STANOWISKO ZARZĄDU POLSKIEGO TOWARZYSTWA MUKOWISCYDOZY W SPRAWIE RATUNKOWEGO DOSTĘPU DO TECHNOLOGII LEKOWYCH

„Terapia ratunkowa" odnosi się do krytycznego stanu zdrowia, kiedy zdolności regulacji homeostazy organizmu i kompensacji wynikającej z choroby wyczerpały się lub wkrótce ulegną wyczerpaniu pomimo zastosowania wszystkich innych dostępnych metod leczenia. U pacjentów z mukowiscydozą za taki stan należy uznać przewlekłą niewydolność oddechową wymagającą tlenoterapii i okres kwalifikacji do transplantacji płuc. Polskie Towarzystwo Mukowiscydozy (PTM) widzi pilną potrzebę rozszerzenia dostępu do modulatorów CFTR w ramach programu lekowego B.112. Natomiast kwalifikacja pacjentów z mukowiscydozą do takiego leczenia w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) na szeroką skalę bez uwzględnienia wymienionych powyżej kryteriów medycznych i traktowania jako rutynowy sposób leczenia jest niezasadna.

Aktualnie wszystkie krajowe ośrodki leczące chorych na mukowiscydozę zanotowały znaczny wzrost wniosków pacjentów o kwalifikację do modulatorów CFTR finansowanych w ramach RDTL. Znaczna część tychże wniosków nie spełnia warunku kwalifikacyjnych. Powyższe spowodowało, iż Zarząd Polskiego Towarzystwa Mukowiscydozy przyjmuje następujące stanowisko w przedmiotowej sprawie.

Wyjaśnić należy, iż Polsce od 1 marca 2022 r. w ramach programu lekowego B.112 dostępne są wszystkie 4 terapie modulatorami CFTR. Program lekowy B.112 finansowany jest przez Narodowy Fundusz Zdrowia (NFZ). Kryteriami kwalifikacji do poszczególnych produktów lekowych jest wiek i genotyp pacjenta. Obecnie terapię modulatorami CFTR otrzymuje około 1000 spośród 1700 chorych na mukowiscydozę. W związku z tym, że kryteria kwalifikacji do programu lekowego B.112 są węższe niż kryteria rejestracyjne poszczególnych produktów lekowych zawarte w Charakterystyce Produktów Leczniczych (ChPL), jedynie część pacjentów otrzymuje leczenie refundowane. **PTM od lat podejmuje szereg działań zmierzających do objęcia refundacją modulatorów CFTR zgodnie z kryteriami rejestracyjnymi.** Rozszerzenie programu lekowego B.112 jest tym bardziej uzasadnione, że w najbliższym czasie wysokoefektywna terapia trójcząsteczkowa (*elexacaftor, tezacaftor, ivacaftor* wraz z *ivacaftor*) zostanie dopuszczona do zastosowania na terenie EU u dzieci od 2. roku życia. Zatem rozbieżność między możliwością kwalifikacji do leczenia wynikającego z ChPL a możliwością finansowania przez NFZ ulegnie zwiększeniu.

Obecnie rozszerzenie programu lekowego B.112 dla wysokoefektywnej terapii trójcząsteczkowej od 6. roku życia zwiększyłoby grupę pacjentów kwalifikujących się do leczenia o około 250 osób, a rozszerzenie leczenia od 2. roku życia zwiększyłoby tę grupę o kolejnych 110 chorych.

Natomiast postulowane przez środowisko pacjenckie i niektóre media leczenie wszystkich pacjentów w ramach RDTL, którzy nie kwalifikują się leczenia finansowanego przez NFZ byłaby nieuprawnioną próbą obejścia ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (tak zwana ustawa refundacyjna). Co również istotne – biorąc pod uwagę dużą liczbę pacjentów, wysoki koszt leczenia oraz mechanizm finansowania - wdrożenie RDTL stanowiłoby realne zagrożenie stabilności finansowej podmiotów leczniczych biorących na siebie ciężar zakupu leków.

Ratunkowy dostęp do technologii lekowej jest szczególnym rodzajem świadczenia w systemie opieki zdrowotnej. Regulacje prawne dotyczące RDTL zostały określone w 47d. – 47i. ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz 33 ust. 2 i 3 ustawy z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym.

Podanie leku finansowanego w ramach RDTL podlega szczególnemu nadzorowi i możliwe jest w przypadku gdy:

- istnieje uzasadniona i wynikająca ze wskazań aktualnej wiedzy medycznej potrzeba zastosowania u świadczeniobiorcy leku, który nie jest finansowany ze środków publicznych w danym wskazaniu,
- podanie leku jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia świadczeniobiorcy we wskazaniu występującym u pacjenta,
- **zostały wyczerpane u danego świadczeniobiorcy wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych**,
- świadczeniodawca uzyskał pozytywną opinię konsultanta krajowego lub konsultanta wojewódzkiego w dziedzinie medycyny odpowiedniej ze względu na chorobę lub problem zdrowotny świadczeniobiorcy, która powinna zawierać ocenę zasadności zastosowania tego produktu leczniczego u danego świadczeniobiorcy,
- finansowanie dotyczy wyłącznie leku, który jest dopuszczony do obrotu zgodnie z art. 3 ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne lub pozostaje w obrocie na podstawie art. 29 ust. 5 lub 6 tej ustawy oraz jest dostępny na rynku.

Powyższe przesłanki muszą być spełnione łącznie. RDTL nie jest świadczeniem na wniosek pacjenta i dotyczy bardzo wąskiej grupy chorych.

Wskazać również należy, iż leczenie chorych na mukowiscydozę w ramach RDTL budzi duże zastrzeżenia prawne, co najmniej w dwóch obszarach.

Po pierwsze w zakresie zastosowania leczenia modulatorami CFTR poza rejestracją (zastosowanie leku „off-label") – obecnie żadne przepisy nie regulują tej kwestii. Wobec niepewności prawnej i możliwości zakwestionowania przez płatnika zasadności takiego leczenia w przyszłości, jest zrozumiałe, że ośrodki nie chcą podejmować takiego ryzyka.

Po drugie w kwestii długości terapii. Zgodnie z aktualną wiedzą medyczną, leczenie modulatorami CFTR stosuje się przewlekle do końca życia. Zgoda na pokrycie kosztów leczenia w ramach procedury RDTL może obejmować maksymalnie trzy miesiące lub trzy cykle leczenia. Choć istnieje możliwość kontynuacji leczenia w przypadku potwierdzonej skuteczności leczenia danym lekiem, pierwotnie RDTL nie był przewidziany do takich terapii. Nie wiadomo jak długo płatnik będzie finansował takie leczenie.

Konkludując, Polskie Towarzystwo Mukowiscydozy postuluje o pilne rozpatrzenie przez właściwe organy konieczności objęcia refundacją modulatorów CFTR zgodnie z kryteriami rejestracyjnymi, a także wyjaśnia, iż kwalifikacja chorych na mukowiscydozę do leczenia w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) jest leczeniem możliwym do zastosowania w konkretnych, wąsko określonych warunkach i nie powinna być rozszerzana poza dopuszczalne prawem ramy.