



Warszawa, 7 maja 2014 r.

*Parlamentarny Zespół
ds. Chorób Rzadkich*

**Pan
Bartosz Arłukowicz
Minister Zdrowia**

Stanowisko

Parlamentarny Zespół ds. Chorób Rzadkich na posiedzeniu w dniu 22 kwietnia 2014 roku zapoznał się ze stanowiskiem ekspertów oraz przedstawicieli środowisk pacjentów dotyczącym leczenia choroby Niemana-Picka.

Zespół w dniu 22 kwietnia br. mając na uwadze zarówno aspekty merytoryczne jak również istotne potrzeby społeczne i zdrowotne postanowił przedstawić swoje stanowisko w sprawie objęcia leczeniem pacjentów z chorobą Niemana-Picka typu C.

Mamy nadzieję, że będzie ono pomocne dla Ministra Zdrowia przy wydaniu ostatecznej decyzji administracyjnej w zakresie refundacji leczenia dla pacjentów dotkniętych tą chorobą.

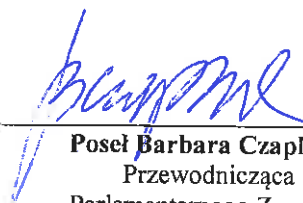
Zważywszy, że:

1. Ministerstwo Zdrowia w 2012 roku nie wdrożyło programu lekowego dla dzieci z chorobą Niemann-Picka Typu C, przygotowanego w oparciu o pozytywną opinię Prezesa AOTM z marca 2011 roku.
Rzecznik Prasowy Ministra publicznie zapowiedział uruchomienie programu leczenia dla tych pacjentów najpóźniej jesienią 2011 roku. Jednak tak się nie stało. Minister Zdrowia, po wejściu w życie ustawy refundacyjnej, ponownie skierował sprawę do AOTM w 2013 roku. Prezes AOTM w tej samej sprawie wydał negatywną rekomendację z powodu kosztów leczenia przekraczających wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia określonego w art. 12 pkt. 13 ustawy refundacyjnej. W rezultacie Minister Zdrowia wydał negatywną decyzję refundacyjną.
2. Przeprowadzona przez Ministra Zdrowia ocena wniosku refundacyjnego, w uzasadnieniu odmowy o refundacji leku miglustat, zupełnie pomija pozytywne rekomendacje wybitnych polskich specjalistów z zakresu neurologii, takich jak: prof. Barbara Steinborn, prof. Marek Kaciński czy prof. Janusz Wendor.
3. Literatura światowa w zakresie efektywności klinicznej czytelnie opowiada się za celowością zastosowania w/w leku w leczeniu choroby NPC, zwłaszcza w przypadku pacjentów z nieznacznym stopniem zaawansowania choroby. Zaznaczyć należy, że brak jest alternatywnego dla leku miglustat leczenia specjalistycznego, a standardowe leczenie farmakologiczne polega tylko na opiece paliatywnej.
4. W grudniu 2013 roku opublikowane zostały najnowsze, poszerzone badania potwierdzające efektywność kliniczną terapii lekiem miglustat. Nigdzie w Unii Europejskiej nie kwestionuje

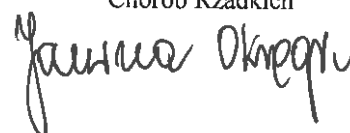
się skuteczności w/w terapii. Programy lekowe w leczeniu choroby NPC funkcjonują obecnie w ponad 44 krajach świata, w tym w większości państw Unii Europejskiej.

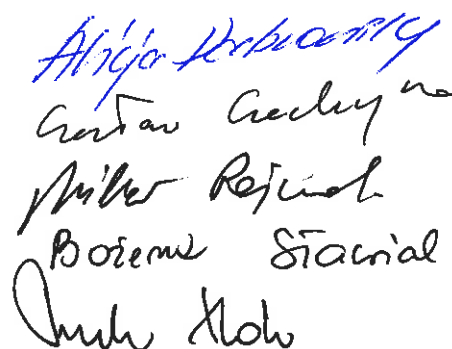
5. Mając na uwadze potrzebę egalitarnego traktowania chorób rzadkich, w tym ultra - rzadkiej choroby Niemana-Picka oraz fakt, iż niezbędne jest (*vide: Konkluzje z Debaty Publicznej Europlan 28/09/2013*) zgoła odmienne finansowe podejście do zagadnień efektywności kosztowej, wskazane jest aby Minister 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.
6. Ze względu na niewielką liczbę pacjentów, wzrost wydatków płatnika na leczenie nielicznej grupy pacjentów dotkniętych chorobą Niemana-Picka nie będzie znaczący z punktu bezpieczeństwa budżetowego płatnika. Koszt terapii nie powinien stanowić podstawy do odmowy dla pozytywnej decyzji refundacyjnej.
7. W przypadku podejmowania decyzji refundacyjnej dotyczącej leczenia NPC Minister Zdrowia powinien kierować się przede wszystkim dobrem młodocianych Pacjentów, zwłaszcza ze względu na ultra-rzadki charakter choroby oraz istotność społeczną jej leczenia.

Zespół Parlamentarny ds. Chorób Rzadkich rekomenduje Ministrowi Zdrowia RP pilne wdrożenie programu lekowego terapii lekiem miglustat dla wyselekcjonowanej grupy najlepiej rokujących zatrzymanie postępu choroby pacjentów za choroba Niemana-Picka, co zapewni chorym zachowanie sprawności i godności w chorobie.



Posel Barbara Czaplicka
Przewodnicząca
Parlamentarnego Zespołu
ds.
Chorób Rzadkich




Aljo Dobrowolny
Grzegorz Giedrynski
Mirosław Rejman
Bożena Stanciał
Jacek Alch

Otrzymują:

- "Życ Nadzieją" Stowarzyszenie Chorych na Niemana-Picka i Choroby Pokrewne
- Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich - Oprhan