



Warszawa, 7 maja 2014 r.

*Parlamentarny Zespół
ds. Chorób Rzadkich*

**Pan
Bartosz Arłukowicz
Minister Zdrowia**

Stanowisko

Parlamentarny Zespół ds. Chorób Rzadkich na posiedzeniach w dniu 6 listopada 2013 roku oraz w dniu 22 kwietnia 2014 roku zapoznał się ze stanowiskiem ekspertów oraz przedstawicieli środowisk pacjentów dotyczącym leczenia choroby Fabry'ego.

Zespół w dniu 22 kwietnia br. mając na uwadze zarówno aspekty merytoryczne jak również istotne potrzeby społeczne i zdrowotne oraz stanowisko Rady Konsultacyjnej AOTM nr 20/06/2009 wyrażające potrzebę decyzji refundacyjnej w ramach ówczesnych kompetencji Zespołu ds. Chorób Rzadkich przy Ministrze Zdrowia, postanowił przedstawić swoje stanowisko w sprawie objęcia leczeniem pacjentów z chorobą Fabry'ego.

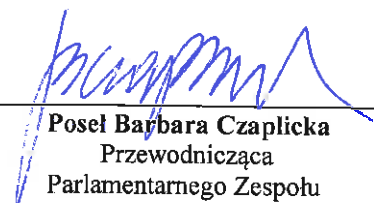
Mamy nadzieję, że będzie ono pomocne dla Ministra Zdrowia przy wydaniu ostatecznej decyzji administracyjnej w zakresie refundacji leczenia dla pacjentów oczekujących na nie od 2005 roku.

Zważywszy, że:

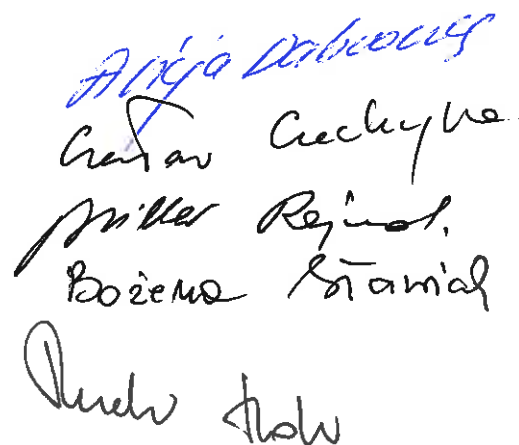
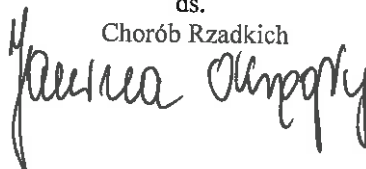
1. W Polsce obecnie zdiagnozowanych jest 47 pacjentów. Część z nich otrzymuje czasowe leczenie charytatywne. Pozostali pacjenci otrzymują nie tanie, paliatywne leczenie różnymi lekami łagodzącymi objawy, w tym środkami przeciwbólowymi i narkotycznymi. Stosowane są dializy i przeszczepy nerek.
2. Głównymi przyczynami zgonów pacjentów, u których nie podjęto leczenia są: zawał i niewydolność serca, udar mózgu bądź przewlekła niewydolność nerek. Efekty kliniczne ETZ przeważają nad objawową terapią przeciwbólową i zapobiegają poważnym, zagrażającym życiu powikłaniom (zawał, udar mózgu).
3. Enzymatyczna Terapia Zastępcza (ETZ) w leczeniu choroby Fabry'ego jest refundowana w 24 krajach Europy. Agalzydaza beta zarejestrowana została w COMP przy EMA jako medyczny produkt sierocy. Pierwszy wniosek o objęcie terapią polskich pacjentów skierowany został do Ministerstwa Zdrowia jesienią 2005 roku. Lek objęty jest obecnie postępowaniem refundacyjnym.
W Unii Europejskiej nie kwestionuje się skuteczności i efektywności klinicznej ETZ lekiem agalzydaza beta.

4. Mając na uwadze potrzebę egalitarnego traktowania chorób rzadkich, w tym ultra - rzadkiej choroby Fabry'ego 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.
5. Ze względu na ultra - rzadki charakter tej choroby oraz niewielką liczbę pacjentów, wzrost wydatków płatnika na leczenie chorób rzadkich nie będzie znaczący z perspektywy bezpieczeństwa budżetowego. Przekonani jesteśmy, że leczenie tak nielicznej grupy pacjentów przy zastosowaniu mechanizmów podziału ryzyka pozwoli znaleźć rozwiązanie ekonomicznie bezpieczne dla budżetu płatnika, zwłaszcza, że powstałe w NFZ oszczędności w 2012 roku winny były być przeznaczone na terapie innowacyjne, takie właśnie jak ETZ w leczeniu choroby Fabry'ego.

Zespół Parlamentarny ds. Chorób Rzadkich rekomenduje Ministrowi Zdrowia RP wdrożenie programu leczenia choroby Fabry'ego lekiem agalzydaza beta dla 47 obecnie zdiagnozowanych pacjentów. Zapewni to im zachowanie sprawności pomimo choroby oraz zapobiegnie ciężkim zdrowotnie i bezpośrednio zagrażającym życiu powikłaniom.



Posel Barbara Czaplicka
Przewodnicząca
Parlamentarnego Zespołu
ds.
Chorób Rzadkich



Alicja Dobrowicz
Czesław Czechowski
Mikael Rejzner
Bożena Kotwica
Andrzej Stok

Otrzymują:

- Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego
- Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich – Orphan