

Warszawa, 5 marca 2021 r.

CML/0081/03/2021/BO/BR

**Pan
Sławomir Gadomski
Podsekretarz Stanu
w Ministerstwie Zdrowia**

Dotyczy: uwag do Planu dla Chorób Rzadkich

Szanowny Panie Ministrze,

w związku z przekazaniem do prekonsultacji projektem Planu Chorób Rzadkich, Pracodawcy RP pragną wyrazić uznanie dla przygotowanych rozwiązań oraz formuły prowadzenia rozmów z partnerami społecznymi. Liczymy na to, że prekonsultacje zagoszczą na zawsze w standardach legislacyjnych resortu zdrowia. Jednocześnie Pracodawcy RP przedkładają poniższe uwagi dotyczące niżej wskazanych „Zadań” opisanych w przedmiotowym dokumencie:

- 1) Zadanie 3. Wsparcie rozwoju i wykorzystania zaawansowanych instrumentów podziału ryzyka.

Zaproponowane rozwiązania dot. instrumentów dzielenia ryzyka, które będą uzależniały refundację od wyników terapii oraz zróżnicowanie okresów obowiązywania decyzji o refundacji, nie do końca są zrozumiałe. Poza tym obawiamy się, że wprowadzenie nowych, odrębnych okresów obowiązywania decyzji mocno zdestabilizuje system – zarówno dla wnioskodawców, jak i dla pacjentów.

- 2) Zadanie 4. Uproszczona procedura wnioskowania o refundację leków o niewielkim wpływie na budżet płatnika.

Zaproponowane rozwiązania dot. uproszczenia analiz farmakoekonomicznych/analiz wpływu na budżet nie do końca są zrozumiałe i nie bardzo wiadomo jak mają przyczynić się do zwiększenia dostępności pacjentów do nowoczesnych terapii stosowanych w chorobach rzadkich i ultrarzadkich.

3) Zadanie 5. Inne zadania wymagające nowelizacji ustawy refundacyjnej.

Słuszne są zaproponowane rozwiązania dot. odstąpienia od wymogu udowodnienia dostępności w obrocie leków przy wnioskowaniu o refundację. Niestosownie jednak mają one dotyczyć tylko niektórych kategorii produktów, np. radiofarmaceutyków i terapii personalizowanych. Ponadto zaproponowany wymóg składania dowodu dostępności leku w obrocie jest dużym utrudnieniem przy refundacji wszystkich leków w chorobach rzadkich, które często muszą być sprowadzane do polskiej hurtowni w ilości jednego opakowania specjalnie po to, by móc złożyć wniosek o refundację. Zasadnym rozwiązaniem byłoby w tej sytuacji składanie razem z wnioskiem oświadczenia o gotowości zapewnienia dostępności produktu w razie uzyskania decyzji refundacyjnej.

4) Zadanie 6. Opracowanie procedury rozszerzenia refundacji leku o dodatkowe pozarejestrycyjne wskazania „choroby rzadkie”.

W zaprojektowanych rozwiązaniach dot. opracowania procedury rozszerzania refundacji leku o dodatkowe wskazanie off-label w chorobie rzadkiej budzą wątpliwości, ponieważ z góry przyjęto założenie, że będą to decyzje wydawane przez Ministra Zdrowia.

5) Zadanie 7. Opracowanie zasad prowadzenia programów CU oraz Zadanie 8. Opracowanie zasad prowadzenia PWD.

Pozytywnie opiniujemy zaproponowane rozwiązanie dot. uregulowania procedury wnioskowania i uzyskiwania zgody na tzw. compassionate use – czyli na dostęp pacjentów do niezarejestrowanych nigdzie leków, w sytuacjach ratujących życie. Natomiast zaskakujący jest pomysł uregulowania programów wczesnego dostępu – programów stosowania leków już zarejestrowanych, ale przed ich refundacją, które obecnie toczą się zupełnie swobodnie i nie wymagają żadnej ingerencji. Poza tym wątpliwości budzi zastrzeżenie, iż zarówno compassionate use, jak i programy wczesnego dostępu mogą być prowadzone wyłącznie na koszt firmy. To rozwiązanie ogranicza dotychczasowe praktyki – pacjent występował z wnioskiem o sfinansowanie leczenia lekiem niedopuszczonym do obrotu w ramach compassionate use, a zaproponowane w projekcie rozwiązania mają to wyłączyć.

Ponadto programy wczesnego dostępu często są realizowane odpłatnie (szpitale, w których leczą się pacjenci, muszą leki zakupić), ponieważ firmy mogą mieć wewnętrzne zakazy np. darowizn leków do szpitali, ale leki są sprzedawane po 1 złotych za opakowanie. Pojawia się tu zatem 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. Zaproponowana ingerencja w obszar programów wczesnego dostępu wydaje się dosyć dziwna, ponieważ procedury przewidują sprowadzanie leków w ramach normalnego, porejestacyjnego ich stosowania.

Ponadto poza wyżej wymienionymi uwagami proponujemy uzupełnić projekt Uchwały lub Planu o konieczność monitorowania wdrażania Planu Chorób Rzadkich i cyklicznym publikowania informacji o postępach wdrażania Planu.

Z wyrazami szacunku

Wiceprezydent Pracodawców RP



Dr Andrzej Mądrala