

## PRIORYTETY W OCHRONIE ZDROWIA 2021

# Fundusz Medyczny a terapię przełomowe

Agata Misiurewicz-Gabi

**W debacie uczestniczyli:**

- prof. dr hab. n. med. **Piotr Czauderna**, kierownik Kliniki Chirurgii i Urologii Dzieci i Młodzieży Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego, koordynator Sekcji Ochrony Zdrowia Narodowej Rady Rozwoju
  - prof. dr hab. n. med. **Katarzyna Kotulska-Jóźwiak**, Klinika Neurologii i Epileptologii w Instytucie „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka” w Warszawie, przewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego do spraw Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni
  - **Stanisław Maćkowiak**, Federacja Pacjentów Polskich, Krajowe Forum na rzecz Terapii Chorób Rzadkich
  - prof. dr hab. n. med. **Maria Mazurkiewicz-Bełdzińska**, kierownik Kliniki Neurologii Rozwojowej Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego, przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Neurologii Dziecięcej
  - **Maciej Miłkowski**, podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia
  - **Kacper Ruciński**, współzałożyciel i członek Rady Strategicznej Fundacji SMA
  - dr n. med. **Roman Topór-Mądry**, prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
  - **Magdalena Władysiuk**, HTA Consulting
- Moderator: redaktor **Bartosz Kwiatek**



W listopadzie 2020 r. weszły w życie przepisy ustawy o Funduszu Medycznym, z którego mają być finansowane m.in. dostęp do innowacyjnych technologii lekowych, modernizacja infrastruktury medycznej i profilaktyka. Podczas konferencji *Priorytety w Ochronie Zdrowia 2021* paneliści zastanawiali się, czy w związku z tym pojawi się szansa na wczesny dostęp do terapii dla pacjentów z chorobami onkologicznymi i chorobami rzadkimi.

Zasadniczym celem Funduszu Medycznego jest wsparcie działań zmierzających do poprawy zdrowia i jakości życia pacjentów w Polsce przez zapewnienie dodatkowych źródeł finansowania, m.in. leczenia chorób cywilizacyjnych, w tym chorób nowotworowych i chorób rzadkich. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) jest zobowiązana do sporządzania raz w roku listy leków, które miałyby być sfinansowane z Funduszu, z kolei dysponentem Funduszu jest minister zdrowia, który prowadzi negocjacje finansowe z producentami leków i podejmuje ostateczne decyzje.

**Niezaspokojone potrzeby medyczne**

W ustawie jest mowa o niezaspokojonych potrzebach medycznych, czyli o umożliwieniu pacjentom dostępu do terapii i leczenia za granicą w sytuacji, gdy nie ma takiej możliwości w Polsce, a także bezlimitowym leczeniu dzieci i młodzieży do 18. roku życia, co często dotyczy chorób

rzadkich. Autorzy projektu liczą na to, że dzięki ustawie zostaną wprowadzone rozwiązania, które zachęcą firmy farmaceutyczne do rozpoczęcia procesu negocjacyjnego czy składania wniosków refundacyjnych.

– *Fundusz Medyczny ma szansę stać się ważną częścią polskiego systemu ochrony zdrowia. Wiemy, że refundacja wielu leków jest u nas opóźniona, a koszty nowych leków są gigantyczne. Z drugiej strony rosną oczekiwania pacjentów. Wzorując się na takich krajach, jak Włochy, Francja, Wielka Brytania czy Holandia, uznaliśmy, że należy stworzyć dwie ścieżki dostępu polskich pacjentów do leków. Jedną z nich jest dostęp indywidualny, który w pewnym sensie już istniał, czyli tzw. ratunkowy dostęp do technologii lekowych. Został on przeniesiony na niższy poziom – szpitali wojewódzkich. Potrzebne są też mechanizmy, które będą stymulowały producentów do składania wniosków refundacyjnych.*



”  
dr Roman Topór-Mądry: Proces wbudowany w Fundusz Medyczny umożliwia szybkie podejmowanie decyzji przy wprowadzaniu wartościowych dla pacjentów terapii

*Drugą ścieżką jest grupowy dostęp do terapii – do tej pory w Polsce nie było takiej możliwości. To jest rodzaj poczekalni, która umożliwia producentowi leków wejście do systemu. Dzięki temu możemy się przekonać, czy rzeczywiście lek jest tak skuteczny i tak bezpieczny, jak deklaruje producent, co będzie się wiązało z rejestrem. Ten okres trwa do 2 lat. W tym czasie musi być złożony wniosek refundacyjny. AOTMiT ma zidentyfikować niezaspokojone potrzeby medyczne i leki, które mogą je zaspokoić. To się będzie odbywało w formie corocznego wykazu. Docelowo Fundusz będzie dysponował ok. 4 mld zł rocznie. To nowe środki, które będą wliczane do ustawy o 6 proc. PKB, czyli do łącznej puli pieniędzy przeznaczanych na ochronę zdrowia w Polsce. Jak ten mechanizm zadziała – dowiemy się za rok czy dwa. Mam nadzieję, że się sprawdzi i na stałe pozostanie w polskim systemie ochrony zdrowia – wyjaśnia prof. Piotr Czauderna.*

# PRIORYTETY W OCHRONIE ZDROWIA 2021

► – Pojawia się pytanie, co jest tą niezaspokojoną potrzebą medyczną. Czy stan, gdy nie ma terapii, czy też standardowa choroba przewlekła, którą leczymy przez kilkadziesiąt lat. Aby właściwie oszacować potrzeby zdrowotne, ale też zasoby, które są potrzebne do ich zaspokojenia, potrzebne są rejestry medyczne zarówno chorób rzadkich, jak i powszechniejszych – onkologicznych. Ważne jest, że proces wbudowany w Fundusz Medyczny umożliwia szybkie podejmowanie decyzji przy wprowadzaniu wartościowych dla pacjentów terapii. Pojawiają się komentarze, że ten okres powinien być dłuższy, może 5 lat. Oczywiście istnieje wstępna możliwość jego przedłużenia przez ministra nawet po 2 latach. AOTMiT ma prowadzić monitoring stosowania i efektów leków. To pozwoli na podjęcie przez ministra decyzji co do kontynuacji leczenia – komentuje dr Roman Topór-Mądry.

– Dzięki Funduszowi mamy zdecydowanie większe możliwości finansowe. Nie dotyczy to jednak leków populacyjnych, np. leków na cukrzycę czy niewydolność serca, które nadal oczekują na wejście do terapii. Ten budżet ma być przeznaczony na dwie grupy technologii lekowych, które będą procedowane równoległe do normalnego systemu i będą miały szybszą ścieżkę w Komisji Ekonomicznej. Jest zresztą określony czas 30 dni do terminu negocjacji, w którym negocjujące strony będą musiały uzgodnić zarówno instrument dzielenia ryzyka, związany z efektem klinicznym leczenia, jak i zapisy rejestru medycznego. Pozostaje jeszcze najistotniejsza kwestia, czyli środki finansowe, które są dookreślone i nie mogą być zbyt wysokie. Nie możemy w bieżącym roku wydać więcej niż 50 proc. pieniędzy na leki. Dlatego jeśli ktokolwiek myśli, że wydamy 500 mln zł na jakiś lek, to musi o tym zapomnieć – przestrzega Maciej Miłkowski.

– Przez wiele lat były tylko deklaracje, że zwiększą się fundusze na ochronę zdrowia, i zazwyczaj na nich się kończyło. Od wejścia ustawy ministra Konstantego Radziwiła o 6 proc. PKB na zdrowie mamy taką sytuację prawną, że wymagany jest wzrost nakładów i on rzeczywiście następuje. Długo zabiegaliśmy o to, żeby znalazły się dodatkowe pieniądze na finansowanie leków stosowanych w chorobach rzadkich. Powstanie Funduszu Me-

”

Według raportu ORPHANET na początku 2020 r. na 341 leków zarejestrowanych w Unii Europejskiej do stosowania w terapii chorób rzadkich w Polsce refundowano 123 (ok. 36 proc.), przy czym średnia europejska wynosi 251 leków (ok. 74 proc.)

dycznego tworzy systemowy mechanizm finansowania leczenia chorych na choroby rzadkie. W tym momencie przeszliśmy od deklaracji do czynów – mówi Stanisław Maćkowiak.

O szczególnym podejściu do finansowania leków sierocych była już mowa w Polityce Lekowej Państwa przyjętej w 2018 r. uchwałą Rady Ministrów. Rozwinięcie tego podejścia znalazło się w Narodowym Planie dla Chorób Rzadkich (NPChR), który jest na ukończeniu i według deklaracji ministra Gadomskiego lada chwila będzie przyjęty i wdrażany. Tam też są założenia wykorzystania środków z Funduszu Medycznego do realizacji określonych zadań zawartych w NPChR. Formuła możliwości finansowania niezaspokojonej potrzeby medycznej zawarta w ustawie o Funduszu Medycznym daje szansę na opłacanie leków sierocych (również przełomowych terapii genetycznych) nier refundowanych w Polsce, które dotychczas było niemożliwe.

Należy pamiętać, że refundacja leków dla chorych na choroby rzadkie w Polsce w porównaniu z innymi krajami Unii Europejskiej jest opóźniona o kilka lat, a ich dostępność niewielka.

Według raportu ORPHANET na początku 2020 r. w Unii Europejskiej było zarejestrowanych 105 leków ze statusem leku sierociego, z czego w Polsce refundowano 21 leków (ok. 20 proc.), natomiast 236 bez takiego statusu – w Polsce refundowano 102 (43 proc.). Łącznie na 341 leków do stosowania w terapii chorób rzadkich w Polsce refundowano 123 (ok. 36 proc.), przy czym średnia europejska wynosi 251 leków (ok. 74 proc.).

– Pomimo znacznego wzrostu liczby refundowanych leków na choroby rzadkie w ostatnich latach, dostęp do nich jest ograniczony. Mamy nadzieję, że ten trend w refundacji będzie zachowany, a Fun-

dusz Medyczny jeszcze przyspieszy dostępność terapii. Będzie to wyrównanie szans dla pacjentów z chorobami rzadkimi w porównaniu z pacjentami z chorobami populacyjnymi – uważa Stanisław Maćkowiak.

## Dla kogo terapia genowa?

Od 2 lat w Polsce działa z sukcesem program lekowy dla chorych na rdzeniowy zanik mięśni (spinal muscular atrophy – SMA). Refundowany lek – nusinersen – znacznie poprawił sprawność chorych na SMA, a w przypadku podania go u dzieci, u których nie pojawiły się jeszcze objawy choroby, sprawił, że rozwinęły one zupełnie zdrowy fenotyp. Tymczasem kolejną nadzieją dla chorych jest terapia genowa, czyli onasemnogen abeparwovek (Zolgensma). Czy on również odniesie sukces?

– Mamy bardzo dobrze funkcjonujący program lekowy, który refunduje nusinersen – pierwszy lek zarejestrowany w leczeniu SMA. Bardzo szybko udało nam się objąć terapią niemal całą polską populację, nie tylko pacjentów świeżo zdiagnozowanych, lecz także tych, którzy od lat chorowali i czekali na możliwość leczenia. Dzięki Systemowi Monitorowania Programów Terapeutycznych (SMPT) możemy monitorować tempo włączania pacjentów, podawanie im leku, skuteczność i bezpieczeństwo leczenia. Jesteśmy po wstępnych obliczeniach statystycznych dotyczących skuteczności terapii u pacjentów włączonych ponad półtora roku temu. Niedługo prześlemy do Ministerstwa Zdrowia raport, z którego wynika, że mamy dobry dostęp do leku i również bardzo wysoką skuteczność leczenia – zapowiada prof. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak.

– W tej chwili mamy w Polsce dwa dopuszczone do obrotu leki do leczenia SMA: nusinersen i onasemnogen abeparwovek (Zolgensma). Decyzja o wyborze terapii wymaga wiedzy o profilu bezpieczeństwa i skuteczności obu leków, i to najlepiej w odniesieniu do różnych grup pacjentów. Kluczowe jest więc gromadzenie danych nie tylko z badań klinicznych, lecz także porejestacyjnych, z praktyki klinicznej. W przypadku terapii genowej jest to utrudnione, ponieważ lek podaje się raz w życiu. Nie wiadomo, czy pacjenci będą korzystali z opieki zdrowotnej tam, gdzie dostali lek. My z kolei chcemy mieć długofalowe dane na temat bezpieczeństwa i skuteczności. To jest temat, o którym trzeba rozmawiać i zastanowić się, w jaki sposób zorganizować obowiązkowe badania kontrolne – mówi prof. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak.

– Terapia genowa w leczeniu SMA jest skierowana do najmłodszych pacjentów w najłżejszym stanie, u których nie pojawiły się jeszcze objawy choroby. Pacjentowi podaje się dożylnie jeden zastrzyk, który zgodnie z deklaracją producentów ma wystarczyć na całe życie. Chcemy wierzyć, że terapia genowa zastosowana w pierwszym lub drugim miesiącu życia spowoduje, że pacjent rozwinie zdrowy fenotyp i nie będzie dla systemu opieki zdrowotnej stanowił żadnego problemu. Czy tak będzie i lek okaże się skuteczny – czas pokaże. Czy terapia ta będzie skuteczna za 10 lat? Tego jeszcze nie wiemy, ponieważ mamy dane dotyczące 3, 4, 5 lat leczenia. Natomiast bez stworzenia szansy oceny tej skuteczności nie będzie postępu – komentuje prof. Maria Mazurkiewicz-Beldzińska.



PAP/Rafał Guź

”

prof. Piotr Czauderna: Docelowo Fundusz Medyczny będzie dysponował ok. 4 mld zł rocznie.

To nowe środki, które będą wliczane do ustawy o 6 proc. PKB, czyli do łącznej puli pieniędzy przeznaczanych na ochronę zdrowia w Polsce



”

Magdalena Władysiek: Uważam, że ustawa o Funduszu Medycznym dopuszcza mechanizmy, które pozwolą stosować terapie genowe w Polsce. Pozostaje tylko kwestia skutków krótkoterminowych i długoterminowych



”

Stanisław Maćkowiak: Mamy nadzieję, że trend w refundacji będzie zachowany, a Fundusz Medyczny jeszcze przyspieszy dostępność terapii. Będzie to wyrównanie szans dla pacjentów z chorobami rzadkimi w porównaniu z pacjentami z chorobami populacyjnymi



– Przyglądając się danym z badań klinicznych dotyczących terapii genowej, widzimy, że działa rewelacyjnie u dzieci na bardzo wczesnym etapie choroby. W ciągu pierwszych 2 tygodni – miesiąca doświadczają one poprawy nieosiągalnej innymi lekami: 20–30 punktów w skali CHOP-INTEND. Świat medycyny spodziewa się, że efekt tej jednorazowej terapii utrzyma się przez wiele dekad, prawdopodobnie przez całe życie. Obecnie jednak tego nie wiemy. Dostępne dane dotyczą tylko ok. 5 lat stosowania i dlatego należy wypracować mądry mechanizm podziału ryzyka, aby płatnik publiczny płacił za osiągnięte efekty lecznicze, a tam gdzie dowody są słabsze, część ryzyka ponosił producent. Wiem, że minister i jego zespół mają duże możliwości i są w stanie wynegocjować z producentami większą elastyczność cenową, toteż liczę na szybkie rozpoczęcie rozmów na temat zrefundowania tej bardzo potrzebnej opcji terapeutycznej – mówi Kacper Ruciński.

### Badania przesiewowe w kierunku SMA

– Przeanalizowaliśmy grupę pacjentów urodzonych w 2019 r. Częstość występowania SMA wynosi wg nowych danych niemieckich 1 na 7500 urodzeń. W Polsce powinno być zatem ok. 50 dzieci z rozpoznaniem SMA urodzonych w tym roku. W programie już teraz jest 44 pacjentów objętych leczeniem urodzonych w 2019 r. Oznacza to, że jedynie kilkoro dzieci jest jeszcze w okresie przedobjawowym. Spośród tych 44 pacjentów, którzy już są leczeni, połowa wymaga wsparcia respiratora. Zaledwie 2 osoby z tej grupy zostały włączone do leczenia przed wystąpieniem objawów, czyli na podstawie badania genetycznego. Było to możliwe dlatego, że ich rodzeństwo chorowało na SMA. Tych dwoje dzieci rozwija się zupełnie prawidłowo i nie wymaga ani wsparcia oddechowego, ani innych kosztownych świadczeń dodatkowych. To pokazuje, że włączenie SMA do badań przesiewowych pozwoli uzyskać dużo lepsze efekty leczenia, które i tak u tych pacjentów zastosujemy w ramach programu lekowego – tłumaczy prof. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak [18 lutego minister zdrowia podpisał decyzję w sprawie przesiewu wszystkich nowo narodzonych dzieci w kierunku SMA na podstawie wydanej przez AOTMiT pozytywnej oceny przesiewu w kierunku SMA – przypis red.].



prof. Maria Mazurkiewicz-Beldzińska: Chcemy wierzyć, że terapia genowa zastosowana w pierwszym lub drugim miesiącu życia spowoduje, że pacjent rozwinię zdrowy fenotyp i nie będzie dla systemu opieki zdrowotnej stanowił żadnego problemu



Maciej Miłkowski: Wiedząc, jakie leki mogą wejść do katalogu oraz być finansowane i negocjowane z Komisją Ekonomiczną, nie ma możliwości, żeby Zolgensma nie znalazła się na tej liście

– Mamy do czynienia z niebywale innowacyjną terapią genową, ale warto wspomnieć, że jest jeszcze inna terapia w postaci leku doustnego. Wkrótce będzie ona pukać do naszych drzwi i nad nią też będziemy musieli się pochylić – zapowiada prof. Maria Mazurkiewicz-Beldzińska.

### Czy Fundusz sfinansuje najdroższy lek świata?

Pacjenci i lekarze z nadzieją patrzą na Fundusz Medyczny i zastanawiają się, czy pokryje on koszty terapii genowej, czyli najdroższego leku na świecie – Zolgensmy, którego cena za jedną kurację wynosi ponad 2 mln dolarów. Jak uważa prof. Piotr Czauderna, takich kosztów nie jest w stanie udźwignąć żaden system ochrony zdrowia, nawet w krajach bogatszych niż Polska. – Czy Zolgensma zostanie sfinansowana z Funduszu Medycznego? To zależy od tego, co znajdzie się w wykazie przygotowanym przez AOTMiT i jakie decyzje ostatecznie podejmie Ministerstwo Zdrowia. Niemniej ten mechanizm grupowy jest przewidziany dla chorób rzadkich i onkologii, więc jest to możliwe. Pamiętajmy jednak, że na SMA choruje się przez całe życie, a Zolgensma jest w użytku klinicznym od kilku lat, w Unii Europejskiej jest finansowana od kilku miesięcy i tylko w niektórych krajach. Nadal jest wiele niewiadomych. Nie wiemy, jak wygląda wzajemna relacja z nusinersenem, którzy pacjenci bardziej skorzystają z jednego leku, a którzy z drugiego, czy można stosować je zamiennie i czy jedna dawka Zolgensmy, jak deklarują producenci, wystarczy na całe życie – wylicza prof. Piotr Czauderna.

– Uważam, że ustawa o Funduszu Medycznym dopuszcza mechanizmy, które pozwolą stosować terapię genową w Polsce. Pozostaje tylko kwestia skutków krótkoterminowych i długoterminowych. Pojawia się pytanie, czy to, co widzimy w SMPT, ma kształt rejestru i czy wystarczy do oceny efektów krótkoterminowych i długoterminowych. Czy rok będzie wystarczającym okresem, żeby sprawdzić, czy terapia działa? Nie wiadomo też, jakie będą wymagania AOTMiT względem zakresu zapisów wykazu. Mimo że ustawa o Funduszu zakłada szybkie wchodzenie nowych terapii, już w tej chwili czeka kilka leków zarejestrowanych w 2020 r. Wykaz ma być w lutym i liczę na szybkie wypuszczenie listy i przygotowanie do negocjacji. Uważam, że terapia genowa z punktu widzenia unmedical need, nadal stoi przed oczekiwaniami

”



prof. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak: Włączenie SMA do badań przesiewowych pozwoli uzyskać dużo

lepsze efekty leczenia, które i tak u tych pacjentów zastosujemy w ramach programu lekowego

dotyczącymi rokowania i jakości życia pacjentów z SMA. Jej skutkiem krótkoterminowym jest szansa na poprawę jakości życia chorych i zmniejszenie olbrzymich obciążeń rodzinnym, takich jak częściowa lub całkowita rezygnacja z pracy, obowiązki związane z transportem chorego czy jego wizytami w szpitalu. Z kolei długoterminowo jest sposobem na zniesienie obciążeń systemowych i obniżenie kosztów funkcjonowania systemu – wyjaśnia Magdalena Władysiuk.

Zdaniem ministra Macieja Miłkowskiego terapia genowa w leczeniu SMA może być finansowana z Funduszu Medycznego, jednak rozważając tę decyzję, należy wziąć pod uwagę, że stosowany obecnie lek – nusinersen – jest skuteczny i ma dobre wyniki: – Na podstawie danych z 2019 r. wiemy, że mężczyźni będą żyli 74 lata, a kobiety prawie 82 lata. Na pewno przyjmując 80-letnią perspektywę analiz, nie ma możliwości, żeby terapia genowa była tańsza niż terapia nusinersenem. W związku z tym przy aktualnej stopie dyskontowej, którą stosuje AOTMiT, czyli 5 proc., ta terapia jest totalnie nieefektywna i nie ma żadnej możliwości, żeby kiedykolwiek była w Polsce dopuszczona. Przy szacunkowej cenie, która jest znana, i liczbie pacjentów, których mamy rocznie do 60, gdybyśmy ją przyjęli po cenie proponowanej przez producenta, znaczyłoby to, że przez 4 lata nie będziemy mieć możliwości wprowadzenia jakiegokolwiek innej technologii lekowej. Myślę, że to nie jest dobra wiadomość dla innych obywateli, że jedną terapią lekową na tak długi czas zamrażamy jakiegokolwiek innej terapii i negocjacje z firmami farmaceutycznymi. Wiedząc, jakie leki mogą wejść do katalogu oraz być finansowane i negocjowane z Komisją Ekonomiczną, nie ma możliwości, żeby Zolgensma nie znalazła się na tej liście. Wątpię jednak, żeby firma wyraziła zgodę na to, żebyśmy w 80. roku życia pacjenta zapłacili jej za lek 5–6 mln zł. Początkowo myśleliśmy o okresie 10 lat, ale widać, że nawet 80 lat zupełnie nie mieści się w zakresie naszych możliwości. Będziemy na ten temat rozmawiali, ale na pewno nie będzie łatwo.

– Udało się przedłużyć refundację programu leczenia SMA lekiem nusinersen, jakkolwiek negocjacje przed Komisją Ekonomiczną i potem przed Ministerstwem Zdrowia były bardzo trudne. Dziękuję paniom profesor za przekazywanie merytorycznych informacji o tym, jak pacjenci są diagnozowani i ilu jeszcze czeka na włączenie do terapii. Widzimy, że w ciągu najbliższych 2 lat liczba pacjentów włączonych do programu lekowego się zwiększy, a w ciągu 4 lat prawie cała populacja powinna być zabezpieczona. Wiem, że kolejny lek – w tabletkach, ma dosyć skuteczne badania kliniczne. Mam nadzieję, że po 2-letnim okresie refundacji będzie można zastosować kolejną terapię – podsumowuje Maciej Miłkowski. ■

