



RZECZPOSPOLITA POLSKA

Rzecznik Praw Dziecka

Mikołaj Pawlak

ZSS.422.11.2019.KS

Warszawa, 19 lipca 2019 roku

**Pan
Łukasz Szumowski
Minister Zdrowia**

Proszę Pana
Perne Minister

14 maja 2019 r. otrzymałem od Stowarzyszenia Chorych na Niemann-Picka i Choroby Pokrewne w Kielcach prośbę o wsparcie działań na rzecz zapewnienia dzieciom cierpiącym na chorobę Niemann-Picka typu C dostępu do leczenia farmakologicznego produktem leczniczym Zavesca (Miglustat).

Choroba Niemann-Picka należy do grupy chorób rzadkich, dziedzicznych, metabolicznych. Jest potencjalnie śmiertelnym schorzeniem, w którym glikosfingolipidy odkładają się w komórkach mózgu i w całym organizmie. Jest to choroba bardzo zróżnicowana, jeżeli chodzi o problemy, które powoduje i stopień ich nasilenia.¹ W chorobie Niemann-Picka typu C² postępujące uszkodzenie mózgu może być znacznego stopnia i powodować u chorego niezdolność do spoglądania do góry i w dół, trudności w chodzeniu i przełykaniu oraz utratę wzroku i słuchu. Stopniowo choroba ta prowadzi do śmierci.³

Choroba Niemann-Picka wymaga opieki specjalistów z różnych dziedzin medycyny, w tym pulmonologii, kardiologii, gastroenterologii i dietetyki. Do niedawna nie była znana żadna skuteczna metoda jej leczenia. W niektórych krajach, w tym krajach Unii Europejskiej, od kilku lat w leczeniu stosowany jest preparat Zavesca (Miglustat). Jako podało Stowarzyszenie Chorych na Niemann-Picka i Choroby Pokrewne w Kielcach „w ponad 50 krajach świata lek Zavesca jest refundowany, w Europie takich programów nie mają tylko Albania i Białoruś”.

Z Charakterystyki Produktu Leczniczego Zavesca⁴ wynika, że produkt ten jest wskazany m.in. do stosowania w leczeniu postępujących objawów neurologicznych u pacjentów dorosłych oraz u dzieci z chorobą Niemann-Picka typu C. 20 listopada 2002 r.

¹ Stowarzyszenie Chorych na Niemann-Picka i Choroby Pokrewne w Kielcach:
<http://www.niemannapicka.pl/sickness.php?ver=1>

² istnieją jeszcze typy: A, B i D

³ Pismo Stowarzyszenia Chorych na Niemann-Picka i Choroby Pokrewne w Kielcach do Rzecznika Praw Dziecka z 03.05.2019 r.

⁴ https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zavesca-epar-product-information_pl.pdf

Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie leku Zavesca do obrotu – ważne w całej Unii Europejskiej.⁵ 16 lutego 2006 r. Komisja Europejska przyznała dla substancji czynnej Miglustat w leczeniu choroby Niemann-Picka typu C *orphan designation* (EU / 3/06/351)⁶ – tj. uznano produkt Zavesca za lek sierocy.

W Polsce problematyka objęcia refundacją produktu Zavesca pojawiła się w 2011 r. Od tego czasu kilkakrotnie ten produkt leczniczy był poddawany ocenie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej: AOTMiT⁷):

1. W 2011 r. ówczesna Rada Konsultacyjna przy AOTM uznała za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „*Leczenie choroby Niemann-Picka typu C: z zastosowaniem substancji czynnej miglustat w ramach programu zdrowotnego, jako świadczenia gwarantowanego.*”⁸
2. W 2011 r. Prezes AOTM wydał warunkowo pozytywną rekomendację w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „*Leczenie choroby Niemann-Picka typu C: z zastosowaniem substancji czynnej miglustat (Zavesca) w ramach programu zdrowotnego, jako świadczenia gwarantowanego.*” Warunkiem było obniżenie ceny leku lub partycypacji podmiotu odpowiedzialnego w kosztach leczenia. Ponadto Prezes AOTM wskazał, że powinien być prowadzony ścisły rejestr leczonych pacjentów, który umożliwi ocenę skuteczności leczenia i bezpieczeństwa terapii.⁹
3. W 2012 r. Prezes AOTM – w ślad za stanowiskiem¹⁰ Rady Przejrzystości - wydał negatywną rekomendację odnośnie objęcia refundacją produktu leczniczego Zavesca (miglustat) w ramach programu lekowego: „*Leczenie choroby Niemann-Picka typu C (NP-C) z wykorzystaniem substancji czynnej miglustat*”.¹¹ W uzasadnieniu wskazano na trudne do jednoznacznej interpretacji dane o efektywności klinicznej ww. substancji czynnej oraz bardzo wysokie koszty terapii.
4. W 2016 r. Prezes AOTMiT – w ślad za opinią¹² Rady Przejrzystości – wydał opinię w sprawie skuteczności klinicznej i praktycznej, bezpieczeństwa stosowania, relacji

⁵ https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/zavesca-epar-summary-public_pl.pdf

⁶ <https://www.orpha.net>

⁷ wcześniejsza nazwa: Agencji Oceny Technologii medycznych – dalej: AOTM

⁸ Stanowisko Rady Konsultacyjnej nr 28/2011 z dnia 29.03.2011 r.

⁹ Rekomendacja nr 20/2011 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych z dnia 29.03.2011 r.

¹⁰ Stanowisko Rady Przejrzystości nr 130/2012 z dnia 26 listopada 2012 r.

¹¹ Rekomendacja nr 120/2012 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych z dnia z dnia 26.11.2012 r.

¹² Opinia Rady Przejrzystości nr 314/2016 z dnia 24.10.2016 r.

korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania, oraz niepewności oszacować leku Zavesca (miglustat) we wskazaniu: leczenie choroby Niemann-Picka. W opinii tej wskazano m.in. „Prezes stoi na stanowisku, że finansowanie ocenianej technologii nie znajduje uzasadnienia. Prezes ma świadomość, że rzadkie występowanie choroby może utrudniać przeprowadzenie badań RCT wysokiej jakości, jednakże w dostępnych dowodach naukowych zakres badanych punktów końcowych nie jest adekwatny do istotny i charakteru choroby NPC. Nie badano wpływu ocenianej interwencji na przeżycie pacjentów, natomiast wyniki dotyczące jakości życia nie wykazały istnienia różnic istotnych statystycznie między grupą leczoną miglustatem a grupą stosującą terapię standardową.”¹³

Rzecznik Praw Dziecka zdaje sobie sprawę, że Minister Zdrowia w przedmiotowej sprawie musi działać zgodnie z przepisami ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (t.j. Dz. U. z 2019 r. poz. 784). Należy jednak podkreślić, że w Polsce dzieci cierpiące na chorobę Niemann-Picka typu C od lat nie mają dostępu do leczenia dającego szansę na osiągnięcie pozytywnych rezultatów terapii a każdego roku – jak podało Stowarzyszenie Chorych na Niemann-Picka i Choroby Pokrewne w Kielcach – umiera 3 do 4 dzieci cierpiących na tę chorobę.

Obecnie nie zostały jeszcze ukończone prace nad *Narodowym Planem dla Chorób Rzadkich*, który ma na celu zapewnienie kompleksowego, wielosektorowego podejścia do chorób rzadkich (w tym poprzez m.in. zintegrowanie opieki nad pacjentami)¹⁴, co również nie sprzyja objęciu dzieci z chorobą Niemann-Picka kompleksową opieką i efektywnym leczeniem.

Mając na uwadze powyższe, stosownie do art. 10a ust. 1 i art. 10 ust. 1 pkt 2 ustawy z dnia 6 stycznia 2000 r. o Rzeczniku Praw Dziecka (Dz. U. z 2017 r. poz. 922), zwracam się do Pana Ministra z prośbą o podjęcie działań na rzecz dzieci cierpiących na rzadką chorobę Niemann-Picka – w szczególności typu C – i o przedstawienie aktualnego stanowiska resortu zdrowia w kwestii możliwości objęcia refundacją produktu leczniczego Zavesca w ramach programu lekowego: „*Leczenie choroby Niemann-Picka typu C z wykorzystaniem substancji czynnej miglustat*”.

Łukasz Wójcik
RZECZNIK PRAW DZIECKA
Mikolaj Pawlak
Mikolaj Pawlak

¹³ Opinia Prezesa Agencji przy piśmie BP.434.17.2016.JTM z dnia 02.12.2016 r.

¹⁴ Informacja Ministra Zdrowia z 01.04.2019 r. IK: 1637638.DS