

## **Stanowisko**

### **Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich i Parlamentarnego Zespołu ds. Onkologii w sprawie kryterium wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (cost per QALY) i odnoszenia wyników klasycznej analizy ekonomicznej do progu opłacalności**

Parlamentarny Zespół ds. Chorób Rzadkich oraz Parlamentarny Zespół ds. Onkologii, mając na uwadze, zarówno aspekty merytoryczne, jak również istotne potrzeby społeczne i zdrowotne polskich Pacjentów, w rezultacie posiedzenia w dniu 9 września 2014 roku, po zapoznaniu się ze stanowiskami ekspertów oraz przedstawicieli środowisk pacjentów z zagadnieniem zastosowania w/w kryterium, jako czynnika ograniczającego dostęp pacjentów do innowacyjnych terapii sierocych, zdecydowały się zająć stanowisko w sprawie.

#### **Zważywszy, że:**

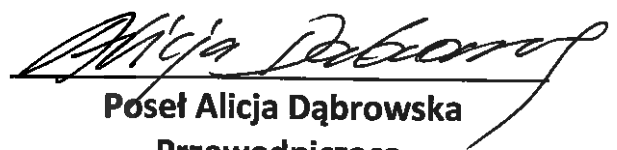
1. Brak ustawowych regulacji w zakresie chorób rzadkich (w tym rzadkich schorzeń onkologicznych), dotychczasowe doświadczenia oraz wyraźne potrzeby społeczne idące w ślad za doktryną europejską, promującą egalitarne podejście wobec chorób rzadkich, wyrażaną w konsultacjach, zaleceniach Rady i przedmiotowych rozporządzeniach UE ( (2009/C 151/02); Rozp. [WE] 141/2000), wskazują na potrzebę nowelizacji tzw. ustawy refundacyjnej;
2. Choroby rzadkie zostały wskazane jako obszar priorytetowy działań Unii Europejskiej w zakresie zdrowia publicznego;
3. Zarówno zalecenia EUCERD, EUROPLAN, jak i przyjęta przez Ministra Zdrowia struktura Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich zakładają potrzebę zwiększenia dostępu do innowacyjnych leków oraz technologii medycznych;
4. Stanowiska eksperckie oraz zalecenia z debaty EUROPLAN II oraz Petycja Kongresu Chorób Rzadkich i Leków Sierocych, a także wnioski krajowych organizacji Pacjentów, wskazują na społecznie uzasadnioną potrzebę egalitarnego traktowania chorób rzadkich i niezbędne, zgoła odmienne finansowe podejście do zagadnień efektywności kosztowej w ramach oceny sierocych technologii medycznych (OMP - orphan medicinal product), prowadzonej w ramach postępowań administracyjnych o objęcie leków i technologii sierocych refundacją;
5. Pomimo korzystnych wyników ekonomicznego rozwoju kraju i średniego w skali UE wskaźnika PKB per capita, w Polsce od lat notowany jest najniższy poziom refundacji leków sierocych (OMP) w UE, co opóźnia i ogranicza wyrównanie dostępu pacjentów cierpiących na rzadkie choroby do leków sierocych. Spośród 94 zarejestrowanych przez COMP sierocych produktów medycznych, w Polsce refundowane jest tylko 14.

6. Ustawowa dyspozycja zaleca alokację oszczędności występujących po stronie Narodowego Funduszu Zdrowia na leczenie Pacjentów z wykorzystaniem nowoczesnych technologii medycznych. Do takich zaliczają się OMP.
7. Dotychczasowe stanowiska Zespołu ds. Chorób Rzadkich dotyczące rekomendowania refundacji nie znalazły odzwierciedlenia w kolejnych obwieszczeniach Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

Zespół Parlamentarny ds. Chorób Rzadkich wraz Parlamentarnym Zespołem ds. Onkologii, z zaangażowaniem i w trosce o dobro oraz prawa polskich Pacjentów, wykonując swoje parlamentarne regulaminowe zadania, rekomendują Ministrowi Zdrowia RP oraz podległym mu organom i zespołom doradczym (AOTM i Komisja Ekonomiczna), aby do czasu nowelizacji ustawy refundacyjnej, we wszystkich przypadkach toczących się i przyszłych procesów administracyjnych o objęciu leków refundacją, wydając decyzję administracyjną o objęciu refundacją i ustaleniu urzędowej ceny zbytu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, które na podstawie odrębnych przepisów oznaczone zostały jako sierocy produkt leczniczy dla konkretnego wskazania medycznego (rejestracja OMP przez COMP/EMA) lub przeznaczone są do terapii konkretnych wskazań onkologicznych w schyłkowej fazie życia, nie uwzględniał kryterium, o którym mowa w art. 12 pkt. 13, przy czym rekomendowane odstępianie od stosowania w/w kryterium dotyczy dotychczas nie refundowanej w Polsce technologii medycznej, w sprawie której złożony został pierwszy wniosek o objęcie refundacją, w danym wskazaniu medycznym, którego zachorowalność nie przekracza więcej niż 1 przypadek na 50 tysięcy mieszkańców lub którym dotknięte jest nie więcej niż 700 osób w kraju.



**Posel Barbara Czaplicka**  
**Przewodniczaca**  
**Parlamentarnego Zespołu**  
**ds.**  
**Chorób Rzadkich**



**Posel Alicja Dąbrowska**  
**Przewodniczaca**  
**Parlamentarnego Zespołu**  
**ds.**  
**Onkologii**