

# Stanowisko i odpowiedź...

W dniu 07.05.2014r. Ministrowi Zdrowia panu Bartoszowi Arłukowiczowi przekazane zostało stanowisko [Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich](#) dotyczące leczenia choroby Niemann-Picka. Oto jego treść:

*Parlamentarny Zespół ds. Chorób Rzadkich na posiedzeniu w dniu 22 kwietnia 2014 roku zapoznał się ze stanowiskiem ekspertów oraz przedstawicieli środowisk pacjentów dotyczącym leczenia choroby Niemann-Picka.*

*Zespół w dniu 22 kwietnia br. mając na uwadze zarówno aspekty merytoryczne jak również istotne potrzeby społeczne i zdrowotne postanowił przedstawić swoje stanowisko w sprawie objęcia leczeniem pacjentów z chorobą Niemann-Picka typu C.*

*Mamy nadzieję, że będzie ono pomocne dla Ministra Zdrowia przy wydaniu ostatecznej decyzji administracyjnej w zakresie refundacji leczenia dla pacjentów dotkniętych tą chorobą.*

*Zważywszy, że:*

*1. Ministerstwo Zdrowia w 2012 roku nie wdrożyło programu lekowego dla dzieci z chorobą Niemann-Picka Typu C, przygotowanego w oparciu o pozytywną opinię Prezesa AOTM z marca 2011 roku.*

*Rzecznik Prasowy Ministra publicznie zapowiedział uruchomienie programu leczenia dla tych pacjentów najpóźniej jesienią 2011 roku. Jednak tak się nie stało. Minister Zdrowia, po wejściu w życie ustawy refundacyjnej, ponownie skierował sprawę do AOTM w 2013 roku. Prezes AOTM w tej samej sprawie wydał negatywną rekomendację z powodu kosztów leczenia przekraczających wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia określonego w art. 12 pkt. 13 ustawy refundacyjnej. W rezultacie Minister Zdrowia wydał negatywną decyzję refundacyjną.*

2. Przeprowadzona przez Ministra Zdrowia ocena Wniosku refundacyjnego, w uzasadnieniu odmowy o refundacji leku miglustat, zupełnie pomija pozytywne rekomendacje wybitnych polskich specjalistów z zakresu neurologii, takich jak: prof. Barbara Steinborn, prof. Marek Kaciński czy prof. Janusz Wendor.

3. Literatura światowa w zakresie efektywności klinicznej czytelnie opowiada się za celowością zastosowania w/w leku w leczeniu choroby NPC, zwłaszcza w przypadku pacjentów z nieznacznym stopniem zaawansowania choroby. Zaznaczyć należy, że brak jest alternatywnego dla leku miglustat leczenia specjalistycznego, a standardowe leczenie farmakologiczne polega tylko na opiece paliatywnej.

4. W grudniu 2013 roku opublikowane zostały najnowsze, poszerzone badania potwierdzające efektywność kliniczną terapii lekiem miglustat. Nigdzie w Unii Europejskiej nie kwestionuje się skuteczności w/w terapii. Programy lekowe w leczeniu choroby NPC funkcjonują obecnie w ponad 44 krajach świata, w tym w większości państw Unii Europejskiej.

5. Mając na uwadze potrzebę egalitarnego traktowania chorób rzadkich, w tym ultra – rzadkiej choroby Niemana-Picka oraz fakt, iż niezbędne jest (vide: Konkluzje z Debaty Publicznej Europlan 28/09/2013) zgoła odmienne finansowe podejście do zagadnień efektywności kosztowej, wskazane jest aby Minister Zdrowia przy wydaniu ostatecznej decyzji refundacyjnej odstąpił od uwzględniania kryterium wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia określonego w art. 12 pkt. 13 ustawy refundacyjnej.

6. Ze względu na niewielką liczbę pacjentów, wzrost wydatków płatnika na leczenie nielicznej grupy pacjentów dotkniętych chorobą Niemana-Picka nie będzie znaczący z punktu bezpieczeństwa budżetowego płatnika. Koszt terapii nie powinien stanowić podstawy do odmowy dla pozytywnej decyzji refundacyjnej.

*7. W przypadku podejmowania decyzji refundacyjnej dotyczącej leczenia NPC Minister Zdrowia powinien kierować się przede wszystkim dobrem młodocianych Pacjentów, zwłaszcza ze względu na ultra-rzadki charakter choroby oraz istotność społeczną jej leczenia.*

*Zespół Parlamentarny ds. Chorób Rzadkich rekomenduje Ministrowi Zdrowia RP pilne wdrożenie programu lekowego terapii lekiem miglustat dla wyselekcjonowanej grupy najlepiej rokujących zatrzymanie postępu choroby pacjentów z chorobą Nicmana-Pieka, co zapewni chorym zachowanie sprawności i godności w chorobie.*

Wyjątkowo, na odpowiedź Ministra Zdrowia nie musieliśmy długo czekać. Może dlatego, że jest ona wyjątkowo krótka. Posłuchajcie sami (posiedzenie Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich z 27.05.2014r., referuje Łukasz Pera – Departament Polityki Lekowej i Farmacji MZ)\*:

<http://elizabanicka.pl/video/odpowiedz.mp4>

W związku z tym, że w dalszym ciągu nie widać żadnych oznak dobrej woli ze strony urzędników Ministerstwa Zdrowia, producent leku nie rozważa możliwości ponownego złożenia wniosku. Przychylamy się do opinii, że w tej sytuacji byłoby to bezcelowe.

\*Nagranie pochodzi ze strony Sejmu RP.