



RZECZPOSPOLITA POLSKA  
Rzecznik Praw Dziecka  
*Mikołaj Pawlak*

Warszawa, 16 września 2022 roku

ZSS.422.29.2022.AG

**Pan**  
**Adam Niedzielski**  
**Minister Zdrowia**

*Przewidywalny Panie Ministrze,*

z dużym zadowoleniem przyjąłem obwieszczenie z 22 sierpnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 września 2022 r.<sup>1</sup> - wśród leków refundowanych znalazł się tam lek o wysokim poziomie innowacyjności - Zolgensma® przeznaczony do terapii genowej dzieci chorujących na rdzeniowy zanik mięśni (SMA)<sup>2</sup>. To ogromny sukces, tym bardziej że Polska jest jednym z czterech krajów w Europie, w którym refundowane są wszystkie trzy leki: Zolgensma, Spinraza (Nusinersen) i Evrysdi (Risdiplam), i w którym prowadzone są badania przesiewowe w kierunku SMA u wszystkich noworodków.

Doceniając starania resortu zdrowia, chciałbym jednak odnieść się do kwestii dostępu do refundacji leku, która wzbudza niepokój rodziców dzieci, które przekroczyły 6. miesiąc życia lub/i rozpoczęły terapię innym lekiem, i tym samym refundacja lekiem Zolgensma® ich nie obejmuje. Przykładem jest jedno ze zgłoszeń, które wpłynęło do Biura Rzecznika Praw Dziecka. Wnioskodawczyni, matka ośmiomiesięcznej dziewczynki, która ma rozpoznany na podstawie dodatkowego testu przesiewowego z dnia 21.07.2022 r. – rdzeniowy zanik mięśni, zwróciła uwagę na sytuację rodziców, których dzieci objęte są terapią innym lekiem – w przypadku jej córki lekiem spinraza - i nie może ona tym samym skorzystać z możliwości włączenia terapii genowej lekiem Zolgensma®, mimo że dziecko waży jedynie

<sup>1</sup>Źródło:

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-22-sierpnia-2022-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywnieniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-wrzesnia-2022-r>

<sup>2</sup> Wystąpienia generalne RPD kierowane do MZ ws. refundacji terapii genowej dzieci chorujących na SMA-1: z 27.09.2020 r., znak: ZSS.422.9.2020.KS, z 03.06.2022 r., znak: ZSS.422.15.2022.AG.



4 kg. Matka dziecka wskazała, że nie ma informacji, z których mogłoby wynikać, że tego leku nie można podać osobie, która rozpoczęła leczenie m.in. Nusinersenem. Biorąc pod uwagę koszty wynikające z terapii Nusinersenem - mogą to być kwoty sięgające ponad 20 mln zł w okresie 20 lat, na które składają się 4 dawki wysycające i dawki przypominające – oraz koszty terapii Zolgensma® - jednorazowy koszt to ok. 10 mln zł, to znacznie korzystniejsze jest podanie jednej dawki tego leku. Matka uważa, że obecnie wprowadzone przepisy dyskryminują niewielką grupę dzieci, które są w trakcie leczenia m.in. Nusinersenem, a które z uwagi na wagę ciała mogłyby przyjąć lek Zolgensma®, co tym samym uchroniłoby je przed cierpieniem w czasie ich całego życia i zagrożeń wynikających z częstych inwazyjnych wkłuć lędźwiowych mogących doprowadzić do uszkodzenia neuronów czuciowych.

W tej kwestii wypowiedzieli się także eksperci na posiedzeniu Parlamentarnego Zespołu ds. Dzieci – *O lepszych warunkach leczenia dzieci*, które odbyło się 2 września br. Eksperti<sup>3</sup> są jednomyślni, że powinna obowiązywać równość w nowoczesnym leczeniu każdego dziecka m.in. terapią genową. Podkreślili przy tym, że kryterium wieku nie wynika wprost z charakterystyki produktu leczniczego<sup>4</sup> jakim jest Zolgensma® - lek przeznaczony do terapii genowej dzieci chorujących na rdzeniowy zanik mięśni.

Na podstawie badań klinicznych, które były podstawą do rejestracji leku Zolgensma®, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) zaproponowała program lekowy dla dzieci od urodzenia do 6. miesiąca życia. W opracowaniu analitycznym AOTMiT oceny technologii w ramach Funduszu Medycznego 022/2020 (data ukończenia: 19.02.2021)<sup>5</sup> czytamy m.in. w punkcie 3.1.4. raportu zatytułowanym - Przegląd wytycznych praktyki klinicznej – że w wyniku przeprowadzonego w dniu 28.12.2020 r. przeszukiwania baz medycznych i stron internetowych odnaleziono dokument stanowiący międzynarodowe rekomendacje postępowania w SMA. Dokument ten jest zaktualizowaną wersją międzynarodowego konsensusu opublikowanego w 2007 r.<sup>6</sup> W tabeli nr 4 „Przegląd interwencji wg wytycznych praktyki klinicznej” wskazane jest stanowisko konsensusu

---

<sup>3</sup> M.in. prof. dr hab. n. med. Teresa Jackowska, prof. dr hab. n. med. Jerzy Peregud-Pogorzelski, Konsultanci Wojewódzcy ds. pediatrii.

<sup>4</sup> ChPL- zbiór informacji o dopuszczonym rdzeniowego zaniku mięśni (SMA) do obrotu leku przeznaczonym do użytku przez fachowy personel medyczny w Unii Europejskiej

<sup>5</sup>Zolgensma (onasemnogen abeparwówek) we wskazaniu: rdzeniowy zanik mięśni 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1 lub pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2, 022/2020, data ukończenia: 19.02.2021 r., źródło: [https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz\\_tli/RAPORTY/2020\\_022.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/RAPORTY/2020_022.pdf)

źródło:[https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz\\_tli/RAPORTY/2020\\_022.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/RAPORTY/2020_022.pdf)

<sup>6</sup> nie odnaleziono wytycznych polskich.

- Ponieważ ryzyko terapii genowej wzrasta wraz z podaną dawką, a dawka jest wprost proporcjonalna do masy ciała, pacjentów powyżej 13,5 kg należy leczyć tylko w określonych okolicznościach. W przypadku tych pacjentów leczenie innymi terapiami modyfikującymi przebieg choroby lub przyszłe dooponowe podanie leku Zolgensma® należy rozważyć jako alternatywę.

Zgodnie z powyższym to waga dziecka<sup>7</sup>, tj. do 13,5 kg, stanowi granicę bezpieczeństwa dla zdrowia i życia małoletniego pacjenta poddanego terapii ww. lekiem. W istocie AOTMiT zaproponowała program lekowy dla dzieci w przedziale wiekowym od urodzenia do 6. miesiąca życia, z uwagi na to, że badania kliniczne, na podstawie których lek został zarejestrowany w Polsce, dotyczyły grupy pacjentów do 6. miesiąca życia.

Chciałbym podkreślić, że głównym wskaźnikiem efektywności systemu opieki zdrowotnej jest stan zdrowia populacji. Sposób opieki nad zdrowiem, w szczególności dzieci i młodzieży, przekłada się na kondycję zdrowotną przyszłego społeczeństwa<sup>8</sup>.

W poszanowaniu decyzji Pana Ministra ukierunkowanej na dobro małoletnich pacjentów w procesie refundacji ww. leku, stosownie do upoważnienia Rzecznika Praw Dziecka do podejmowania interwencji w interesie dzieci określone przepisami art. 3 ustawy z dnia 6 stycznia 2000 r. o Rzeczniku Praw Dziecka<sup>9</sup> wz. z art. 10 ust. 1 pkt 2 i art. 10b ww. ustawy, zwracam się z uprzejmą prośbą o ponowną analizę i rozważenie przez resort zdrowia, czy w indywidualnych przypadkach będzie istniała możliwość - przy uwzględnieniu wskazań medycznych danego pacjenta (kryteriów bezpieczeństwa prowadzonej terapii i np. zwołania konsylium) - zastosowanie leku Zolgensma®, gdy dziecko przekroczyło 6. miesiąc życia, ale nie przekroczyło 13,5 kg wagi ciała lub/i podjęło już u niego terapię innym lekiem.



RZECZNIK PRAW DZIECKA



Mikołaj Pawlak

<sup>7</sup> Wysokiej jakości dane ze stosowania leku Zolgensma u dzieci starszych niż 6 miesięcy znalazły się w dwóch obszernych publikacjach naukowych – z Niemiec i z Rosji. W niemieckiej praktyce klinicznej lek Zolgensma okazał się wysoce skuteczny u objawowych dzieci w wieku do 24 miesięcy i o wadze ciała poniżej 15 kg – średnia poprawa funkcjonalna wyniosła 13,8 pkt na skali CHOP-INTEND u dzieci młodszych niż 8 miesięcy i 7,7 pkt CHOP-INTEND u dzieci w wieku 8–24 miesiące. Jest to bardzo znacząca poprawa. Co ważne, obserwowano ją zarówno u dzieci dopiero rozpoczynających leczenie, jak i u dzieci wcześniej leczonych lekiem Spinraza i przełączanych na terapię genową, źródło <https://www.fsma.pl/leki/zolgensma/skutecznos/>

<sup>8</sup> NIK 26.04.2018 r., KZD.430.009.2017, Nr ewid. 12/2018/P/17/058/KZD

<sup>9</sup> Dz. U. z 2020 r. poz. 141