RDTL będą oceniane o wiele bardziej restrykcyjnie niż te same leki stosowane w ramach standardowej refundacji, co do których nie ma wymogu, by musiały być efektywne kosztowo, albo żeby spełniały jakiś próg ceny określony np. w rekomendacji Prezesa AOTMiT. Oznacza to też, że opinia Prezesa AOTMiT może być uznaniowa i nieobiektywna.

		W szczególności, nie jest jasne, jak oceniana będzie „nieefektywność kliniczna” – albowiem ustawa wprowadza to pojęcie po raz pierwszy i stwarza pole do zaistnienia sporu kompetencyjnego między lekarzem/Komitetem/ konsultantem krajowym lub wojewódzkim (którzy uznają, że terapia jest skuteczna) a opinią Prezesa AOTMiT, z której może wynikać, że terapia jest nieefektywna klinicznie.
15.	Art. 47da ust. 9 Ustawy o świadczeniach, przewidujący możliwość zlecenia raz w roku konsultantowi krajowemu w ochronie zdrowia dokonywanie przeglądu leków finansowanych w ramach RDTL i wskazywanie leków, które nie powinny podlegać finansowaniu w tym trybie w danym wskazaniu	Przepis ten wprowadza kolejną możliwość podważenia zgody na RDTL, tym razem przez konsultanta krajowego, który będzie mógł na zlecenie ministra zdrowia dokonywać przeglądu leków finansowanych w tym trybie i wskazywać te, które jego zdaniem nie powinny podlegać finansowaniu w ramach RDTL w danym wskazaniu. Ponownie rodzi to ryzyko sporu kompetencyjnego, ponieważ żeby lek mógł być wzięty pod uwagę przez konsultanta krajowego w ramach takiego przeglądu to musiałby wcześniej uzyskać pozytywną opinię ze strony Komitetu ds. RDTL i konsultanta krajowego lub wojewódzkiego, a także akceptację finansową Narodowego Funduszu Zdrowia. Nie jest też jasne, czy taki przegląd będzie dokonywany przez wybranego przez Ministra Zdrowia konsultanta krajowego dla wszystkich leków, czy też przez poszczególnych konsultantów dla leków właściwych dla reprezentowanej przez danego konsultanta dziedziny medycyny. W tym pierwszym przypadku powstaje ryzyko, że konsultant krajowy będzie decydował o możliwości dalszego finansowania w ramach RDTL leków, których nie zna, stosowanych w dziedzinie medycyny, w której się on nie specjalizuje.
16.	Artykuł 47f Ustawy o świadczeniach, w zakresie, w jakim wprowadza obowiązek zwrotu przez podmiot odpowiedzialny części środków finansowych poniesionych na finansowanie leku w ramach RDTL, w przypadku przekroczenia okresowego lub kwotowego finansowania leku w tym trybie	Mechanizm obowiązkowych paybacków nakładanych na podmiot odpowiedzialny w przypadku przekroczenia okresowego lub kwotowego finansowania leku ramach RDTL budzi duże wątpliwości, przede wszystkim z uwagi na nieokreślony charakter takiego zobowiązania. Inaczej niż w przypadku paybacków uregulowanych w instrumentach dzielenia ryzyka, gdzie wnioskodawca zawiera umowę z przedstawicielem płatnika publicznego, która następnie jest wprowadzana do indywidualnej decyzji administracyjnej jako jej załącznik, w tym przypadku mamy obowiązek nakładany na podmioty odpowiedzialne z urzędu, bez związku z decyzją refundacyjną i bez zobowiązania się podmiotu odpowiedzialnego do takiej płatności w umowie. Co więcej, biorąc pod uwagę, że wnioski o RDTL są składane przez podmioty lecznicze, nie przez podmioty odpowiedzialne, te ostatnie nie powinny być obciążane kosztem stosowania leków w tym trybie, które ma miejsce nie z ich inicjatywy i niezależnie od ich decyzji. Nawet payback ustawowy, uregulowany w przepisach ustawy o refundacji leków, ma związek z uzyskaniem przez podmiot odpowiedzialny decyzji refundacji na jego wniosek, czyli musi być brany pod uwagę przez wnioskodawcę, który decyduje się na ubieganie się o refundację.

Komentowany przepis wprowadza zatem coś w rodzaju podatku nakładanego na podmioty odpowiedzialne z tytułu wprowadzenia do obrotu leków na tyle skutecznych, że są szeroko i przez długi czas stosowane w podmiotach leczniczych. Należy przy tym zauważyć, że podmiot odpowiedzialny będzie miał ograniczoną możliwość uniknięcia płatności tego *quasi* podatku, np. poprzez odmowę sprzedaży leku do podmiotu leczniczego w sytuacji, w której będzie ogłoszone przekroczenie kwotowe, ponieważ sprzedaż leków do szpitali odbywa się na zasadach postępowania o zamówienie publiczne, a zawierane w tym trybie umowy praktycznie uniemożliwiają dostawcom odmowę realizacji dostaw – ich nierealizowanie wiąże się z karami finansowymi.

Naszym zdaniem powyższy przepis jest dyskryminujący w stosunku do podmiotów odpowiedzialnych, których leki są oferowane w trybie RDTL, ponieważ nakłada on dalej idące paybacki niż w przypadku leków w refundacji systemowej; a przy tym wprowadza płatność o nieustalonym charakterze, której egzekucja będzie rodziła duże wątpliwości w praktyce.

Zwracamy przy tym uwagę na fakt, że dyskryminacyjny charakter regulacji w artykule 47f Ustawy o świadczeniach wynika również z 1e tego przepisu, który z przyczyn niezrozumiałych wyłącza spod obowiązku płacenia paybacków podmioty odpowiedzialne dla odpowiedników referencyjnych produktów leczniczych. W naszej ocenie brak jest zasadności dla odmiennego traktowania w tym zakresie producentów leków referencyjnych i odpowiedników. Do rozważenia, czy alternatywnie nie przedstawić uwagi, dot. racjonalizacji paybacku okresowego tj.:

Postulat indywidualizacji momentu rozpoczęcia biegu terminu payback'u okresowego - obliczanie 12-miesięcznego okresu dla każdego świadczeniobiorcy (pacjenta) odrębnie. Zgodnie z projektowanym art. 47f ust. 1 przekroczenie okresowe następuje, gdy finansowanie leku w ramach RDTL „przekracza 12 miesięcy licząc od pierwszego świadczeniobiorcy”. Oznacza to, że włączenie pojedynczego pacjenta uruchamia zegar dla wszystkich przyszłych pacjentów. Postulujemy zmianę mechanizmu w ten sposób, aby 12-miesięczny okres wolny od obowiązku zwrotu był liczony indywidualnie dla każdego świadczeniobiorcy od dnia pierwszego podania mu leku w ramach RDTL. Uzasadnienie:

(1) Stopniowość włączania pacjentów. Pacjenci są kwalifikowani do RDTL indywidualnie, w miarę wyczerpywania dostępnych opcji terapeutycznych. Włączenie do terapii nie następuje jednocześnie, lecz jest rozłożone w czasie w sposób zależny

od indywidualnego przebiegu choroby. Przyjęcie zasady „od pierwszego świadczeniobiorcy” oznacza, że pacjent włączony np. w 11. miesiącu od rozpoczęcia finansowania RDTL dla pierwszego pacjenta będzie objęty mechanizmem payback’u już po 1 miesiącu terapii - mimo braku jakiegokolwiek związku z decyzją o niepodjęciu starań refundacyjnych przez podmiot odpowiedzialny. **(2) Eliminacja bodźca do nierównego traktowania pacjentów w identycznej sytuacji klinicznej.** Mechanizm „od pierwszego świadczeniobiorcy” generuje strukturalną zachętę ekonomiczną po stronie oddziałów wojewódzkich NFZ do nierównomiernego procedowania wniosków RDTL w czasie. Oddział wojewódzki NFZ jest ekonomicznie zainteresowany szybką akceptacją pierwszego wniosku (co uruchamia bieg 12-miesięcznego terminu), a następnie opóźnianiem akceptacji kolejnych świadczeniobiorców - tak, aby ich koszty leczenia w jak największej części przypadły na okres, w którym podmiot odpowiedzialny jest już obciążony obowiązkiem zwrotu. Prowadzi to do sytuacji, w której pacjenci znajdujący się w identycznej sytuacji klinicznej (ta sama choroba zagrażająca życiu, ten sam lek, te same przesłanki z art. 47d ust. 1) uzyskują dostęp do terapii ratunkowej w diametralnie różnym czasie - wyłącznie w zależności od tego, czy są „pierwszym” czy „kolejnym” pacjentem. Mechanizm taki narusza zasadę równego dostępu do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (art. 68 ust. 2 Konstytucji RP) oraz stoi w sprzeczności z deklarowanym w uzasadnieniu projektu celem zapewnienia jednolitych warunków leczenia niezależnie od regionu i momentu zgłoszenia potrzeby zdrowotnej. Indywidualizacja momentu rozpoczęcia biegu terminu payback’u eliminuje tę dysfunkcję - czyni moment akceptacji każdego wniosku neutralnym ekonomicznie dla płatnika, a tym samym usuwa bodziec do różnicowania tempa procedowania wniosków. **(3) Niezależność momentu włączenia od podmiotu odpowiedzialnego.** Data włączenia pierwszego pacjenta zależy wyłącznie od decyzji lekarza i jest niezależna od podmiotu odpowiedzialnego. Projektowany mechanizm uzależnia natomiast obowiązek finansowy podmiotu odpowiedzialnego od okoliczności pozostającej całkowicie poza jego wpływem, co budzi wątpliwości z perspektywy zasady proporcjonalności (art. 31 ust. 3 Konstytucji RP). **(4) Spójność z celem regulacji.** Uzasadnienie projektu wskazuje, że mechanizm payback’u ma „mobilizować podmioty odpowiedzialne, by w ramach niezaspokojonych potrzeb pacjentów ubiegali się o refundację systemową” (s. 12 uzasadnienia). Cel ten jest w pełni realizowany przez indywidualny payback - podmiot odpowiedzialny wie, że po upływie 12 miesięcy od włączenia każdego pacjenta poniesie koszt zwrotu, co stanowi stały bodziec ekonomiczny do złożenia wniosku refundacyjnego, niezależnie od daty rozpoczęcia terapii przez pierwszego pacjenta.

		Propozycja brzmienia art. 47f ust. 1 (fragment): <i>„1. W przypadku gdy finansowanie leku w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej w danym wskazaniu, określonym kodem głównym Międzynarodowej Statystycznej Klasyfikacji Chorób i Problemów Zdrowotnych, u danego świadczeniobiorcy przekracza 12 miesięcy licząc od dnia pierwszego podania tego leku danemu świadczeniobiorcy, Prezes Funduszu w terminie 7 dni od dnia uzyskania tej informacji: (...)”</i> Propozycja brzmienia art. 47f ust. 1c (fragment): <i>„1c. Od dnia publikacji ogłoszenia o przekroczeniu okresowym, o którym mowa w ust. 1, podmiot odpowiedzialny jest obowiązany do zwrotu części środków finansowych poniesionych na finansowanie leku w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowej u danego świadczeniobiorcy w danym wskazaniu: 1) powyżej 12 miesięcy do 24 miesięcy od dnia pierwszego podania leku danemu świadczeniobiorcy – w wysokości 5% (...)”</i>
17.	Artykuł 47f ust. 2 Ustawy o świadczeniach, wprowadzający obowiązek złożenia, w terminie 12 miesięcy od dnia zamieszczenia ogłoszenia o przekroczeniu kwotowym lub okresowym, wniosku o refundację	Niezależnie od kwestionowania zasadności mechanizmu obowiązkowych paybacków przy przekroczeniu okresowym lub kwotowym, zwracamy uwagę na fakt, że ustęp 2 w artykule 47f Ustawy o świadczeniach nie przewiduje wyłączenia paybacków przez czas prowadzenia postępowania refundacyjnego. To oznacza, że pomimo złożenia wniosku o refundację podmiot odpowiedzialny będzie nadal karany obowiązkowymi paybackami z tytułu stosowania leku w trybie RDTL. Naszym zdaniem to rozwiązanie jest niesłuszne.
18.	Artykuł 47f ust. 3 Ustawy o świadczeniach, wprowadzający nowy, rozbudowany katalog przesłanek umieszczenia leku na wykazie leków niefinansowanych w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych	Nowe przesłanki umieszczenia leku na wykazie leków niefinansowanych w ramach RDTL budzą naszym zdaniem istotne zastrzeżenia. Po pierwsze, o niemożności finansowania leków w tym trybie może zdecydować opinia prezesa AOTMiT, wydana na podstawie art. 47da ust. 3 Ustawy o świadczeniach, wyznaczająca limit ceny danego leku. Zwracamy uwagę, że taka rekomendacja jest wydawana w trybie uniemożliwiającym podmiotowi odpowiedzialnemu udział w postępowaniu czy odwołanie się od treści rekomendacji. Mamy tu zatem podstawę do arbitralnego ustalania maksymalnego pułapu ceny leku stosowanego w RDTL, co w praktyce może uniemożliwić finansowanie tego leku, jeżeli limit będzie ustalony na bezzasadnie zaniżonym poziomie. Ponadto w punkcie 7 tego przepisu wprowadzono kolejną przesłanką negatywną finansowania leku w trybie RDTL, w postaci wskazania leku w

		raporcie Prezesa AOTMiT, o którym mowa w art. 47da ust. 5 Ustawy o świadczeniach, jako technologię nieefektywną klinicznie lub kosztowo. Nie jest jasne, co oznacza nieefektywność kliniczna leku w sytuacji, w której został on zarejestrowany, a więc jego skuteczność musiała zostać wykazana w dostatecznym stopniu; brak jest także jakichkolwiek kryteriów oceny efektywności klinicznej, które musiałby brać pod uwagę Prezes Agencji. Wreszcie, zgodnie z punktem 8 tego przepisu przesłanką negatywną finansowania leku będzie nieuiszczenie kwoty paybacku z tytułu przekroczenia okresowego lub kwotowego, co oznacza, że odmowa uiszczenia nałożonej na podmioty odpowiedzialne w trybie paybacków (który to mechanizm rodzi duże wątpliwości zgodnie z punktem 16 powyżej) płatności będzie skutkować pozbawieniem pacjentów dostępu do leczenia. W naszej ocenie powyższe przesłanki negatywne finansowania leku w trybie RDTL rodzą wątpliwości co do ich słuszności i przełożą się na znaczące ograniczenie zakresu zastosowania procedury RDTL w praktyce.
19.	Art. 47i Ustawy o świadczeniach, zmieniający zasady pokrywania kosztów leku stosowanego w RDTL przez NFZ	W świetle obecnie obowiązujących przepisów Ustawy o świadczeniach, koszt leku jest zwracany przez NFZ na podstawie faktury zakupu, co oznacza, że Narodowy Fundusz Zdrowia finansuje całkowity koszt zakupionego produktu. Projekt nowelizacji zmienia tę zasadę w ten sposób, że koszt będzie pokrywany przez Fundusz w oparciu o ilość leku podaną lub wydaną świadczeniobiorcy na podstawie rachunku lub faktury dokumentującej zakup leku. To w istotny sposób zmienia zasady zwrotu, ponieważ na podmioty lecznicze spadnie ciężar pokrycia strat wynikających z nie pełnego zużycia opakowania leku, zwłaszcza w przypadku produktów dawkowanych indywidualnie na kilogram masy ciała lub centymetr powierzchni ciała pacjenta. To znacząco zmniejszy zainteresowanie podmiotów leczniczych oferowaniem pacjentom leczenia w trybie RDTL, a więc ograniczy dostępność tej procedury dla pacjentów.
20.	Art. 47n Ustawy o świadczeniach, wprowadzający dopuszczalność finansowania ze środków publicznych leku po zakończonym programie Zastosowania Podyktowanego Współczuciem	Nie jest jasne, w jakich okolicznościach, po zakończonym programie <i>compassionate use</i>, chory może otrzymać „finansowanie leku po zakończonym programie Zastosowania Podyktowanego Współczuciem”, skoro wnioskodawca dla programu ZPW jest zobowiązany kontynuować leczenie w ramach <i>compassionate use</i> do czasu uzyskania systemowej refundacji. W dodatku, jeśli chory „kończy skuteczną terapię” to nie ma powodu jej wznawiać (bo była skuteczna, doszło np. do wyzdrowienia). W naszej ocenie kryteria zastosowania tego trybu finansowania, a także jego relacja do zasad prowadzenia programów ZPW, wymagają doprecyzowania.

		Niezależnie, również w przypadku tego typu finansowania leczenia zwracamy uwagę na niezasadność wprowadzenia w ustępie 4 przesłanki akceptacji wniosku pod względem finansowym przez właściwy oddział wojewódzki Narodowego Funduszu Zdrowia, ze szczególnym uwzględnieniem dostępności najtańszego odpowiednika produktu leczniczego. Przyczyny, dla których uważamy wymóg takiej zgody za niezasadny, są opisane w punkcie 9 powyżej.
21.	Art. 47 ust. 6 Ustawy o świadczeniach, Wprowadzający zastrzeżenie, że finansowanie leku po zakończeniu programu ZPW jest dopuszczane wyłącznie w odniesieniu do produktów dopuszczonych do obrotu zgodnie z art. 3 Prawa Farmaceutycznego oraz dostępnych na rynku	Zastrzeżenie to radykalnie ogranicza zakres zastosowania możliwości finansowania leku po zakończeniu programu ZPW, ponieważ programy tego typu w ogromnej większości dotyczą leków niedopuszczonych do obrotu, np. tuż po zakończonych badaniach klinicznych lub wręcz jeszcze w trakcie ich trwania. W związku z tym, to ograniczenie spowoduje, że przepisy o finansowaniu leków po zakończeniu problemów ZPW pozostaną co do zasady martwe.
22.	Art. 47 ust. 9 Ustawy o świadczeniach, w myśl którego lek po zakończonym programie ZPW jest finansowany w oparciu o jego ilość podaną lub wydaną pacjentowi	W odniesieniu do tego przepisu zgłaszamy podobne zastrzeżenia, jak opisane w punkcie 19 powyżej, to jest dotyczące tego, że zaproponowane zasady finansowania leku w tej procedurze radykalnie ograniczoną zainteresowanie podmiotów leczniczych oferowaniem leczenia w tym trybie, z uwagi na ryzyko strat na lekach dawkowanych indywidualnie.
Zmiany w Ustawie o refundacji leków, środków Spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych		
23.	Art. 39 ust. 7 Ustawie o refundacji, wprowadzający obowiązkowe paybacki w ramach refundacji indywidualnej	Zgodnie z tym przepisem, w przypadku refundacji indywidualnej leków sprowadzone do Polski w trybie importu docelowego lub interwencyjnego, będących odpowiednikami leków posiadających pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, podmiot odpowiedzialny jest obowiązany do zwrotu części środków finansowych poniesionych na finansowanie tych leków, według wskazanych w przepisie progów. Zwracamy uwagę, że po pierwsze, przepis jest niejasny – z jego treści nie wynika w sposób jednoznaczny, który podmiot odpowiedzialny ma ponosić koszty obowiązkowych zwrotów: czy ten dla importowanego do Polski odpowiednika? Czy też podmiot odpowiedzialny dla leku zarejestrowanego i niedostępnego w obrocie? Po drugie, jeżeli prawidłowa jest ta druga interpretacja, to przepis jest dyskryminacyjny, ponieważ może on dotyczyć również sytuacji, w której odpowiednik także jest niedostępny w obrocie w Polsce i z tego powodu jest sprowadzany z zagranicy. Procedura importu docelowego co do zasady dotyczy leków niedostępnych w obrocie. Po trzecie, w takiej sytuacji mamy znów do czynienia z obowiązkiem finansowym podmiotu odpowiedzialnego, wynikającym z okoliczności, za które on nie odpowiada, czyli ze sprowadzenia z zagranicy odpowiednika danego leku.

