

PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

Agata MISIUREWICZ-GABI

KOMU POMOŻE FUNDUSZ MEDYCZNY?



Już ponad pół roku temu weszły w życie przepisy ustawy o Funduszu Medycznym, który może się stać ważną częścią polskiego systemu ochrony zdrowia. **W ZWIĄZKU Z TYM, ŻE REFUNDACJA WIELU LEKÓW JEST U NAS OPÓŹNIONA, A ICH KOSZTY SĄ GIGANTYCZNE, MA ON DAĆ SZANŚĘ PACJENTOM NA WCZESNY DOSTĘP DO TERAPII.** Zwolennicy Funduszu Medycznego pokładają w nim wielkie nadzieje, oponenci z kolei uważają, że okaże się on rozczarowaniem. Czas pokaże, kto ma rację. O oczekiwaniach i obawach związanych z realizacją Funduszu Medycznego dyskutowano podczas panelu „Komu pomoże Fundusz Medyczny?” na konferencji „Priorities and challenges in Polish and European drug policy”.



Założenie jest takie, że Fundusz Medyczny będzie wspierać działania zmierzające do poprawy zdrowia i jakości życia pacjentów w Polsce poprzez zapewnienie dodatkowych źródeł finansowania leczenia m.in. chorób cywilizacyjnych, nowotworowych i chorób rzadkich. Ma na to być przeznaczony ok. 4 mld zł rocznie. W ustawie mowa o niezaspokojonych potrzebach medycznych, czyli o umożliwieniu pacjentom dostępu do terapii i leczenia za granicą w sytuacji, gdy nie mamy takiej możliwości w Polsce, a także bezlimitowym leczeniu dzieci i młodzieży do 18. roku życia. Z Funduszu mają być także finansowane dostęp do innowacyjnych technologii lekowych,

modernizacja infrastruktury medycznej i profilaktyka. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) jest zobowiązana do sporządzania co najmniej raz w roku listy leków o wysokim poziomie innowacyjności finansowanych z Funduszu Medycznego. Po złożeniu wniosku negocjacje finansowe z producentami leków prowadzi minister zdrowia, który jest dysponentem Funduszu i podejmuje ostateczne decyzje. Autorzy projektu liczą na to, że dzięki ustawie zostaną wprowadzone rozwiązania pozwalające na regularne wprowadzanie nowych leków, co zachęci także firmy farmaceutyczne do składania wniosków refundacyjnych dla leków szcze-

PROF. PIOTR CZAUDERNA
Fundusz Medyczny stanowi pewien przedsięwzięcie, przez który innowacyjne leki mogą wejść do regularnej refundacji. Producent leku musi po mniej więcej 1,5 roku złożyć pełen wniosek refundacyjny

gólnie wskazanych w onkologii i chorobach rzadkich. Tyle teorii, a jak to wygląda w praktyce?

Z NIECIERPLIWOŚCIĄ
czekamy na listę

W pierwszym wykazie technologii o wysokim poziomie innowacyjności opublikowanym przez AOTMiT pod koniec lutego br. znalazło się 11 terapii, w tym 9 technologii lekowych o statusie leku sierocznego, stosowanego w leczeniu chorób rzadkich. Publikacja wykazu nie oznacza jednak, że leki te będą finansowane. Przed producentami i resortem zdrowia pozostał jeszcze być może najtrudniejszy etap, czyli proces negocjacji. Dla ▶



PRIORITIES AND CHALLENGES IN POLISH AND EUROPEAN DRUG POLICY

► wielu pacjentów, których leki nie znalazły się w lutowym wykazie, nadzieją może być kolejna jednorazowa lista – leków o wysokiej wartości klinicznej, która ukaże się pod koniec sierpnia i zgodnie z zapowiedziami ma być znacznie szersza, m.in. dlatego, że może dotyczyć wszystkich wskazań.

– Mam nadzieję, że wybierając te technologie, AOTMiT brała pod uwagę kryteria innowacyjności, które były określone w ustawie. My jako pacjenci nie mieliśmy wpływu na tworzenie listy, jednak oczywiste jest, że chcielibyśmy, aby znalazło się na niej jak najwięcej leków dla jak najszerszej grupy pacjentów – powiedział Stanisław Maćkowiak, prezes Federacji Pacjentów Polskich i Krajowego Forum na rzecz Terapii Chorób Rzadkich.

Zaznaczmy, że lista 5 leków została opublikowana 19 maja 2021 r. i znalazł się na niej m.in. onasemnogen abeparawek.

Jak wyjaśnia prof. dr hab. n. med. Piotr Czauderna, kierownik Kliniki Chirurgii i Urologii Dzieci i Młodzieży Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego, mechanizm działania Funduszu Medycznego został zaprojektowany po to, żeby dać pacjentom szybki dostęp do leków oraz żeby przetestować w świecie rzeczywistym ich skuteczność i bezpieczeństwo. – To nie jest tak, że Fundusz ma zastąpić ustawę o refundacji. On stanowi pewien przedsiwzięcie, przez który innowacyjne leki mogą wejść do regularnej refundacji. Producent leku musi też po mniej więcej 1,5 roku złożyć pełen wniosek refundacyjny – wyjaśnił ekspert.

senu, który podaje się chorym niezależnie od wieku co 4 miesiące w formie punkcji lędźwiowej, terapia genowa to jeden dożylny zastrzyk, który zgodnie z deklaracją producentów ma wystarczyć na całe życie. Zolgensma, która kosztuje bagatela 2 mln dolarów za jedną dawkę, nie jest w Polsce objęta refundacją.

Zdaniem prof. Piotra Czauderny takich kosztów żaden normalny system ochrony zdrowia nie jest w stanie udźwignąć, nawet w krajach bogatszych niż Polska. W dodatku dziś niewiele wiemy na temat długoterminowych efektów i bezpieczeństwa tego leku, co trzeba mieć na uwadze, podejmując decyzje o jego finansowaniu. – W żadnym kraju w Europie nie refunduje się wszystkim pacjentom wszystkiego. Na

wowania w świecie rzeczywistym czegoś, czego nie dowiemy się o tym leku z badań klinicznych. – W przypadku leków stosowanych w SMA typu 1, w tym terapii genowej, nie mówimy jedynie o poprawie jakości życia czy konkretnego wyniku badania, tylko o przeżyciu pacjenta. Niezaprzeczalnym atutem Zolgensmy jest jednorazowe dożylne podanie. Dostępne dane wskazują na utrzymywanie się efektu leczenia przez co najmniej 5 lat. Nie ma na razie dłuższych obserwacji. Nie ma wątpliwości, że każda terapia zastosowana, zanim rozwiną się widoczne objawy choroby, daje szansę na zatrzymanie jej na tym etapie i uniknięcie powikłań. Wprowadzane właśnie szeroko w Polsce badania przesiewowe noworodków stwarzają możliwość zastosowania leczenia bardzo wcześnie i radykalnej zmiany rokowania w SMA. Mamy zapewnienie z laboratorium, które będzie wykonywać badania przesiewowe, że wyniki będą dostępne w ciągu dosłownie kilku-kilkunastu dni. W najbliższych miesiącach coraz większą grupę pacjentów będziemy mogli objąć leczeniem w okresie przedobjawowym, dając im szansę na życie bez objawów SMA – komentuje ekspertka.

– W procesie przygotowywania przez AOTMiT listy leków zabrakło mi szerokich konsultacji ze środowiskiem. Ustawa – owszem – przewiduje, że minister ogłasza tę listę po konsultacji z konsultantem krajowym w danej dziedzinie. Fakty są natomiast takie, że zasadniczo wiedzę na temat danej choroby mają klinicyści specjalizujący się w tym schorzeniu i na co dzień prowadzący pacjentów. Liczę więc na to, że znajdzie się miejsce dla głosu lekarzy oraz organizacji zrzeszających pacjentów, tak abyśmy mogli wszyscy usiąść przy jednym stole i wspólnie ustalić, dla kogo konkretnie mają być przeznaczone te nowoczesne leki – jacy to będą pacjenci, z jakimi podtypami choroby, ilu ich będzie i na jakich zasadach będą leczeni. Moim zdaniem należy to wszystko przedyskutować i opracować taki wzorcowy program, biorąc pod uwagę polskie warunki, a nie tylko mechanicznie kopiując publikacje zagraniczne. Przykładowo, w Polsce mamy inny system szczepień dzieci, np. niemowlętom podaje się u nas szczepionkę zawierającą żywe prątki gruźlicy. Startuje też przesiew noworodków, który stopniowo obejmuje kolejne województwa. Dzięki temu część dzieci z SMA zaczyna leczenie w innym stanie klinicznym. Klinicyści w Polsce, przygotowując założenia dotyczące populacji, w której będziemy stosować terapię genową, wezmą to wszystko pod uwagę. Tak samo postępujemy my w Fundacji SMA. Natomiast w publikacjach zagranicznych nie znajdziemy na ten temat ani słowa. Podkreślę, że terapia genowa jest w Polsce bardzo potrzebna. Spodziewamy się, że będzie działała rewelacyjnie zwłaszcza u najmłodszych pacjentów. Po jednorazowym podaniu efekt terapeutyczny będzie się utrzymywał bardzo długo, przez wiele lat, dziesięcioleci. Kto wie, być może przez całe życie, choć należy zastrzec, że tego jeszcze nauka nie wie – mówi Kacper



W DEBACIE UCZESTNICZYLI:

- **prof. dr hab. n. med. Piotr CZAUDERNA** – kierownik Kliniki Chirurgii i Urologii Dzieci i Młodzieży Gdańskiego Uniwersytetu Medycznego
- **prof. dr hab. n. med. Katarzyna KOTULSKA-JÓŹWIĄK** – Klinika Neurologii i Epileptologii w Instytucie „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka”, przewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego do spraw Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni
- **Stanisław MAĆKOWIAK** – prezes Federacji Pacjentów Polskich i Krajowego Forum na rzecz Terapii Chorób Rzadkich
- **Joanna PARKITNA** – p.o. dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
- **Kacper RUCIŃSKI** – współzałożyciel i członek Rady Strategicznej Fundacji SMA
- **lek. Magdalena WŁADYSIUŁ** – prezes zarządu HTA Consulting

Joanna Parkitna, p.o. dyrektor Wydziału Oceny Technologii Medycznych AOTMiT uważa, że Agencja bardzo dobrze zdała ten pierwszy egzamin, mimo iż wymagał on działania w dużej dyscyplinie czasowej. – Było to dla nas nowe wyzwanie z punktu widzenia strategicznego, zarządczego i analitycznego. Udało nam się jednak dotrzymać terminów ustawowych i mogliśmy na czas przekazać panu ministrowi komplet dokumentów. Aktualnie intensywnie przygotowujemy się do oceny leków, które znajdują się na wykazie technologii o wysokim poziomie innowacyjności. Wkrótce będziemy mieć gotową pierwszą listę terapii i już przygotowujemy się do następnej – powiedziała.

CO Z TERAPIĄ GENOWĄ w SMA?

Z nadzieją na Fundusz Medyczny patrzy klinicyści i rodzice dzieci chorych na rdzeniowy zanik mięśni (spinal muscular atrophy – SMA). Pacjenci od końca 2019 r. mają refundowany lek nusinersen (Spinraza), który okazał się sukcesem, jednak coraz większe zainteresowanie wzbudza terapia genowa warunkowo dopuszczona do stosowania przez Europejską Agencję Leków (European Medicines Agency – EMA) w marcu 2020 r. Lek onasemnogen abeparawek (Zolgensma) jest przeznaczony dla najmłodszych pacjentów o masie do 21 kg, u których nie pojawiły się jeszcze objawy choroby. W przeciwieństwie do nusiner-

przykład we Francji czy we Włoszech nie ma pacjentów leczonych w ramach środków publicznych, którzy najpierw otrzymują nusinersen, potem onasemnogen abeparawek, a potem jeszcze risdiplam. Natomiast w Polsce z takim oczekiwaniem mamy do czynienia i tak leczone dzieci spotykamy – zauważa ekspert.

Z kolei prof. dr hab. n. med. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak z Kliniki Neurologii i Epileptologii w Instytucie „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka”, przewodnicząca Zespołu Koordynacyjnego do spraw Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni, uważa, że finansując dla pacjentów terapię genową, będziemy mieć możliwość zaobser-

Ruciński, współzałożyciel i członek Rady Strategicznej Fundacji SMA.

JAKIE są obawy?

Fundusz Medyczny jako rozwiązanie nowe budzi naturalne obawy. Często pojawiają się pytania: Czy rzeczywiście będzie on szansą dla innowacyjnych terapii? Kto z niego skorzysta? Czy ocena i wybór przez AOTMiT jednego leku, a odrzucenie innego będą przejrzyste i wiarygodne?

– Fundusz Medyczny postrzegam jako odrębną ścieżkę refundacyjną, której zadaniem powinno być uzupełnienie luk w „tradycyjnym” systemie refundacyjnym. Ten, jak wiemy, nie sprawdzał się choćby w odniesieniu do nowoczesnych terapii stosowanych w chorobach rzadkich. Wbrew niektórym opiniom uważam, że Fundusz Medyczny nie powinien służyć jako narzędzie do sprawdzania nowych leków w warunkach polskich, czyli de facto prowadzenia badań klinicznych na koszt polskiego podatnika. Nadrzędnym celem Funduszu powinno być po prostu otwarcie – na szczególnych warunkach – dostępu do wszystkich tych nowoczesnych terapii, które w tradycyjnym postępowaniu nie miałyby szans na wprowadzenie w Polsce. Gdy zapoznałem się z projektami programów lekowych do sfinansowania w ramach Funduszu, moje ogromne obawy wzbudziły propozycje drastycznego zawężenia populacji pacjentów. W przypadku terapii genowej w SMA, gdyby taki projekt przeszedł, oznaczałoby to niewykorzystanie pełnego potencjału klinicznego tej terapii i dramat dla części rodziców i dzieci, a dodatkowo minister zdrowia straciłby możliwość przeprowadzenia odpowiednio szeroko zakrojonych, ambitnych negocjacji z producentem. A przecież Fundusz ma być ambitny – zauważył Kacper Ruciński.

– Myślę, że to co robi w tej chwili AOTMiT, jest czarną skrzynką. My do końca nie wiemy, jak przebiegały prace nad oceną, zwłaszcza w zakresie szczegółów wyborów. Jakie argumenty zaważyły o wyborze leków i zawężeniu listy z dwudziestu kilku technologii do 11? Z prawnego punktu widzenia ustawa nie mówi, że ostateczna refundacja musi być wąska, dlatego że zalecenie AOTMiT jest w gruncie rzeczy zaleceniem kierunkowym, a nie decyzyjnym. Traktuję Fundusz jako miejsce na poprawę systemu i nie chciałabym, żeby powtarzał on błędy czy niektóre praktyki z regularnej ścieżki refundacyjnej. Jego zadaniem jest zapewnienie realnego szerokiego dostępu do terapii, szczególnie tym grupom, które uważamy za priorytetowe z punktu widzenia polityki zdrowotnej państwa czy kierunkowych rządowych strategii – skomentowała Magdalena Władysiuk, prezes zarządu HTA Consulting.

CZY FUNDUSZ MEDYCZNY pomoże systemowi?

Wszyscy liczą na to, że Fundusz Medyczny spełni pokładane w nim nadzieje i tym samym pomoże zarówno pacjentom, jak i systemowi. Czy rzeczywiście dostęp do innowacyjnych terapii będzie dzięki niemu

STANISŁAW MAĆKOWIAK

My jako pacjenci nie mieliśmy wpływu na tworzenie listy, jednak oczywiste jest, że chcielibyśmy, aby znalazło się na niej jak najwięcej leków dla jak najszerzej grupy pacjentów



szerzy? Jak twierdzą eksperci, do tego potrzebna jest przejrzystość oceny i wyboru technologii, odpowiednie zarządzanie, silny głos klinicystów i organizacji pacjentów oraz koordynacja.

– Fundusz Medyczny ma szansę poprawić system, pod warunkiem że rzeczywiście będą realizowane zasady finansowania i pieniądze będą wykorzystywane w pułapach maksymalnych. Pojawia się też pytanie, co to znaczy „wysoko innowacyjne”. Nie zgodzę się z tym, że „wysoko innowacyjne” i „o wysokiej wartości” to jest to samo. Mamy podane kryteria oceny, ale nie wiemy, jakie aspekty oceniano i na jakiej podstawie podjęto decyzje o rozróżnieniu. Budzą się wątpliwości, bo te ścieżki czy już finansowania pod pewnymi względami wcale nie są uproszczone, ale wręcz utrudnione dla płat-

JOANNA PARKITNA

Tego, co nie jest zapisane, nie należy nadinterpretowywać. Myślę, że Fundusz Medyczny otwiera nowe ścieżki i nowe możliwości dla samych podmiotów odpowiedzialnych

nika czy firm farmaceutycznych. Wszyscy teraz skupiamy się na tym, co ostatecznie wejdzie do refundacji, a ja mam pytanie: co z tym, co nie zostało uwzględnione? Czy leki, które nie znajdują się na liście przygotowanej przez AOTMiT lub nawet Ministerstwo Zdrowia, a oczekiwały na wejście, nie zostaną potraktowane jako niekwalifikujące się do refundacji, pomimo że rozpoczną regularną drogę refundacyjną? To wszystko wywołuje obawy, które będą się pojawiały wraz z rozwojem systemu. Dlatego na pytanie, czy Fundusz Medyczny pomoże chorym i będzie pozwalał na szerszy dostęp do nowych terapii, możemy odpowiedzieć za rok – dwa, gdy będzie można ocenić stopień realizacji założeń – wyjaśniła Magdalena Władysiuk.

– Mam nadzieję, że w najbliższym czasie będzie nowelizacja ustawy refundacyjnej,

nowelizacja dotycząca importu docelowego oraz ratunkowego dostępu do technologii lekowych, że wejdzie długo wyczekiwany Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich i te elementy razem z Funduszem Medycznym będą ulepszone. Zależy nam na tym, żeby rozwiązania systemowe były na tyle dobrze skonstruowane, aby dawały chorym na choroby rzadkie i onkologiczne pewność, że dostaną opiekę, której wymagają, i taką samą szansę na leczenie, jaką mają chorzy na choroby populacyjne – mówił Stanisław Maćkowiak.

– Nie należy patrzeć na Fundusz Medyczny jako na izolowane rozwiązanie. To jest element kilku rozwiązań, które zaczynają wchodzić stopniowo w życie, co pozwoli w sposób kompleksowy odpowiedzieć na potrzeby pacjentów. Mam na myśli Narodową Strategię Onkologiczną (NSO), Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich czy Europejskie Sieci Referencyjne (ESR). Oczywiście warunkiem, aby to wszystko zadziałało, jest koordynacja. Mam nadzieję, że uda się ją wypracować. Fundusz nie jest doskonałą ustawą, która nie będzie wymagać żadnych zmian. Już teraz widzimy, że pewne zmiany są potrzebne, np. w części dotyczącej ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Widzimy, że limit 3 proc. rocznie, który tam jest założony dla dużych instytucji, np. centrów onkologicznych, może być zbyt mały, a w jednostkach mniejszych nie być w pełni wykorzystywany. Na pewno będziemy myśleli o kolejnych nowelizacjach i o tym, żeby tę ustawę zmieniać. Bardzo ważna jest kwestia diagnostyki i o ile w SMA wchodzi właśnie w życie program diagnostyki przesiewowej dla noworodków, to w innych schorzeniach, w tym onkologicznych, ten problem nadal czeka na rozwiązanie. A przecież właśnie nowoczesna diagnostyka molekularna jest kluczem do wprowadzania nowych leków, nowych terapii celowanych. Mam nadzieję, że ten problem uda się rozwiązać we współpracy z Ministerstwem Zdrowia – przekonywał prof. Piotr Czauderna.

Również prof. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak uważa, że kluczowe w tej dyskusji jest słowo koordynacja. – Będę się posługiwać przykładem terapii SMA, w tym terapii genowej. Konieczne jest wskazanie ośrodków, które będą w stanie bardzo szybko przyjąć pacjentów z rozpoznaniem choroby, aby pacjent jak najbardziej skorzystał z wczesnej diagnozy. Do tego potrzebna jest znajomość realiów organizacji polskiej opieki zdrowotnej, ale także znajomość środowiska i możliwości poszczególnych ośrodków. Pozostawienie tego w rękach specjalistów czy zespołów, które już działają, byłoby dobrym pomysłem. Myślę, że w najbliższym czasie powinniśmy mieć wiele różnych zmian systemowych, zapowiadanych w związku z wprowadzeniem Funduszu Medycznego. Liczę na to, że za rok się spotkamy i będziemy mogli powiedzieć, że zmiany te zadziałały na korzyść pacjentów – tłumaczyła ekspertka.

Joanna Parkitna nie podziela obaw co do realizacji zadań Funduszu Medycznego. – Uważam, że tego, co nie jest zapisane, nie należy nadinterpretowywać. Myślę, że Fundusz Medyczny otwiera nowe ścieżki i nowe możliwości dla samych podmiotów odpowiedzialnych, które będą miały szansę z tej ścieżki skorzystać. Będziemy w AOTMiT rozważać każdy nowy pomysł, co pozwoli nam lepiej pracować i wprowadzać nowe rozwiązania. Mamy też plany, jak przeprowadzać ocenę w przyszłości, aby można było dosłownie jednym kliknięciem wygenerować wyniki i zobaczyć, w jaki sposób do nich doszliśmy. Na razie pracujemy jeszcze w reżimie czasowym, który każe nam zrealizować duże zadanie przy braku dodatkowych zasobów personalnych. Przypomnę, że oprócz Funduszu Medycznego realizujemy wiele innych zadań. Chciałabym w tym miejscu podziękować wszystkim moim kolegom i koleżankom z Agencji za tę ogromną pracę, którą wykonaliśmy. Bardzo byśmy też chcieli, aby i inni byli usatysfakcjonowani z tego, czego udało nam się dokonać – podsumowała. ■

KOMENTARZ MINISTRA MACIEJA MILKOWSKIEGO dotyczący bieżącej sytuacji dostępny w formie wideo na stronie termedia.pl/mz