



# Minister Zdrowia

Warszawa, 2015-07-20

PLA.4600.271.2015.DJ

Pan  
Szymon Chrostowski  
Prezes  
Polskiej Koalicji Pacjentów Onkologicznych  
Rzeczypospolitej Polskiej  
ul. Piękna 28/34 lok. 53  
00-547 Warszawa

*Szanowny Panie Prezede!*

W odpowiedzi na list otwarty pacjentów i ich bliskich w sprawie objęcia refundacją terapii celowanej stosowanej u chorych na mielofibrozę (lek o nazwie handlowej Jakavi), sygnowany przez Polską Koalicję Pacjentów Onkologicznych, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Na wstępie pragnę podkreślić, iż jednym z głównych celów działań podejmowanych przez Ministra Zdrowia, jako inicjatora i koordynatora polityki państwa w zakresie ochrony zdrowia, jest zapewnienie pacjentom dostępu do skutecznych i bezpiecznych terapii, w tym innowacyjnych terapii lekowych o skuteczności klinicznej popartej twardymi dowodami naukowymi oraz znanym i akceptowalnym profilem bezpieczeństwa.

W tym miejscu należy wskazać, iż zasady i tryb postępowania w zakresie objęcia refundacją produktu leczniczego określa ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 345).

Zgodnie z przepisami ww. ustawy, wszczęcie procedury objęcia refundacją produktu leczniczego w zakresie wskazań rejestracyjnych wymaga złożenia przez uprawniony

podmiot wniosku, o którym mowa w art. 24 ust. 1 pkt 1. W przypadku nowych leków, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, złożona dokumentacja zawiera analizy: kliniczną, ekonomiczną, wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i racjonalizacyjną. Minister Zdrowia przekazuje wniosek Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) w celu przygotowania analizy weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości i rekomendacji Prezesa. Agencja dokonuje oceny leku pod kątem skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania, efektywności kosztowej. Eksperti wypowiadają się w kwestii istnienia alternatywnych technologii medycznych. W kolejnym etapie procedowania Komisja Ekonomiczna działająca przy Ministrze Zdrowia, na podstawie art. 18 ustawy o refundacji, negocjuje z wnioskodawcą wysokość urzędowej ceny zbytu, poziom odpłatności, wskazania, w których lek ma być refundowany. Dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz uchwałą Komisji Ekonomicznej, Minister Zdrowia na podstawie art. 12 ww. ustawy o refundacji, podejmuje decyzję o objęciu refundacją bądź odmowie objęcia refundacją leku, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, przy uwzględnieniu następujących kryteriów:

- 1) stanowiska Komisji Ekonomicznej,
- 2) rekomendacji Prezesa Agencji,
- 3) istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,
- 4) skuteczności klinicznej i praktycznej,
- 5) bezpieczeństwa stosowania,
- 6) relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania,
- 7) stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym,
- 8) konkurencyjności cenowej,
- 9) wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców,
- 10) istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach, oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania,
- 11) wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3-10,

- 12) priorytetów zdrowotnych określonych w przepisach wydanych na podstawie art. 31a ust. 2 ustawy o świadczeniach,
- 13) wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz. U. Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia

- biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny.

Uprzejmie informuje, iż produkt leczniczy Jakavi został dopuszczony do obrotu na terytorium Unii Europejskiej w procedurze centralnej przez Komisję Europejską. Zgodnie z zakresem wskazań ujętych w Charakterystyce Produktu Leczniczego, lek Jakavi jest stosowany w leczeniu:

- powiększenia śledziona związanego z chorobą lub objawów występujących u dorosłych pacjentów z pierwotnym włóknieniem szpiku (znanym także jako przewlekłe idiopatyczne włóknienie szpiku), włóknieniem szpiku poprzedzonym czerwienicą (nadkrwistością) prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną,
- dorosłych pacjentów z czerwienicą prawdziwą, u których występuje oporność lub nietolerancja na leczenie hydroksymocznikiem.

Zgodnie z powyższym, wszczęcie postępowania o objęcie refundacją przedmiotowego leku stosowanego u chorych na mielofibrozę wymagało złożenia wniosku przez uprawniony podmiot.

Uprzejmie informuję, iż w dniu 15 marca 2013 r. do Ministra Zdrowia wpłynęły wnioski właściwego podmiotu odpowiedzialnego o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny produktu leczniczego Jakavi (trzy dawki leku), w ramach programu lekowego: *Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej*. Zgodnie z przepisami przywołanej wyżej ustawy o refundacji konieczne było uzyskanie analizy weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości i rekomendacji AOTMiT W związku z powyższym,

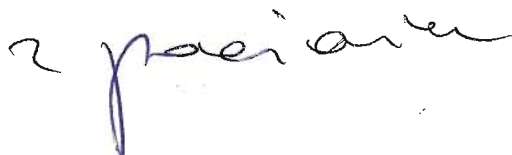
po uzgodnieniu treści programu lekowego, w dniu 5 marca 2014 r. kopie przedmiotowych wniosków zostały przekazane Prezesowi Agencji celem przygotowania ww. dokumentów. W dniu 12 maja 2014 r. Prezes Agencji wydał pozytywną Rekomendację nr 120/2014 w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Jakavi (ruksolitynib), w ramach wnioskowanego programu lekowego, podkreślając jednocześnie konieczność realnego obniżenia kosztu terapii z uwagi na brak efektywności kosztowej. Według oszacowań wnioskodawcy, przedstawionych w analizie ekonomicznej, koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (QALY), wyrażony w postaci inkrementalnego współczynnika kosztów-użyteczności (ICUR) wyniósł [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej: płatnika i pacjenta. Zatem ICUR jest ponad 4-krotnie wyższy niż obowiązujący próg efektywności kosztowej dla nowych technologii lekowych obejmowanych refundacją równy 3xPKB per capita, tj. [REDACTED]. Podkreślenia wymaga, iż zgodnie z zaproponowanym przez wnioskodawcę warunkami finansowymi miesięczny koszt terapii dla jednego pacjenta w zależności od przyjmowanej dawki kształtuje się na poziomie od ok. 20 tys. zł do ponad 30 tys. dla maksymalnej dawki dobowej określonej w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Warunki objęcia refundacją leku Jakavi były przedmiotem negocjacji Komisji Ekonomicznej z wnioskodawcą. Nie udało się jednak osiągnąć porozumienia gwarantującego efektywność kosztową omawianej technologii lekowej. Komisja Ekonomiczna, w przyjętym w drodze uchwały stanowisku, zaproponowane przez wnioskodawcę warunki uznała za nieodpowiednie.

W tym miejscu należy podkreślić, iż stosowanie leku Jakavi w rzadkiej chorobie nie może stanowić uzasadnienia do włączenia do funkcjonującego systemu refundacji terapii nieefektywnej kosztowo. Jak wskazano powyżej, ustawa o refundacji nakłada bowiem na Ministra Zdrowia obowiązek gospodarowania środkami pochodzącymi ze składek obywateli w sposób racjonalny, tj. zapewniający wszystkim obywatelom mającym zróżnicowane potrzeby zdrowotne sprawiedliwy dostęp do skutecznych terapii. Realizację równych i sprawiedliwych społecznie praw dostępu do leków dla wszystkich chorych, niezależnie od sytuacji majątkowej czy subiektywnie postrzeganej powagi choroby, zapewniają przejrzyste zasady prowadzenia postępowania w sprawie objęcia leku refundacją opisane w ustawie o refundacji oraz podejmowanie przez Ministra Zdrowia decyzji w przedmiotowym zakresie w oparciu o sprecyzowane kryteria ujęte w ww. art. 12, w tym kryterium prognozy uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego jakością.

Ponadto należy zauważyć, iż wyniki otrzymane z dwóch randomizowanych badań: COMFORT-I (porównanie leku Jakavi z placebo) oraz COMFORT-II (porównanie leku Jakavi z najlepszą dostępną terapią), włączonych do przedłożonej przez wnioskodawcę analizy klinicznej, wskazują jedynie na zmniejszenie wielkości śledziony w 24 tygodniu badania (vs najlepsza dostępna terapia) oraz w 24 i 48 tygodniu (vs placebo), przy czym nie jest jasne czy samo zmniejszenie objętości śledziony koreluje z objawami choroby. Z przedstawionych przez wnioskodawcę badań nie wynika również w sposób jasny czy podanie leku wywiera wpływ na przeżycie oraz progresję choroby. Należy przy tym zwrócić uwagę na działania niepożądane leku, w tym dotyczące anemii, trombocytopenii i neutropenii o różnym stopniu nasilenia (w tym 3. i 4. stopnia).

Jak wskazuje przegląd rekomendacji refundacyjnych wykonany podczas oceny leku przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, na pięć odnalezionych rekomendacji jedynie jedna jest pozytywna, trzy są negatywne, a jedna jest pozytywna warunkowo. Co więcej lek nie jest finansowany w żadnym kraju o zbliżonym do Polski poziomie PKB per capita. Odnalezione rekomendacje kliniczne prezentują zgodne stanowisko odnośnie wykorzystania ruksolitynibu w terapii konkretnych objawów towarzyszących mielofibrozie - rekomendowany w terapii splenomegalii w przebiegu mielofibrozy pierwotnej i wtórnej, nie dotyczą zaś terapii samej choroby.

Jednocześnie informuję, iż rozstrzygnięcie w przedmiotowej sprawie nie zostało podjęte przez Ministra Zdrowia. Jednak obecnie nie są prowadzone żadne czynności administracyjne w odniesieniu do omawianej terapii, gdyż postępowania zostały zawieszona na wniosek podmiotu odpowiedzialnego w dniu 14 sierpnia 2014 r. Wznowienie prac nad ewentualnym objęciem refundacją leku Jakavi będzie możliwe po złożeniu przez podmiot wniosków o podjęcie zawieszonych postępowań.



Z. upoważnienia  
MINISTRA ZDROWIA  
PODSEKRETARZ STANU

Igor Radziewicz-Winnicki