



Minister Zdrowia

Warszawa,

2015-07-14

PLA.4600.261.2015

Pan
Bartosz Poliński
Prezes
Alivia- Fundacja Onkologiczna Osób
Młodych

Szanowny Panie Prezecie!

W odpowiedzi na pismo z dnia 16 czerwca 2015 r. sygnowane przez Fundację Alivia, przy którym przekazano raport pt. „Dostępność innowacyjnych leków onkologicznych w Polsce na tle wybranych krajów unii Europejskiej oraz Szwajcarii” wraz z publikacją pt. „Jak leczymy raka w Polsce?”, proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Na wstępie pragnę podkreślić, iż po wnikliwej analizie zarówno pisma, przy którym przekazano raport, jak i samego raportu Minister Zdrowia jest zdziwiony ich treścią oraz nie może zgodzić się z przedstawionymi wnioskami jakie zostały w nich zawarte.

Minister Zdrowia, mając na uwadze dane epidemiologiczne wskazujące na wzrost częstości zachorowań na nowotwory w populacji światowej oraz w populacji kraju (ponad dwukrotny wzrost w ciągu ostatnich trzech dekad), oraz biorąc pod uwagę fakt, iż nowotwory są drugą co do częstości występowania przyczyną zgonów w Polsce¹, podejmuje szereg działań z zakresu profilaktyki pierwotnej i wtórnej poprawiających zarówno dostęp do leczenia jak i jego jakość. Nie da się zaprzeczyć, iż w przedmiotowej dziedzinie notowany jest systematyczny postęp. Pozwolę sobie nie zgodzić się z postawioną przez Sygnatariuszy pisma tezą jakoby zastosowanie terapii

¹ Didkowska Joanna, Wojciechowska Urszula. Zachorowania i zgony na nowotwory złośliwe w Polsce. Krajowy Rejestr Nowotworów, Centrum Onkologii - Instytut im. Marii Skłodowskiej - Curie. Dostępne na stronie <http://onkologia.org.pl/k/epidemiologia/dostęp> z dnia dzień/miesiąc/rok.

farmakologicznej, w tym w szczególności z wykorzystaniem „innovacyjnych leków”, pozwoliłoby na „uratowanie” znacznej części chorych. Należy zauważyć, że zarówno raport E&Y ani powstała w oparciu o niego informacja „Jak w Polsce leczymy raka?” nie odnoszą się do efektów zdrowotnych, w tym w szczególności w zakresie odsunięcia w czasie progresji choroby czy wydłużenia życia, uzyskiwanych w wyniku zastosowania u pacjentów poszczególnych terapii farmakologicznych. Stawiana teza o związku przyczynowo skutkowym pomiędzy czasem wprowadzenia do refundacji nowych terapii lekowych, wskaźnikami przeżyć 5-letnich, zapadalnością czy umieralnością na nowotwory jest niespójna logicznie oraz pozostaje w sprzeczności z aktualną wiedzą medyczną. Pośród przyczyn wpływających na zachorowalność i umieralność na choroby nowotworowe zarówno Międzynarodowa Agencja Badań nad Rakiem (International Agency for Research on Cancer, IARC), Światowa Organizacja Zdrowia, światowe oraz krajowe towarzystwa naukowe wymieniają czynniki związane ze stylem życia. W pierwszej kolejności jest to palenie tytoniu, a następnie nieprawidłowy sposób odżywiania, otyłość, konsumpcja alkoholu oraz uwarunkowania genetyczne. Z kolei wskaźniki przeżyć 5-letnich uwarunkowane są w pierwszej kolejności skutecznością wczesnego rozpoznania choroby nowotworowej, prawidłowością diagnostyki oraz zastosowaniem najbardziej optymalnego schematu terapeutycznego (w tym w modelu postępowania skojarzonego), a zatem wskaźnikami jakości opieki zdrowotnej. Żadne międzynarodowe ani krajowe organizacje zdrowia publicznego nie wskazują by istniała w krajach wysokorozwiniętych korelacja pomiędzy liczbą zarejestrowanych bądź refundowanych nowych leków, a wskaźnikiem przeżyć 5-letnich. Należy zauważyć, iż na całym świecie optymalizacja standardów leczenia odbywa się poprzez wytypowanie najbardziej efektywnych, skutecznych i bezpiecznych technologii – zgodnie z aktualną wiedzą medyczną. Należy zatem bardzo wyraźnie odróżnić dążenie władz publicznych do zapewnienia pacjentom dostępności do skutecznych i najbardziej efektywnych metod leczenia chorób nowotworowych od uwarunkowanych względami merkantylnymi dążeń koncernów farmaceutycznych do zbytu jak największej liczby opakowań oferowanych produktów. Powinno się zatem przyjąć, iż wskutek poprawnej metodologicznie oceny technologii medycznych pośród zdyskwalifikowanych z refundacji ze środków publicznych leków znajdują się technologie o najmniej korzystnym profilu skuteczności klinicznej, bezpieczeństwa oraz efektywności kosztowej – tym bardziej niezasadna jest teza, że ich refundacja miałaby poprawić wskaźniki wyleczalności nowotworów. Minister Zdrowia stoi na stanowisku, że finansowanie ze środków publicznych nowych technologii lekowych, w tym leków

stosowanych w onkologii, powinno ściśle zależeć od oferowanych przez te technologie rzeczywistych, a nie tylko deklarowanych, korzyści terapeutycznych.

Jak wskazują zaprezentowane przy omówieniu niektórych leków krzywe Kaplana-Meiera obrazujące zależność prawdopodobieństwa przeżycia pacjentów w czasie dla technologii ocenianej i komparatora np. dla leków Abraxane, Halaven, Xalkori, Zaltrap, skuteczność większości technologii lekowych nie odbiega istotnie od tej wykazywanej dla szeroko stosowanych komparatorów. Dodatkowo należy zauważyć, iż wyniki otrzymywane w ramach prowadzonych badań klinicznych, w których pacjenci kwalifikowani do badania są selekcyjonowani pod względem szeregu różnych czynników, w tym typu histologicznego nowotworu i charakterystyki klinicznej, a ich terapia nadzorowana jest dużo bardziej skrupulatnie niż w warunkach rzeczywistych, często nie znajdują potwierdzenia w skuteczności praktycznej, a więc ocenianej po wprowadzeniu leku na rynek. Dotyczy to w szczególności grup pacjentów o odmiennych charakterystykach tak histologicznych samych nowotworów jak i stanu klinicznego chorego. Tym bardziej trudno zgodzić się z oczekiwaniem odnośnie finansowania ze środków publicznych terapii, dla których nawet w ściśle kontrolowanych warunkach otrzymano wyniki niejednoznaczne, nieistotne klinicznie czy statystycznie. Jak zaznaczono poniżej dla większości z ww. leków nie udało się odnaleźć opisanych przypadków wyleczeń. Tym samym niezrozumiałym jest fakt powoływania się w piśmie na liczbę ok. 30 tys. osób rocznie, które „można by uratować”. Wprowadzie zgodnie z szacunkami Światowej Organizacji Zdrowia - jednej trzeciej nowotworów można zapobiec, jedną trzecią wyleczyć, a w przypadku jednej trzeciej poprawić jakość życia chorych, należy jednak zaznaczyć, iż założenie to dotyczy całościowego leczenia onkologicznego, z zaangażowaniem różnych metod terapeutycznych, nie zaś wybiórczo farmakoterapii. Trzeba bowiem podkreślić, iż na poziom umieralności z powodu nowotworów złośliwych w Polsce mają wpływ dwa ważne aspekty. Po pierwsze stopień zaawansowania nowotworu w momencie jego diagnozy, przy czym powszechnie uważa się, że nowotwory w kraju są zbyt często diagnozowane w zaawansowanych stadiach choroby. Po drugie skuteczność podjętej terapii, przy czym farmakoterapia nie jest jedyną, i często też nie podstawową, metodą stosowaną w terapii chorób onkologicznych. Rzadko też prowadzi do faktycznego wyleczenia. Należy zauważyć, że rzeczywisty pomiar skuteczności leczenia w Polsce jest utrudniony z uwagi na ograniczoną zgłaszalność do Krajowego Rejestru

Nowotworów informacji o stopniu zaawansowania nowotworów.² Jak wynika z informacji przekazanych na potrzeby Ministerstwa Zdrowia kompletność informacji o stadium zaawansowania nowotworów u pacjentów zdiagnozowanych w latach 2000-2011 waha się w granicach od 70 do 81%, zaś odsetki poszczególnych stopni zaawansowania nowotworu w momencie diagnozy w latach 2000-2011 dla stadium miejscowego wynosiły od 42 do 49%, dla stadium regionalnego od 27 do 32%, dla stadium z obecnością przerzutów odległych od 23 do 26%³. W kontekście powyższego, jako przykład wpływu stopnia zaawansowania choroby na rokowanie pacjenta, pragnę wskazać informacje dotyczące raka jelita grubego. Rokowanie w raku jelita grubego zależy głównie od stopnia zaawansowania nowotworu w momencie operacji. Ponieważ aż 80% wszystkich raków jelita w chwili rozpoznania jest już w zaawansowanym stadium, średni odsetek 5-letnich przeżyć wynosi w Polsce ok. 35% (na świecie ok. 45%)^{4,5}. Odsetki 5-letnich przeżyć w poszczególnych stadiach zaawansowania nowotworu na podstawie danych z rejestru SEER (*Surveillance Epidemiology and End Results*) przedstawiono w poniższej tabeli⁶. Cytowane dane wskazują jak bardzo, w przypadku tego nowotworu, szanse na 5-letnie przeżycie są uzależnione od stopnia zaawansowania choroby.

Tab.1 Odsetki rzeczywistych przeżyć 5-letnich chorych na raka okrężnicy w zależności od stopnia zaawansowania klinicznego według danych SEER.

Stopień zaawansowania	Odsetek 5-letnich przeżyć [%]
I	74,0
IIA	66,5
IIB	58,6
IIC	37,3
IIIA	73,1
IIIB	46,3
IIIC	28,0
IV	5,7

Wskazywane w piśmie informacje o możliwości „uratowania 30 tys. osób rocznie” w kontekście rozpowszechnienia wybranych farmakoterapii są w opinii Ministra

² Strategia walki z rakiem w Polsce 2015-2024, 10 kwietnia 2014 r., wersja do konsultacji społecznych opublikowana na stronie Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej.

³ Opracowanie na potrzeby Ministerstwa Zdrowia, Didkowska Joanna, Wojciechowska Urszula, Centrum Onkologii - Instytut im. Marii Skłodowskiej – Curie.

⁴ Szczeklik 2013.

⁵ Zgodnie z Zaleceniami postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach złośliwych- 2013 r.: wg danych pochodzących z badania EUROCARE-4 odsetek 5-letnich przeżyć chorych na raka okrężnicy, u których ustalono rozpoznanie w latach 1995-1999, wyniósł w Polsce 39% (średnia w Europie- 55%).

⁶ Zalecenia postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach złośliwych- 2013 r.

Zdrowia nadużyciem. Jednocześnie należy zauważyć, iż dostępność terapii farmakologicznej wielokrotnie staje się przedmiotem zainteresowania, nie tylko z uwagi na jej faktyczną wartość terapeutyczną, ale również różnego rodzaju działania marketingowe i lobbingowe podejmowane przez podmioty prywatne zainteresowane pozyskiwaniem publicznych środków przeznaczonych na refundację. Mimo że zjawisko lobbingu zostało usankcjonowane prawnie i jest elementem gospodarki rynkowej jego nadmierne nasilenie w przestrzeni publicznej, często w postaci niedostrzeganej przez ogół społeczeństwa, prowadzi do ogromnej dysproporcji pomiędzy oczekiwaniami społecznymi, możliwościami płatnika ale przede wszystkim często pozostaje w sprzeczności z faktyczną wartością poszczególnych terapii. Dyskusja prowadzona na łamach prasy jak i innych mediów, często daleko odbiega od kwestii merytorycznych i jest przyczyną nieobiektywnej oceny rzeczywistości, jednak co gorsze przede wszystkim powoduje lęk pacjentów. Jakkolwiek nie ulega wątpliwości, że producent posiada prawo do swobodnego kreowania strategii marketingowej, jednakże Minister Zdrowia z olbrzymim niepokojem obserwuje eskalację praktyk skrajnie nieetycznych, gdzie „sprzedawca” intencjonalnie, w celu wywołania presji społecznej, wprowadza chorych w błędne przekonanie jakoby dostarczenie pacjentom określonego produktu leczniczego miało, mimo ciężkiej choroby, wydłużyć ludzkie życie, a nawet spowodować wyzdrowienie. Działanie takie jest sprzeczne z Kodeksem Dobrych Praktyk Przemysłu Farmaceutycznego⁷, zasadami deontologii oraz fundamentalnymi zasadami uczciwości. Efektem ubocznym takich praktyk dezinformacyjnych jest nie tylko narastanie lęków ciężko dotkniętych przez los osób codziennie walczących z chorobą nowotworową, ale także kreowania braku zaufania do lekarzy, poczucia odrzucenia przez Państwo, poczucia niesprawiedliwości, oszukania i bezradności. Co najbardziej przerażające - w obliczu, iż są to profesjonalne, precyzyjnie koordynowane strategie marketingowe- adresatami takiej dezinformacji są nierzadko osoby znajdujące się w terminalnej fazie choroby, którym współczesna medycyna nie może już pomóc. W kontekście powyższego zaniepokojenie budzi fakt, iż wśród firm farmaceutycznych wspierających Fundację znajdują się dwa duże koncerny farmaceutyczne działające również na polu onkologii, a ich czołowi przedstawiciele zasiadają również we władzach Polsko-Szwajcarskiej Izby Gospodarczej⁸.

⁷http://infarma.pl/fileadmin/templates/infarma_v1.0/design/gfx/KodeksDobrychPraktyk_Wyd_2_201014_PL.PDF.

⁸ <http://swisschamber.pl/zarzad.php>.

Minister Zdrowia nie może się zgodzić z zarzutem jakoby decyzje w zakresie refundacji były podejmowane w sposób mało transparentny. Od 1 stycznia 2012 r. tryb postępowania w zakresie refundacji leków, wyrobów medycznych oraz środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego został uregulowany przez ustawę o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 345), która reguluje zarówno zadania Organu jak i podmiotów odpowiedzialnych czy ich przedstawicieli. Przedmiotowa regulacja powstała właśnie z potrzeby ujednolicenia jak i transparentności działań w zakresie refundacji, w tym również w związku z wymogami prawodawstwa Unii Europejskiej. Pragnę zwrócić uwagę na fakt, że jeszcze w 2014 r. Minister Zdrowia przekazał, po przeprowadzeniu uprzednich konsultacji wewnętrznych oraz przeanalizowaniu przepisów obowiązującego prawa, Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych zalecenia postępowania w zakresie „zaczerniania” informacji w dokumentach publikowanych na stronach Agencji oraz w jej Biuletynie Informacji Publicznej. Dotyczyło to zakresu informacji, w którym, Minister Zdrowia widzi słuszny interes w tym aby osoby Zainteresowane, np. pacjenci lub organizacje ich zrzeszające, miały dostęp do danych dotyczących rozważanych przez Ministra Zdrowia do objęcia refundacją nowych substancjach czynnych. W szczególności dotyczy to dostępu do informacji stanowiących wynik oceny technologii medycznych w zakresie bezpieczeństwa stosowania leku, refundacji w innych krajach, wyników badań klinicznych, wskaźników farmakoeconomicznych takich jak inkrementalny współczynnik użyteczności kosztów (ICUR), inkrementalny współczynnik efektywności kosztów (ICER), informacji o skuteczności klinicznej i praktycznej, uzyskiwanych efektach zdrowotnych, działaniach niepożądanych, dostępnych dowodach naukowych czy wpływie ewentualnej decyzji o objęciu refundacją na budżet płatnika publicznego⁹. Na podstawie bowiem wskazanego powyżej zakresu informacji, uwzględniając przesłanki ustawowe zawarte w art. 12 ustawy o refundacji, Minister Zdrowia podejmuje decyzje odnośnie refundacji i ustaleniu urzędowej ceny leków. Jest to tylko jedno z działań mających na celu zwiększenie transparentności w zakresie podejmowanych decyzji ale także zwiększenia świadomości społecznej odnośnie wartości terapeutycznej leków, ich bezpieczeństwa oraz kosztów ekonomicznych podejmowanych decyzji. Pragnę zauważyć, że ten wrażliwy społecznie obszar jakim jest terapia chorób nowotworowych jest uważany przez kolejnych sprawujących urząd Ministrów Zdrowia jako priorytetowy. Zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 21 sierpnia

⁹ <http://www.aotm.gov.pl/www/index.php?id=876>.

2009 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych zmniejszenie zachorowalności i przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów złośliwych jest wymieniane jako jeden z priorytetów zdrowotnych (Dz. U. 2009 nr 137, poz. 1126). O istotności powyższego świadczą zarówno realizowany wieloletni Narodowy Program Zwalczania Chorób Nowotworowych, działania mające na celu poprawę dostępu do diagnostyki i leczenia chorób nowotworowych realizowane w ramach Pakietu Onkologicznego, jak i systematyczne zmiany w zakresie świadczeń gwarantowanych zarówno wśród świadczeń lekowych, jak i nielekowych.

Uprzejmie informuję, iż w opinii Ministra Zdrowia ocena efektywności chemioterapii nowotworów wyłącznie w kontekście liczby leków udostępnianych w ramach systemu refundacyjnego nie może być w sposób bezpośredni przekładana na jakość dostępnej i stosowanej terapii, zaś z całą pewnością o wartości danego postępowania farmakologicznego nie decyduje nazwa leku, jego producent, data jego dopuszczenia do obrotu, ale jego rzeczywista wartość terapeutyczna. Właśnie na tą rzeczywistą wartość należy zwrócić uwagę jako faktycznie warunkującą poprawę w zakresie skuteczności stosowanych terapii. Bezspornie należy podkreślić, że tempo w jakim wprowadzane są do obrotu nowe technologie medyczne, w tym również te stosowane w chorobach nowotworowych oraz jednocześnie brak możliwości pełnego sfinansowania kosztów nowych technologii lekowych przez płatnika publicznego lub inne równoważne, komplementarne systemy ubezpieczeniowe, sprawia, że na całym świecie istnieje konieczność poszukiwania rozwiązań pozwalających wyłonić najbardziej wartościowe metody, które następnie będą implementowane w ramach krajowego systemu refundacyjnego. Należy zauważyć, analizując zarówno aktualne obwieszczenie Ministra Zdrowia *w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*, jak i treść wniosków o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny, że terapie przeciwnowotworowe należą do najdroższych. W związku z powyższym jedynie kompleksowa i obiektywna ocena poszczególnych terapii, zarówno w zakresie ich skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa, jak i efektywności kosztowej, pozwala na wyłonienie metod najbardziej wartościowych i bezpiecznych, których koszt jest akceptowalny w warunkach ekonomicznych w danym kraju.

W Polsce – podobnie jak we wszystkich krajach – priorytetem systemu opieki zdrowotnej jest sprawiedliwe społecznie gospodarowanie publicznymi środkami przeznaczonymi na finansowanie świadczeń zdrowotnych. Ustawa o refundacji

nakłada na ministra właściwego ds. zdrowia obowiązek gospodarowania środkami pochodzącymi ze składek obywateli w sposób racjonalny, tj. zapewniający wszystkim obywatelom mającym zróżnicowane potrzeby zdrowotne sprawiedliwy dostęp do skutecznych terapii. Podstawą tak rozumianej sprawiedliwości społecznej jest podejmowanie decyzji dotyczących alokacji publicznych zasobów systemowych w oparciu o jednolite, powtarzalne i przejrzyste kryteria stosowania wobec zróżnicowanych potrzeb zdrowotnych wielu grup pacjentów.

Narzędziem stosowanym do obiektywizacji oceny skuteczności, efektywności oraz bezpieczeństwa porównywanych ze sobą różnych leków jest ocena technologii medycznych. Złożone analizy farmakoekonomiczne pozwalają na ocenę takich parametrów jak ilość uzyskanych lat życia, ocena jakości życia oraz relacja tych wartości do kosztów analizowanej terapii. Pozwala to na obiektywizację podejmowanych decyzji poprzez ocenę tzw. koszt-efektywności. Jest to szczególnie istotne, ponieważ wszystkie decyzje refundacyjne skutkują wydatkowaniem środków na obrany cel i stanowią jednocześnie decyzje odmowne dla alternatywnych celów. Dlatego niezwykle istotne jest określenie poziomów akceptowalności społecznej kosztów technologii medycznych i zasad realizacji naczelnej zasady równości obywateli i sprawiedliwości w aspekcie refundacji leków. Doświadczenia wielu krajów wskazują, iż poziom kosztów farmakoterapii musi pozostawać w odgórnie określonej relacji do zasobów systemowych. W tym celu należy w sposób obiektywny ocenić korzyści stosowanej terapii oraz jej koszty. Pod pojęciem korzyści rozumiemy zarówno wydłużenie życia, jak i poprawę jakości życia, która jest pochodną ustępowania objawów chorobowych. Za racjonalny próg akceptowalnego społecznie, sprawiedliwego kosztu terapii uznaje się w różnych krajach 1,5-3,0 PKB za 1 rok życia skorygowanego o jakość, tj. w warunkach polskich 3xPKB per capita tj. 119 577 PLN/QALY.

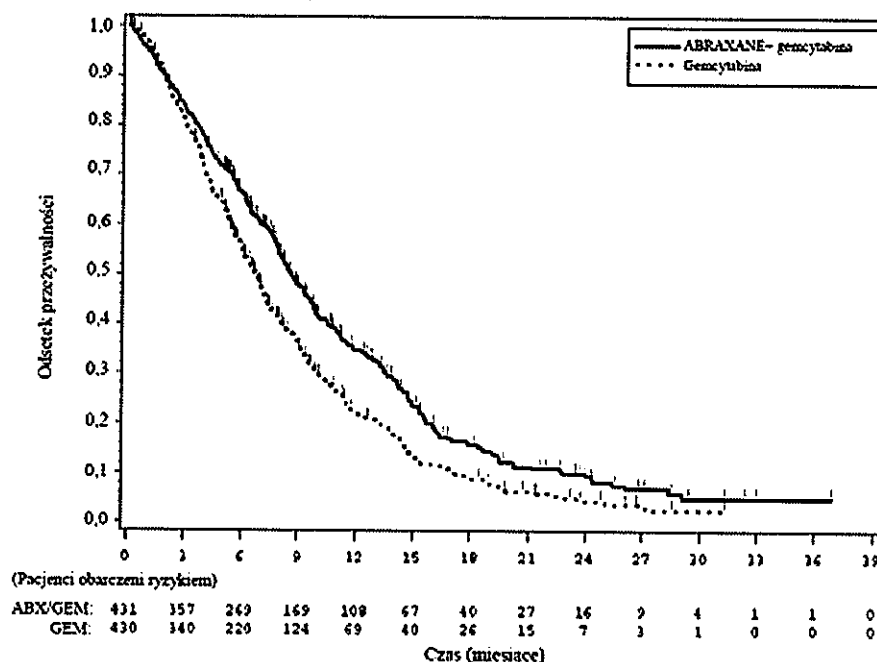
Odnosząc się do dokonanego w raporcie wyboru 30 terapii, których dostępność była oceniana w 13 wybranych krajach, uprzejmie informuję:

a) w zakresie leków nie objętych refundacją:

1. Abraxane (*paklitaksel w postaci nanocząsteczkowego kompleksu z albuminą*), był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2014 r. w związku z procesem weryfikacji zakresu świadczenia gwarantowanego - chemioterapia niestandardowa. Zakres oceny dotyczył zastosowania leku w nowotworach

złośliwych trzustki. Prezes Agencji zarekomendował usunięcie z wykazu świadczeń gwarantowanych podania leku w rozważanych wskazaniach wskazując na nieznacznie większą skuteczność schematu zawierającego oceniany lek i *gemcytabinę* w porównaniu do monoterapii *gemcytabiną* przy jednoczesnym wysokim koszcie takiej terapii, który sprawia że inkrementalny współczynnik efektywności kosztów znacząco przekracza ustawowo przyjęty próg opłacalności - rekomendacja Prezesa Agencji nr 180/2014 z dnia 28 lipca 2014 r. W celu zobrazowania skuteczności leku Abraxane w terapii raka trzustki poniżej przedstawiono krzywą (krzywa Kaplana-Meiera) obrazującą przeżywalność pacjentów z rakiem trzustki leczonych lekiem Abraxane i *gemcytabiną* oraz chemioterapią z zastosowaniem wyłącznie *gemcytabiny*. Przebieg krzywych dla ocenianego leku oraz komparatora wskazuje, co jest zgodne z wnioskami z rekomendacji Prezesa Agencji, na niewielką różnicę w skuteczności leku w porównaniu z komparatorem.

Ryc. 1 Krzywa przeżywalności ogółem Kaplana-Meiera (grupa przeznaczona do leczenia).



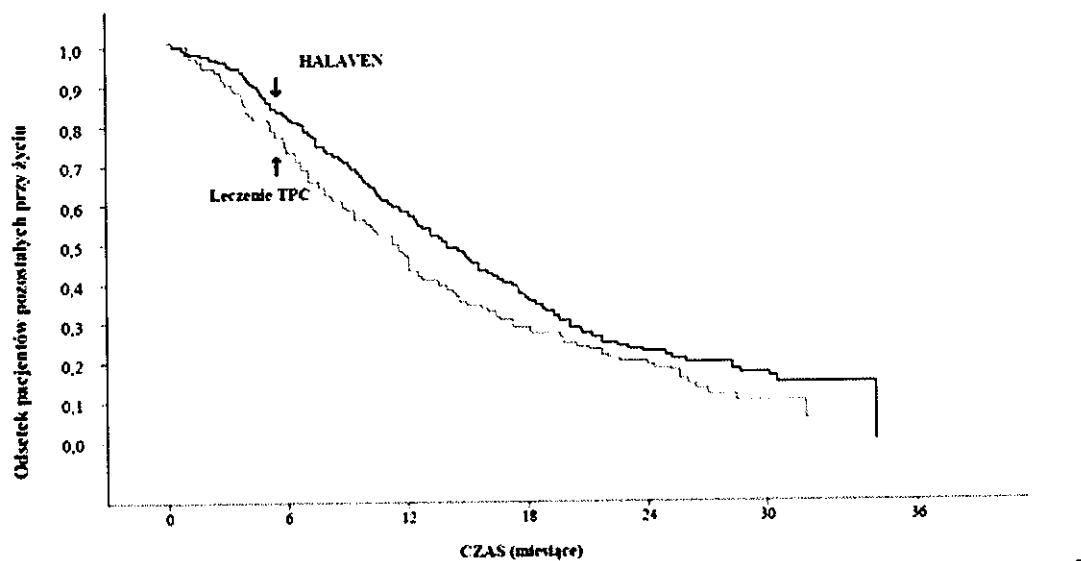
Dla pozostałych wskazań rejestracyjnych leku Abraxane odnotowano:

- w przypadku terapii raka piersi medianę czasu do progresji (TTP): 20,9 tyg. Abraxane vs. 16,1 tyg. paklitaksel konwencjonalny, medianę przeżycia całkowitego

- (OS): 56,4 tyg. Abraxane vs. 46,7 tyg. paklitaksel konwencjonalny oraz brak opisanych wyleczeń.
- w przypadku terapii raka płuca medianę czasu do progresji (TTP): 6,8 tyg. Abraxane vs. 6,5 tyg. paklitaksel konwencjonalny, mediana przeżycia całkowitego (OS): 12,1 tyg. Abraxane vs. 11,2 tyg. paklitaksel konwencjonalny oraz brak opisanych wyleczeń.
2. Adcetris (*brentuksymab vedotin*), był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2013 r. w związku z wpłynięciem wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny w ramach programu lekowego „Leczenie chłoniaków CD 30+ (C81 Choroba Hodgkina; C84.5 inne i nieokreślone chłoniaki T)”. Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych, w rekomendacji nr 96/2013 z dnia 5 sierpnia 2013 r. uznał objęcie refundacją leku Adcetris za niezasadne. W uzasadnieniu rekomendacji wskazano, że w analizach załączonych do wniosku Wnioskodawca nie udokumentował przewagi stosowania *brentuksymabu vedotin* nad schematami chemioterapii stosowanymi w przypadku nawrotu bądź chemioterapią wspomaganą powtórny przeszczepem (autologicznym lub allogenicznym). Analiza farmakoekonomiczna wykazała, że w warunkach polskich koszt stosowania *brentuksymabu vedotin* przekracza próg przyjmowany dla technologii efektywnych kosztowo. Prezes Agencji zaznaczył również, że Adcetris uzyskał warunkowe pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terenie Unii Europejskiej przy czym warunki dopuszczenia do obrotu obejmują prowadzenie dalszych badań dotyczących zarówno skuteczności jak i bezpieczeństwa stosowania leku. Dodatkowo nie jest wystarczająco jasno określony sposób dawkowania wnioskowanego produktu (ile cykli leczenia należy podawać pacjentom w celu uzyskania trwałej odpowiedzi).
- Przedmiotowe postępowanie zakończone zostało wydaniem w dniu 4 czerwca 2014 r. decyzji o odmowie objęcia refundacją leku Adcetris w ramach ww. programu lekowego. W związku z odwołaniem się właściwego w sprawie podmiotu odpowiedzialnego od przedmiotowej decyzji Minister Zdrowia po ponownym przeanalizowaniu całości zgromadzonego materiału dowodowego w dniu 11 maja 2015 r. wydał decyzję administracyjną, w której utrzymał w mocy decyzję z dnia 4 czerwca 2014 r. W dniu 29 maja 2015 r. uprawniony podmiot złożył ponownie wniosek w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Adcetris, załączając nowe analizy, w których uwzględnił najnowsze wyniki badań dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania ww. leku.

3. Dacogen (*decytabina*), do Ministra Zdrowia nie wpłynął wniosek o objęcie refundacją przedmiotowego leku.
4. Halaven (*erybulina*), był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2013 r. w związku z wpłynięciem wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny w ramach programu lekowego „Leczenie miejscowo zaawansowanego i przerzutowego raka piersi” - po uprzednim zastosowaniu co najmniej dwóch schematów chemioterapii w leczeniu zaawansowanej postaci choroby. Prezes Agencji wydał negatywną rekomendację nr 88/2013, w której w ślad za stanowiskiem Rady Przejrzystości nie rekomenduje objęcia refundacją przedmiotowego leku w ramach programu lekowego. W uzasadnieniu wskazano na fakt, że na podstawie przedłożonych dowodów (jedno badanie rejestracyjne) trudno wnioskować o skuteczności klinicznej leku w populacji objętej zakresem programu lekowego przedłożonego przez wnioskodawcę (grupę kontrolną w badaniu rejestracyjnym stanowili chorzy otrzymujący różne schematy leczenia określone jako leczenie z wyboru lekarza, co utrudnia wnioskowanie o skuteczności ocenianego leku w stosunku do poszczególnych schematów leczniczych). Jednocześnie w rekomendacji zaznaczono, że lek nie jest efektywny kosztowo. Biorąc powyższe pod uwagę Minister Zdrowia wydał negatywne decyzje w przedmiocie objęcia refundacją i ustalenie urzędowej ceny leku.
W celu zobrazowania skuteczności leku w rozważanym wskazaniu poniżej przedstawiono krzywą (krzywa Kaplana-Meiera) przedstawiającą przeżywalność pacjentów z rakiem piersi leczonych lekiem Halaven oraz chemioterapią zgodną z wyborem lekarza. Przebieg poniższych krzywych wskazuje, co jest zgodne z treścią rekomendacji Prezesa Agencji, na niewielką różnicę w skuteczności leku w porównaniu ze stosowanymi komparatorami.

Ryc. 2 Krzywa przeżywalności ogółem Kaplana-Meiera.



Jednocześnie należy zauważyć, iż podczas oceny zasadności finansowania leku Halaven w ramach Cancer Drugs Fund (CDF) w grudniu 2014 r. panel ekspertów CDF stwierdził, że korzyści kliniczne ze stosowania *erybuliny* w III linii leczenia miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego raka piersi są niewystarczające aby uzasadniać dalsze finansowanie leku w ramach Cancer Drugs Fund¹⁰. Zgodnie z treścią dokumentu „National Cancer Drugs Fund List, Ver4.2” od 21 lipca 2015 r. lek nie będzie ujęty w wykazie leków nadal finansowanych w ramach Cancer Drugs Fund¹¹.

5. Jakavi (*ruksolitynib*), był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2014 r. w związku z wnioskiem o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny w programie lekowym „Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej”. Prezes Agencji wydał pozytywną rekomendację nr 120/2014, w której uznał za zasadne finansowanie leku Jakavi w rozważanym wskazaniu. Jednocześnie w rekomendacji zaznaczono, że koszt terapii jest bardzo wysoki, przy czym przyjęty próg efektywności kosztowej jest przekroczony kilkukrotnie.

¹⁰ <http://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2015/05/cdf-decision-eribulin-3rd.pdf>

¹¹ <http://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2015/05/ncdf-list-may15-upd.pdf>

W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego od dnia 14 sierpnia 2014 r. bieg przedmiotowego postępowania jest zawieszony. Jednocześnie należy zauważyć, że zgodnie z rekomendacją brytyjskiej agencji oceniającej technologie medyczne NICE (National Institute for Health and Care Excellence) - wytyczne oceny TA289 z czerwca 2013 r., nie rekomenduje ona stosowania *ruksolitynibu* u pacjentów z powiększoną śledzioną oraz symptomami mielofibrozy. Jak wskazano, zastosowanie *ruksolitynibu* nie zapewnia wystarczających korzyści, które uzasadniałyby jego wysoki koszt mimo, iż NICE stosuje specjalne kryteria do oceny terapii, która może wpłynąć na przedłużenie życia w przypadku pacjentów w zaawansowanych stadiach choroby¹².

6. Jevtana (*kabazytaksel*), był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2012 r. w związku z procesem weryfikacji zakresu świadczenia gwarantowanego – chemioterapia niestandardowa. Zakres oceny dotyczył zastosowania leku w leczeniu pacjentów z hormonoopornym rakiem gruczołu krokowego z przerzutami, leczonych wcześniej schematem chemioterapii zawierającymi *docetaksel*. Prezes Agencji zarekomendował usunięcie z wykazu świadczeń gwarantowanych podania leku w rozważanych wskazaniach podkreślając fakt, że jedyne dostępne badanie kliniczne wykazało wydłużenie mediany przeżycia całkowitego o 2,5 miesiąca przy jednoczesnym wysokim odsetku występowania działań niepożądanych. Dodatkowo wyniki analizy ekonomicznej oraz wpływu na budżet wykazują na wysokie koszty leczenia - rekomendacja Prezesa Agencji nr 28/2012 z dnia 25 czerwca 2012 r. Zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego ds. Onkologii Klinicznej, przedstawioną w toku oceny leku przez Agencję Oceny Technologii Medycznych, finansowanie przedmiotowego leku nie jest uzasadnione z uwagi na „niekorzystny stosunek możliwych do uzyskania korzyści (niewielkie wydłużenie wskaźników przeżycia) wobec wysokiego ryzyka niepożądanych działań (powikłania o znacznym nasileniu i stanowiące zagrożenie życia)”. Dodatkowo Konsultant wskazał na fakt braku udokumentowanego korzystnego wpływu na jakość życia chorych. Również w odniesieniu do leku Jevtana należy zauważyć, iż podczas oceny zasadności finansowania leku w ramach Cancer Drugs Fund (CDF) w grudniu 2014 r. panel ekspertów CDF stwierdził, że korzyści kliniczne ze stosowania *kabazytakselu* w populacji pacjentów z nowotworem hormonoopornym, którzy

¹² <http://www.nice.org.uk/guidance/ta289>

otrzymali wcześniejsze leczenie z *docetakselem* jest niewystarczające aby podtrzymać jego finansowanie w ramach CDF¹³. Zgodnie z treścią dokumentu „National Cancer Drugs Fund List, Ver4.2” od 12 marca 2015 r. lek nie będzie ujęty w wykazie leków nadal finansowanych w ramach Cancer Drugs Fund¹⁴.

7. Kadcyła (*trastuzumab emtazyna*), do Ministra Zdrowia nie wpłynął wniosek o objęcie refundacją przedmiotowego leku.
8. Perjeta (*pertuzumab*), był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2013 r. w związku z wnioskiem o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny w programie lekowym „Leczenie chorych na zaawansowanego raka piersi”. Prezes Agencji wydał pozytywną rekomendację nr 178/2013 zaznaczając jednocześnie, iż warunkiem finansowania terapii ze środków publicznych powinno być osiągnięcie efektywności kosztowej terapii. Zaproponowane przez Wnioskodawcę warunki finansowe, biorąc pod uwagę ograniczone środki finansowe na refundację, przy braku efektywności kosztowej, spowodowały, że Minister Zdrowia wydał odmowną decyzję administracyjną w zakresie objęcia refundacją *pertuzumabu*. W dniu 4 listopada 2014 r. Minister Zdrowia na skutek ponownego rozpoznania sprawy utrzymał w mocy decyzję wydaną w pierwszej instancji. W dniu 6 maja 2015 r. Wojewódzki Sąd Administracyjny oddalił skargę Wnioskodawcy w przedmiotowym zakresie. Stronie przysługuje możliwość złożenia skargi kasacyjnej do Naczelnego Sądu Administracyjnego.
Jednocześnie należy zauważyć, że w odniesieniu do przedmiotowego produktu leczniczego nie opisano wyleczeń.
9. Stivarga (*regorafenib*), stosowany w ramach programu lekowego „Leczenie nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego (GIST)” był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2015 r. Prezes Agencji wydał negatywną rekomendację nr 19/2015. Zgodnie z przedmiotową rekomendacją brak jest udowodnionej wyższej skuteczności *regorafenibu* w stosunku do aktualnie refundowanego w przedmiotowym wskazaniu *sorafenibu*. Jednocześnie lek jest droższy niż aktualnie finansowany *sorafenib*, co w opinii Prezesa, w przypadku objęcia go refundacją może spowodować ograniczenie dostępu do świadczeń.

¹³ <http://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2015/01/ncdf-summ-cabaztxl-post-doctxl.pdf>.

¹⁴ <http://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2015/05/ncdf-list-may15-upd.pdf>

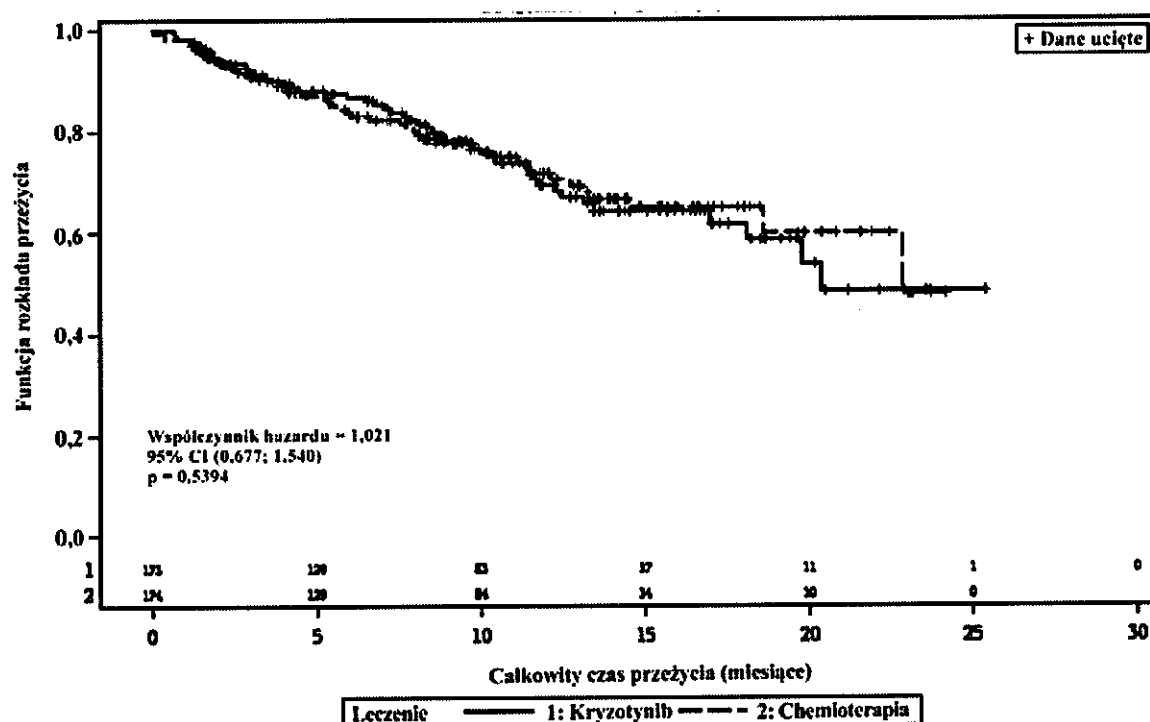
W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego od dnia 28 kwietnia 2014 r. bieg przedmiotowego postępowania jest zawieszony.

Dodatkowo należy stwierdzić, że stosowanie leku Stivarga w leczeniu raka jelita grubego było przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2012 r. W rekomendacji nr 122/2012 Prezes Agencji, w ślad za Radą Przejrzystości, uznał finansowanie terapii raka jelita grubego z zastosowaniem *regorafenibu* za nieuzasadnione z uwagi na to, że lek w niewielkim stopniu (o około półtora miesiąca) wydłuża przeżycie chorych z zaawansowanym, rozsianym rakiem jelita grubego i nieznacznie, bo tylko o około tydzień przedłuża okres wolny od progresji choroby u osób, u których standardowe metody leczenia nie powiodły się przy jednocześnie wysokim ryzyku występowania niepożądanych działań, mogących obniżyć jakość życia.

10. Xalkori (*kryzotynib*), w ramach programu lekowego „Leczenie nie drobnokomórkowego raka płuca ALK-dodatniego” był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2013 r. Prezes Agencji wydał negatywną rekomendację nr 114/2013. Zgodnie z przedmiotową rekomendacją dowody dotyczące skuteczności leku pochodzą z pojedynczego, niezaślepionego, dwuramiennego badania 3 fazy, w którym nie potwierdzono wydłużenia całkowitego czasu przeżycia pacjentów, a jedynie uzyskano wydłużenie czasu do progresji choroby z 3 do 7,7 miesiąca i subiektywne odczucie poprawy jakości życia. Co więcej przedmiotowe badanie odznaczało się ograniczeniami zaś parametry farmakoekonomiczne wskazują, że technologia nie jest efektywna kosztowo. Dodatkowa analiza przedmiotowego problemu w grudniu 2014 r. nie doprowadziła do uzyskania odmiennego wnioskowania niż uzyskane w treści rekomendacji, przy czym jako istotne ograniczenia aktualizacji przedłożonej przez wnioskodawcę Agencja uznała między innymi pominięcie jednego z komparatorów oraz niezgodne z problemem decyzyjnym porównanie schematów leczenia. W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego od dnia 28 stycznia 2015 r. bieg przedmiotowego postępowania jest zawieszony.

Poniżej przedstawiono krzywą obrazującą przeżywalność pacjentów z rakiem płuca leczonych lekiem Xalkori oraz chemioterapią, która wskazuje, co jest zgodne z treścią rekomendacji Prezesa Agencji, na niewielką różnicę w skuteczności leku w porównaniu z komparatorami.

Ryc. 3 Krzywa przeżywalności ogółem Kaplana-Meiera.



11. Zaltrap (*afibercept*), stosowany w ramach programu lekowego „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego” – II linia leczenia, był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2014 r. Prezes Agencji wydał pozytywną rekomendację nr 131/2014. Zgodnie z przedmiotową rekomendacją wykazano istotną statystycznie przewagę *afiberceptu* dodanego do chemioterapii w schemacie FOLFIRI nad schematem FOLFIRI jednakże różnica w medianie przeżycia całkowitego (OS) wynosiła 1,44 miesiąca, zaś w zakresie przeżycia wolnego od progresji (PFS) 2,23 miesiąca. Jednocześnie porównanie pośrednie z *bewacyzumabem* nie wykazało istotnych statystycznie różnic w zakresie przeżycia całkowitego, czasu do progresji, obiektywnej odpowiedzi na leczenie czy bezpieczeństwa. Co więcej dodatkowa analiza warunków ekonomicznych oraz prognozowanego wpływu na budżet sugeruje, iż objęcie refundacją leku nie będzie wiązać się z oszczędnościami, a dodatkowymi wydatkami z budżetu płatnika. Jednocześnie należy zauważyć, iż brytyjska agencja zajmująca się oceną technologii medycznych (NICE) w marcu 2014 r. wydała negatywną rekomendację dotyczącą finansowania przedmiotowego leku zwracając uwagę na fakt

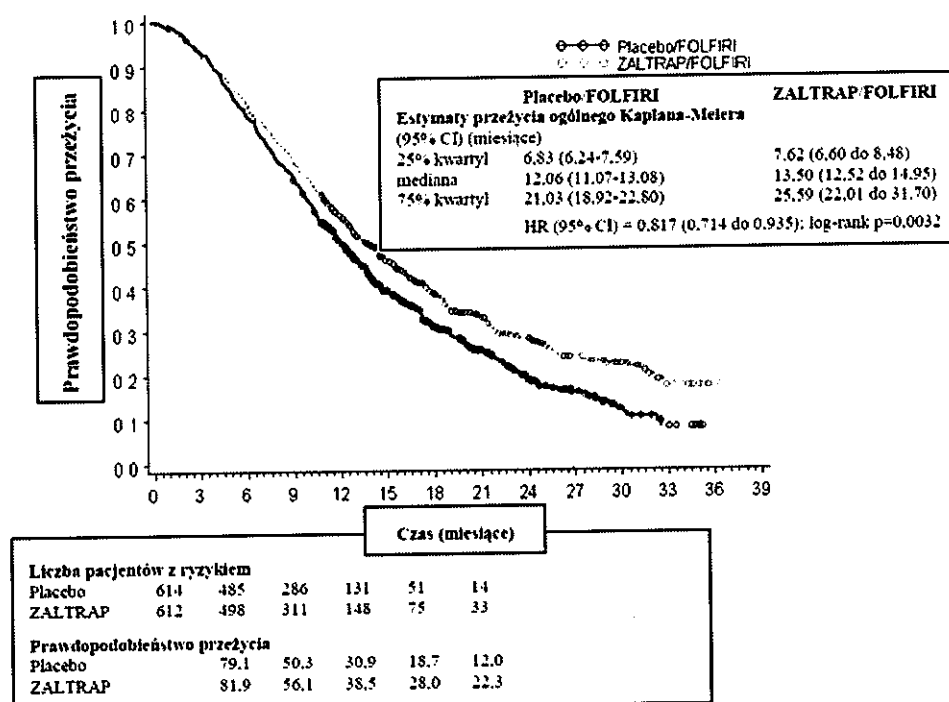
niepewności związanej z ekstrapolowaniem przeżycia całkowitego oraz jego implementacją do modelu, co wobec braku innych dowodów w przedmiotowym zakresie, wg komitetu doradczego (EGFR), nie jest wystarczające aby przyjąć, że kryterium 3 miesięcznego przeżycia zostało spełnione¹⁵. W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego od dnia 20 kwietnia 2015 r. bieg przedmiotowego postępowania jest zawieszony.

Jednocześnie należy zauważyć, iż podczas oceny zasadności finansowania leku Zaltrap w ramach Cancer Drugs Fund (CDF) w styczniu 2015 r. panel ekspertów CDF stwierdził, że korzyści kliniczne ze stosowania *afliberceptu* w połączeniu z chemioterapią opartą na *irynotekanie* w II linii leczenia przerzutowego raka jelita grubego są niewystarczające aby uzasadniać dalsze finansowanie leku w ramach Cancer Drugs Fund. Zgodnie z treścią dokumentu „National Cancer Drugs Fund List, Ver4.2” od marca 2015 r. lek nie będzie ujęty w wykazie leków nadal finansowanych w ramach Cancer Drugs Fund.

Poniżej przedstawiono krzywą obrazującą przeżywalność pacjentów z rakiem jelita grubego leczonych lekiem Zaltrap w połączeniu z chemioterapią (schemat FOLFIRI) oraz komparatorem – schemat FOLFIRI, która wskazuje, co jest zgodne z treścią rekomendacji Prezesa Agencji, na niewielką różnicę w skuteczności leku w porównaniu z komparatorem.

¹⁵ <https://www.nice.org.uk/guidance/TA307/chapter/4-Consideration-of-the-evidence#cost-effectiveness>.

Ryc. 4 Krzywa przeżywalności ogółem Kaplana-Meiera (populacja ITT).



b) w zakresie leków objętych refundacją:

1. Afinitor (*everolimus*), lek jest objęty finansowaniem w ramach następujących programów lekowych:

— Leczenie raka nerki,

— Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki.

Jednocześnie należy zauważyć, iż Afinitor we wskazaniu „Leczenie zaawansowanego raka piersi z ekspresją receptorów hormonalnych, bez nadekspresji HER2/neu w skojarzeniu z eksamestanem u kobiet po menopauzie bez objawów klinicznych związanych z zajęciem narządów wewnętrznych, które wpływa na ich czynność, po wystąpieniu wznowy lub progresji po leczeniu niesteroidowym inhibitorem aromatazy”, był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2013 r. Prezes Agencji wydał negatywną rekomendację nr 84/2013, w której wskazał na brak dowodów korzystnego wpływu leku na przeżycie całkowite i jakość życia chorych oraz brak efektywności kosztowej. Minister Zdrowia po rozpatrzeniu całości materiału

zebranego w sprawie odmówił objęcia refundacją leku Afinitoru w wyżej opisanym wskazaniu. W chwili obecnej toczy się przed Ministrem Zdrowia postępowanie odwoławcze w przedmiotowym zakresie.

2. Avastin (*bewacyzumab*), lek jest objęty finansowaniem w ramach następujących programów lekowych:

- Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego - II linia leczenia,
- Leczenie chorych na zaawansowanego raka jajnika - I linia leczenia.

Należy zauważyć, iż zgodnie z aktualnie obowiązującym dokumentem Charakterystyki Produktu Leczniczego Avastin jest on wskazany do stosowania w następujących wskazaniach: rak okrężnicy lub odbytnicy z przerzutami, w skojarzeniu z *paklitakselem* lub *kapecytabiną*; I linia leczenia rozlanego raka piersi, w skojarzeniu z pochodnymi platyny; I linia leczenia nieoperacyjnego, zaawansowanego, z przerzutami lub nawrotowego, niedrobnokomórkowego raka płuca o histologii innej niż w przeważającym stopniu płaskonabłonkowa; z *interferonem alfa-2a* w leczeniu I linii zaawansowanego i (lub) rozlanego raka nerki; w skojarzeniu z *karboplatiną* i *paklitakselem* w pierwszej linii leczenia zaawansowanego raka jajnika, jajowodu i pierwotnego raka otrzewnej; w skojarzeniu z *karboplatiną* i *gemcytabiną* w przypadku pierwszego nawrotu wrażliwego na związki platyny raka jajnika, raka jajowodu lub pierwotnego raka otrzewnej w przypadku niestosowania uprzednio *bewacyzumabu* lub innych leków działających anty VEGF; w skojarzeniu z *paklitakselem*, *topotekanem* lub *pegylowana liposomalną doksorubicyną* w przypadku nawrotu opornego na związki platyny raka jajnika, raka jajowodu lub pierwotnego raka otrzewnej - w przypadku uprzedniego stosowania nie więcej niż dwóch schematów chemioterapii i w przypadku niestosowania wcześniej *bewacyzumabu* oraz innych leków anty VEGF oraz w skojarzeniu z *paklitakselem* i *cisplatyną* lub w skojarzeniu z *paklitakselem* i *topotekanem* w leczeniu przetrwałego, nawrotowego lub przerzutowego raka szyjki macicy.

Minister Zdrowia rozważył, poza ww. wskazaniami objętymi finansowaniem ze środków publicznych, refundację leku w następujących wskazaniach:

- Leczenie raka nerki przy wykorzystaniu substancji czynnej *bewacyzumab* w skojarzeniu z immunoterapią *interferonem*,
- Leczenie chorych na zaawansowanego raka jelita grubego- I linia leczenia,
- Terapia skojarzona produktem Avastin z chemioterapią opartą o *paklitaksel* jako leczenie pierwszego rzutu u pacjentów z rozlanym rakiem nerki,

- Leczenie raka płuca o histologii innej niż w przeważającym stopniu płaskonabłonkowa,
- Leczenie guzów mózgu,
- Nowotwór złośliwy szyjki macicy.

Jak wynika z porównania zakresu Charakterystyki Produktu Leczniczego oraz przeprowadzonego zakresu oceny większość zarejestrowanych wskazań dla leku Avastin została oceniona przez Agencję Oceny Technologii Medycznych.

Wyniki przeprowadzonej oceny wskazują:

- zgodnie ze Stanowiskiem Rady Konsultacyjnej nr 28/10/26/2009 z dnia 14 grudnia 2009 r., zakwalifikowanie leczenia raka nerkowokomórkowego z zastosowaniem leku Avastin w połączeniu z *interferonem alfa-2a* jako świadczenia gwarantowanego, uznano za niezasadne, podtrzymując tym samym wnioski płynące ze stanowiska nr 38/11/2009 z dnia 25 maja 2009 r. Rada Konsultacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych wskazała, że dostępne dowody wskazują, że „*bewacyzumab* nie wpływa na ogólne przeżycie pacjentów, a tylko wydłuża czas przeżycia bez progresji”. Porównanie pośrednie oraz opinie ekspertów wskazują, że lek jest mniej efektywny od innych technologii stosowanych w rozważanym wskazaniu. Ponadto lek jest obciążony częstymi, poważnymi, działaniami niepożądanymi i ma wiele przeciwwskazań zaś koszty terapii znacznie przekraczają próg efektywności kosztowej rekomendowany przez WHO.

W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego z roku 2014 r. o objęcie leku refundacją w powyższym wskazaniu Minister Zdrowia, na etapie uzgadniania treści programu lekowego, otrzymał negatywne stanowisko Konsultanta Wojewódzkiego ds. Onkologii Klinicznej, w którym wskazano, że zgodnie z wynikami badań III fazy dotyczącymi zastosowania leku Avastin w przedmiotowym wskazaniu, tj. AVOREN oraz CALGB 90206, wykazano istotne wydłużenie czasu wolnego od progresji (PFS) ale nie czasu przeżycia chorych (OS) leczonych *bewacyzumabem*, co było pierwszorzędowym punktem końcowym przyjętym w obu badaniach. W obu przedmiotowych badaniach nie osiągnięto zatem głównego punktu końcowego. Zgodnie z publikacjami Escudier 2010 oraz Rini 2010, w ramach których zaprezentowano ostateczne wyniki obu badań dotyczące dłuższego okresu obserwacji, uzyskano dane dotyczące czasu przeżycia, jednakże wyniki dla grupy, w której stosowany był *bewacyzumab* i *interferon* w porównaniu do grupy, w której stosowany był sam *interferon* nie wykazywały różnicy, która byłaby istotna statystycznie (dla badania AVOREN mediana OS wynosiła 23,3 vs 21,3 zaś dla

badania CALGB 18,3 vs 17,4). Zgodnie z opinią eksperta wspomniany brak różnic nie może być tłumaczony wpływem leczenia kolejnych linii ponieważ w obu badaniach częstość użycia kolejnych leków po progresji była podobna u chorych otrzymujących leczenie skojarzone z *bewacyzymabem* jak i tylko *interferonem*. Co więcej, zgodnie z opinią eksperta, w obydwu badaniach dodanie *bewacyzumabu* do interferonu w istotny sposób zwiększyło toksyczność leczenia. W badaniu CALGB 90206 objawy niepożądane co najmniej stopnia 3 dotyczyły 80% leczonych w sposób skojarzony w porównaniu do 63% leczonych wyłącznie *interferonem*, dla badania AVOREN było to odpowiednio 60% w porównaniu do 45%. Zgodnie z opinią eksperta wyniki przedmiotowego badania wskazują na brak zasadności co do dopuszczenia do obrotu leku Avastin w ww. wskazaniu. W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego od dnia 16 marca 2015 r. bieg przedmiotowego postępowania jest zawieszony.

- zgodnie z rekomendacją nr 43/2010 z dnia 20 grudnia 2010 r. w sprawie usunięcia świadczenia opieki zdrowotnej z wykazu świadczeń gwarantowanych albo zmiany jego poziomu finansowania, lub warunków realizacji, w odniesieniu do świadczenia gwarantowanego „Leczenie raka płuca o histologii innej niż w przeważającym stopniu płaskonabłonkowa przy wykorzystaniu produktu leczniczego Avastin” rozumianego jako wchodzące w skład programu terapeutycznego chemioterapii niestandardowej, Prezes Agencji zarekomendował usunięcie z wykazu świadczeń gwarantowanych świadczenia obejmującego podanie *bewacyzymabu* w ww. wskazaniu. Jako uzasadnienie negatywnej rekomendacji wskazano brak wpływu na ogólną śmiertelność, niską efektywność mierzoną zastępczymi punktami końcowymi oraz wysokie ryzyko wystąpienia licznych i poważnych działań niepożądanych, a także wysokie koszty terapii.
- zgodnie z rekomendacją nr 26/2011 z dnia 18 kwietnia 2011 r. w sprawie usunięcia z wykazu świadczeń gwarantowanych albo zmiany poziomu lub sposobu finansowania świadczenia opieki zdrowotnej „Terapia skojarzona produktem Avastin z chemioterapią opartą o *paklitaksel* jako leczenie pierwszego rzutu u pacjentów z rozsiałym rakiem piersi” rozumianego, jako wchodzącego w skład programu terapeutycznego chemioterapii niestandardowej, Prezes Agencji zarekomendował usunięcie przedmiotowego świadczenia z wykazu świadczeń gwarantowanych. Jako uzasadnienie podano brak mocnych dowodów świadczących o celowości stosowania *bewacyzumabu* w połączeniu z *paklitakselem*. Dostępne wyniki badań klinicznych nie potwierdzają w sposób jednoznaczny skuteczności przedmiotowego

leczenia przy czym dodatkowe korzyści kliniczne są niewspółmiernie małe w stosunku do niekorzystnego profilu bezpieczeństwa oraz wysokich kosztów leku.

- zgodnie z rekomendacją nr 74/2011 z dnia 17 października 2011 r. w sprawie usunięcia świadczenia opieki zdrowotnej „Bewacyzumab we wskazaniu leczenie guzów mózgu” z wykazu świadczeń gwarantowanych, realizowanych w ramach programu chemioterapii niestandardowej, Prezes Agencji zarekomendował usunięcie przedmiotowego świadczenia. Jako uzasadnienie wskazano niejasne korzyści kliniczne w leczeniu pacjentów z guzami mózgu przy jednoczesnych bardzo częstych działaniach niepożądanych, w tym zagrażających życiu. Dodatkowo należy zaznaczyć, iż w 2010 r. Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (Committee for Medicinal Products for Human Use –CHMP) wydał negatywną opinię odnośnie poszerzenia zakresu wskazań rejestracyjnych dla leku Avastin o leczenie nawrotowego glejaka. Komitet stwierdził, iż stosunek korzyści do ryzyka dla ocenianego wskazania, w monoterapii lub w skojarzeniu z *irynotekanem*, nie został wykazany¹⁶.
- zgodnie z rekomendacją nr 137/2014 z dnia 26 maja 2014 r. w sprawie usunięcia świadczenia opieki zdrowotnej obejmującego podanie *bewacyzumabu* w rozpoznaniach zakwalifikowanych do kodów ICD-10 C53 Nowotwór złośliwy szyjki macicy (w tym z rozszerzeniami C53.0, C53.1, C53.8, C53.9), realizowanego w ramach chemioterapii niestandardowej, Prezes Agencji zarekomendował usunięcie przedmiotowego świadczenia. Jako uzasadnienie wskazano, że wyniki jedyne go odnalezionego badania wskazują na potencjalną skuteczność wnioskowanej technologii i wpływ na wydłużenie mediany przeżycia całkowitego. Jednocześnie oszacowane bardzo wysokie koszty, brak efektywności kosztowej nie uzasadniają finansowania terapii ze środków publicznych.
- zgodnie z rekomendacją nr 10/2015 z dnia 9 lutego 2015 r. w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Avastin w ramach programu lekowego „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego”- pierwsza linia leczenia w skojarzeniu z chemioterapią wg schematu FOLFIRI, Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją ww. leku. Jako uzasadnienie wskazano, że biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości oraz całościowe wyniki oceny, brak jest podstaw aby uznać, że oceniana terapia wpłynie na poprawę zdrowotności pacjentów z zaawansowanym rakiem jelita grubego. Dodanie *bewacyzumabu* do

¹⁶ http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-_Assessment_Report_-_Variation/human/000582/WC500075000.pdf.

chemioterapii nie wpływa na wydłużenie czasu do progresji choroby w porównaniu do samej chemioterapii. Za negatywną rekomendacją przemawia również fakt niedostosowania analiz do rzeczywistości płatnika publicznego, przez co przedstawione oszacowania wskaźnika kosztów-efektywności oraz wpływu na budżet płatnika są obarczone wyższą niepewnością oszacowań. W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego od dnia 30 kwietnia 2015 r. bieg przedmiotowego postępowania jest zawieszony.

Jednocześnie należy zauważyć, iż podczas oceny zasadności finansowania leku Avastin w rozważanym wskazaniu w ramach Cancer Drugs Fund (CDF) w styczniu 2015 r. panel ekspertów CDF stwierdził, iż korzyści kliniczne ze stosowania *bewacyzumabu* w połączeniu z chemioterapią opartą na *irynotekanie* w I linii leczenia przerzutowego raka jelita grubego są niewystarczające aby uzasadniać dalsze finansowanie leku w ramach Cancer Drugs Fund. Zgodnie z treścią dokumentu „National Cancer Drugs Fund List, Ver4.2” od marca 2015 r. lek nie będzie ujęty w wykazie leków nadal finansowanych w ramach Cancer Drugs Fund.

3. Erbitux (*cetuksymab*), lek jest objęty finansowaniem w ramach następujących programów lekowych:

- *Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego - III linia leczenia,*
- *Leczenie płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie.*

Minister Zdrowia rozważał, poza ww. wskazaniami finansowanymi ze środków płatnika publicznego, refundację leku we wskazaniu „Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego”- I linia leczenia. Zgodnie z rekomendacją nr 160/2014 z dnia 30 czerwca 2014 r. Prezes Agencji zarekomendował objęcie leku Erbitux refundacją w przedmiotowym wskazaniu jednakże zaznaczył, iż konieczne jest zapewnienie efektywności kosztowej terapii. Należy zauważyć, iż długotrwałe negocjacje, tak Komisji Ekonomicznej jak i Ministra Zdrowia, nie doprowadziły to wypracowania warunków cenowych zapewniających efektywność kosztową rozważanej terapii. W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego od dnia 30 kwietnia 2015 r. bieg przedmiotowego postępowania jest zawieszony.

4. Inlyta (*aktytynib*), lek jest objęty finansowaniem w ramach programu lekowego *Leczenie raka nerki*. Zgodnie z Charakterystyka Produktu Leczniczego *produkt Inlyta jest wskazany w leczeniu dorosłych pacjentów z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym, po niepowodzeniu wcześniejszego leczenia sunitynibem lub cytokiną*. Jednocześnie należy zauważyć, iż wskazania wynikające z programu

lekowego obejmują również możliwość stosowania leku po niepowodzeniu terapii *pazopanibem* („udokumentowane niepowodzenie wcześniejszego leczenia z zastosowaniem wielokinazowych inhibitorów (*sunitynib*, *pazopanib* - w I linii leczenia) stosowanych jako leczenie poprzedzające lub po niepowodzeniu wcześniejszego leczenia cytokiną”), co choć nie zostało ujęte w ChPL, jest zgodne z Zaleceniami postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach złośliwych- 2013.

5. *Nexavar (sorafenib)*, lek jest objęty finansowaniem w ramach następujących programów lekowych:

- *Leczenie raka nerki - II linia leczenia*,
- *Leczenie nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego (GIST)*,
- *Leczenie raka wątrobowokomórkowego*.

Minister Zdrowia rozważał poza ww. wskazaniami refundację leku we wskazaniu „Leczenie zaawansowanego raka tarczycy opornego na leczenie jodem radioaktywnym”. Zgodnie z rekomendacją nr 9/2015 z 9 lutego 2015 r. Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją leku *Nexavar* w przedmiotowym wskazaniu. Jako uzasadnienie wskazano niepewny stosunek korzyści zdrowotnych do ryzyka zdrowotnego związanego z zastosowaniem leku *Nexavar* w terapii zaawansowanego raka tarczycy opornego na leczenie jodem radioaktywnym oraz niepewny wynik dotyczący opłacalności terapii. W związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego od dnia 24 kwietnia 2015 r. bieg przedmiotowego postępowania jest zawieszony.

6. *Sprycel (dasatynib)* i *Tasigna (nilotinib)*, leki objęte są finansowaniem w ramach programu lekowego *Leczenie przewlekłej białaczki szpikowej* - w przypadku wystąpienia oporność lub nietolerancji leczenia innymi inhibitorami kinazy tyrozynowej, tj. *imatynibem* lub odpowiednio *dasatynibem* albo *nilotinibem*.

Minister Zdrowia rozpatrywał wnioski uprawnionych podmiotów o zmianę obowiązującego programu lekowego i objęcie refundacją leków *Tasigna* i *Sprycel* w I linii leczenia przewlekłej białaczki szpikowej. Mając jednak na uwadze ustawowy wymóg racjonalnego gospodarowania środkami publicznymi, a także zapewniony dostęp dla pacjentów do terapii *imatynibem* w I linii leczenia, Minister Zdrowia odmówił objęcia refundacją leków *Tasigna* i *Sprycel* w leczeniu pacjentów z nowo rozpoznaną przewlekłą białaczką szpikową. Jednocześnie należy zauważyć, iż korzyści terapeutyczne z zastosowania *nilotinibu* czy też *dasatynibu* zamiast *imatynibu* w I linii leczenia nie uzasadniają drastycznej różnicy w kosztach

terapii. W przypadku *imatynibu* dostępne są bowiem odpowiedniki leku referencyjnego, co spowodowało znaczny spadek kosztów miesięcznej terapii tym inhibitorem kinazy tyrozynowej (koszt miesięcznej terapii *imatynibem* dla płatnika to obecnie ok. 1000 zł przy kilkunastu tysiącach dla ww. leków). Dodatkowo w rekomendacji nr 63/2012, z dnia 10 września 2012 r. dla leku Sprycel Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych nie rekomendował objęcia refundacją ww. leku m.in. ze względu na zwiększone ryzyko wystąpienia działań niepożądanych ze strony układu hematopoetycznego oraz wystąpienia wysięku opłucnowego.

Dodatkowo należy wskazać, iż od 1 stycznia 2015 r. lek Sprycel jest objęty refundacją w ramach programu lekowego *Leczenie dazatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem Filadelfia (Ph+)*.

6. Tyverb (*lapatynib*), lek jest objęty finansowaniem w ramach programu lekowego *Leczenie raka piersi*, w którym stosowany jest w leczeniu przerzutowego raka piersi w skojarzeniu z *kapecytabiną*.

Do Ministra Zdrowia wpłynął również wniosek dotyczący objęcia refundacją leku Tyverb w ramach programu lekowego „Lapatynib w skojarzeniu z inhibitorem aromatazy” jednak w związku z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego przedmiotowe postępowanie zostało w dniu 3 października 2012 r. zawieszone na etapie jego oceny przez Agencję Oceny Technologii Medycznych.

7. Yondelis (*trabektedyna*), lek jest objęty finansowaniem w ramach programu lekowego *Leczenie mięsaków tkanek miękkich*.

Dodatkowo *Yondelis* był przedmiotem oceny Agencji Oceny Technologii Medycznych w 2013 r. w związku z procesem weryfikacji zakresu świadczenia gwarantowanego - chemioterapia niestandardowa. Zakres oceny dotyczył zastosowania leku w nowotworze złośliwym jajnika. W rekomendacji nr 156/2013 z dnia 28 października 2013 r. Prezes Agencji zarekomendował usunięcie z wykazu świadczeń gwarantowanych podania leku w rozważanych wskazaniach argumentując, że wprawdzie randomizowane badanie trzeciej fazy wykazało przewagę stosowania *trabektydyny* z *pegylowanym liposomalnym chlorowodorkiem doksorubicyny* (PLDH) nad monoterpią PLDH dla czasu wolnego od progresji oraz współczynnika odpowiedzi na leczenie, jednakże nie wykazano istotnej zmiany przeżycia całkowitego, zaś samo badanie posiadało błędy metodologiczne ograniczające wiarygodność wyników. Dodatkowo dostępne dowody naukowe wskazują na wysoką toksyczność leku w porównaniu do innych schematów stosowanych w ocenianym wskazaniu. Brytyjska agencja HTA (NICE) nie

rekomendowała podawania *trabektydyny* u kobiet z rakiem jajnika. Jednocześnie należy zauważyć, iż podczas oceny zasadności finansowania leku Yondelis w rozważanym wskazaniu w ramach Cancer Drugs Fund (CDF) w styczniu 2015 r. panel ekspertów CDF stwierdził, iż korzyści kliniczne ze stosowania *trabektedyny* w połączeniu z PLDH w przynajmniej częściowo wrażliwym na związki platyny nowotworze jajnika są niewystarczające aby uzasadniać rozpoczęcie finansowania leku w ramach Cancer Drugs Fund¹⁷.

8. Zelboraf (*wemurafenib*), lek jest objęty finansowaniem w ramach programu lekowego *Leczenie czerniaka skóry* we wskazaniu zgodnym z dowodami naukowymi w zakresie jego skuteczności.
9. Tafinlar (*dabrafenib*), lek jest objęty, od dnia 1 lipca 2015 r., finansowaniem w ramach programu lekowego *Leczenie czerniaka skóry dabrafenibem*. Zgodnie z treścią rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych nr 170/2014 z dnia 7 lipca 2014 r. dostępne dowody naukowe nie pozwalają na wskazanie przewagi *dabrafenibu* nad *wemurafenibem* pod względem efektywności klinicznej w leczeniu chorych z nieoperacyjnym czerniakiem lub czerniakiem z przerzutami, z mutacją genu BRAF V600. Na podstawie wyników uzyskanych z porównania pośredniego można wnioskować o podobnej skuteczności *dabrafenibu* i *wemurafenibu*.

Biorąc pod uwagę wskazane powyżej argumenty merytoryczne, uzasadniające powody dla których Minister Zdrowia podjął rozstrzygnięcia w przedmiocie refundacji wskazanych technologii lekowych, ponownie pragnę podkreślić, że wypływają one z kompleksowej oceny skuteczności leczenia, w tym w szczególności wartości dodanej w stosunku do aktualnie dostępnych opcji terapeutycznych oraz ich efektywności kosztowej w kontekście aktualnej praktyki.

Odnosząc się do zarzutów dotyczących „ograniczeń” w dostępie do leków finansowanych z budżetu płatnika w ramach kategorii dostępności refundacyjnej-program lekowy, należy zaznaczyć, iż wszystkie te leki zostały dopuszczone do obrotu w kategorii dostępności Rpz, czyli leki wydawane z przepisu lekarza do zastrzeżonego stosowania, co oznacza, że ich ordynacja powinna być dodatkowo kontrolowana. Takie możliwości dają właśnie programy lekowe, których opisy zawierają nie tylko kryteria włączenia i wyłączenia, pozwalające na zastosowanie leków u pacjentów, którzy mogą odnieść największe korzyści zdrowotne przy akceptowalnym ryzyku stosowania, ale

¹⁷ <http://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2015/01/ncdf-summ-trabectedn-prt-platsens-ovarian.pdf>.

również szczegółowe zasady monitorowania leczenia, co zapewnia właściwy nadzór nad przebiegiem terapii oraz bezpieczeństwem pacjentów. Podkreślenia wymaga, iż opisy programów lekowych są aktualizowane, a treści w nich zawarte są każdorazowo uzgadniane z ekspertami w danej dziedzinie medycyny, w tym z Konsultantami Krajowymi i Wojewódzkimi. Dodatkowo należy wskazać, iż finansowanie ze środków publicznych innowacyjnych technologii lekowych w ramach programów lekowych umożliwia precyzyjną kwalifikację pacjentów zgodnie ze standardami opartymi na zweryfikowanej wiedzy naukowej. Programy lekowe, które oprócz wykazu aptecznego i katalogu chemioterapii są ustawowo usankcjonowaną kategorią dostępności refundacyjnej, nie służą zatem ograniczaniu dostępu do leków, ale umożliwiają właściwe nadzorowanie terapii innowacyjnymi lekami oraz prowadzenie racjonalnej polityki lekowej. Jednocześnie na uwagę zasługuje fakt, że wybór kategorii dostępności refundacyjnej jest jednym z elementów jakie deklaruje wnioskodawca w treści wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny leku. A więc również kategoria dostępności refundacyjnej leku, obok zakresu wskazań objętych refundacją, które w przypadku programu lekowego określają kryteria włączenia i wyłączenia z programu, wynika z wniosku jaki złożył do Ministra Zdrowia właściwy w sprawie podmiot odpowiedzialny. W tym miejscu pragnę jasno i stanowczo podkreślić, wbrew nieprawdziwym twierdzeniom zawartym w komentarzu Fundacji do raportu, że to „urzędnicy Ministerstwa Zdrowia (a nie lekarze) określają, którzy pacjenci mogą z nich (tj. programów lekowych) skorzystać, a którzy nie”, iż Minister Zdrowia uzgadnia, poprzez modyfikację, jedynie kształt zaproponowanego przez podmiot odpowiedzialny programu lekowego, kierując się w trakcie tego procesu względami merytorycznymi i medycznymi, o czym świadczy chociażby fakt zaangażowania w proces uzgadniania treści programu lekowego Konsultantów Krajowych, Wojewódzkich lub innych ekspertów w danej dziedzinie medycyny. Zatem nie urzędnicy, jak zostało to przytoczone w piśmie z dnia 16 czerwca 2015 r., określają kto może zostać zakwalifikowany do programu lekowego, a właściwy podmiot odpowiedzialny, który przedkłada wraz z wnioskiem treść programu lekowego, który następnie poddawany jest ocenie ekspertów. Jednocześnie pragnę zwrócić uwagę na fakt, iż również w trakcie oceny leku przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, treść programu lekowego poddawana jest ocenie ekspertów do których zwraca się z prośbą o zaopiniowanie Prezes Agencji.

Odnosząc się do kwestii braku refundacji wskazanych powyżej leków lub terminu jaki upływa od ich rejestracji do wprowadzenia do systemu refundacyjnego uprzejmie

informuję, że podstawowym warunkiem pozwalającym na rozważanie zasadności objęcia refundacją leku jest złożenie do Ministra Zdrowia wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny. Minister Zdrowia podejmuje rozstrzygnięcia w zakresie refundacji leków tylko i wyłącznie w odniesieniu do technologii, dla których wpłynęły wnioski o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny. Tym samym jak wskazano powyżej nie było możliwe wydanie przez Ministra Zdrowia jakichkolwiek rozstrzygnięć w sprawie np. leku Dacogen (*dacytabina*) oraz Kadcyła (*trastuzumab emtazyne*). Jednocześnie pragnę podkreślić, że wyciąganie wniosków odnośnie czasu jaki mija od pojawienia się leku na rynku do objęcia go finansowaniem bez uwzględnienia kiedy proces refundacyjny został zapoczątkowany przez podmiot odpowiedzialny jest nadużyciem bowiem pomija etap zależny od podmiotu odpowiedzialnego i przenosi całą odpowiedzialność na Organ wydający decyzje w przedmiotowej sprawie. Dodatkowego wyjaśnienia wymaga fakt, iż bieg każdego postępowania administracyjnego, w tym dotyczącego objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny leku, może być na każdym etapie jego procedowania zawieszony. Nierzadko zdarza się, iż okres zawieszenia postępowania przekracza czas jego procedowania przez Organ, co chociażby ma miejsce w przypadku leku Tyverb (j.w.). Odnosząc się do przyjętych w raporcie, i jak wydaje się akceptowanych przez Sygnatariuszy pisma miar dostępności do leczenia wyrażonych ilością wykorzystanego leku, należy zauważyć, iż gdyby faktycznie kwestia dostępności do danego leku, wyrażona ilością zużytego leku, była adekwatna do oceny wskazanej wielkości to niezrozumiałym jest wynik otrzymany dla dwóch przytoczonych w raporcie leków, tj. Tyverb oraz Zelboraf. Oba ww. leki, w odniesieniu do których stwierdzono wykorzystanie większe niż średnia dla rozważanych krajów, finansowane są bowiem w ramach programów lekowych, które, jak wynika zarówno z treści pisma jak i raportu, uznawane są jako ograniczenie w dostępie do terapii.

Odnosząc się do kwestii „oszczędności” w budżecie płatnika publicznego w związku z wejściem w życie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych należy zauważyć, iż przedmiotowe „oszczędności” mają charakter czysto teoretyczny. Wynika to z faktu, że przychody Narodowego Funduszu Zdrowia w latach 2012 i 2013 z tytułu składek na ubezpieczenie zdrowotne, włącznie ze składkami z lat ubiegłych, były niższe niż przewidywane w trakcie ustalania planu finansowego Funduszu na dane lata, co wiązało się z ogólnoświatowym kryzysem gospodarczym - przychody Funduszu

z tytułu składki przedstawia poniższa tabela. Łączna wartość deficytu z tytułu spływu składki za lata 2012-2013 wyniosła **3 477 447,88 tys. zł.**

Tab.1. Przychody NFZ z tytułu składki na ubezpieczenie zdrowotne [tys. zł].

Rok	Plan	Wykonanie	Deficyt
2012	62 057 372,00	60 402 256,05	-1 655 115,95
2013	64 337 866,00	62 515 534,07	-1 822 331,93
		Łącznie	-3 477 447,88

Biorąc pod uwagę powyższe należy podkreślić, iż używanie pojęcia „oszczędności” jest całkowicie nieuprawnione. Środki finansowe nazywane w ten sposób w wystąpieniu Fundacji Alivia nigdy faktycznie nie istniały, ani nie były w dyspozycji Narodowego Funduszu Zdrowia.

Dzięki wprowadzonym przez ustawę refundacyjną mechanizmom, zarówno racjonalizującym konsumpcję leków jak i wzmacniającym konkurencyjność na rynku leków, mimo zmniejszonego wpływu do budżetu płatnika z tytułu składki (w wielkości wskazanej powyżej) możliwe było zachowanie płynności finansowej Funduszu i dzięki temu zdolność oddziałów wojewódzkich Funduszu do bieżącego regulowania zobowiązań za udzielone świadczenia opieki zdrowotnej – wartość całkowitego budżet na refundację (w tys. zł) przedstawia poniższa tabela.

Tab. 2 Wartość całkowitego budżetu na refundację (CBR) [tys. zł].

Rok	Plan	Wykonanie	Oszczędności	Kwoty zwrotu Podmiotów do NFZ	Efekt finansowy ustawy
2012	10 901 083,00	9 062 445,99	1 838 637,01	124 236,00	1 962 873,01
2013	10 901 083,00	9 591 983,00	1 309 100,00	188 734,00	1 497 834,00
				Łącznie	3 460 707,01

Dodatkowo dzięki „efektowi finansowemu” ustawy o refundacji, w wysokości łącznej za lata 2012-2013 **3 460 707,01 tys. zł**, możliwe było również podejmowanie przez Ministra Zdrowia decyzji, pozwalających na sukcesywne zwiększanie pacjentom dostępności do finansowanych ze środków publicznych terapii, zarówno alternatywnych, jak i innowacyjnych, nigdy wcześniej niefinansowanych w polskim systemie opieki zdrowotnej. Od 1 stycznia 2012 r. do 1 lipca 2015 r. refundacją ze środków płatnika publicznego objęto 40 substancji czynnych w ramach wykazu aptecznego, 38 w ramach programów lekowych oraz 10 w ramach katalogu chemioterapii, co obrazuje tabela poniżej.

Tab.3 Liczba nowych częścieczek objętych refundacją systemową (stan na lipiec 2015 r.).

Okres czasu	Refundacja apteczna	Refundacja w programach lekowych	Refundacja w ramach katalogu chemioterapii
Styczeń 2012 r. – lipiec 2015 r.	40 ¹⁸	38 ^{19,20}	10

Dodatkowo należy zauważyć, że zwiększanie dostępności do terapii polegało nie tylko na obejmowaniu refundacją nowych częścieczek, ale również na rozszerzeniu wskazań dotychczas refundowanych produktów polegających m.in. na:

- obejmowaniu refundacją w kolejnych wskazaniach leków w ramach listy aptecznej,
- włączaniu finansowanych wcześniej substancji czynnych do kolejnych programów lekowych,
- sukcesywnym rozszerzaniu zakresu refundacji dla substancji czynnych w ramach katalogu chemioterapii,
- modyfikacjach treści programów lekowych polegających m.in. na umożliwieniu leczenia szerszym grupom pacjentów (modyfikacje kryteriów kwalifikacji, kolejne linie leczenia, zniesienie ograniczeń wiekowych).

Wszystkie powyższe czynniki w sposób szczególnie istotny wpływają na zwiększenie dostępności do świadczeń gwarantowanych.

Decyzje o objęciu refundacją podejmowane są cały czas, systematycznie rosną wydatki NFZ związane z finansowaniem nowych technologii – zwłaszcza w programach lekowych. Należy zauważyć, że na 30 nowoutworzonych programów lekowych (do dnia 1 lipca 2015 r.) 13 z nich związanych jest z udostępnieniem leczenia z zakresu onkologii.

¹⁸ Uwzględniono również nowe postaci farmaceutyczne substancji dotychczas refundowanej.

¹⁹ Uwzględniono również substancje czynne, finansowane w ramach programów lekowych, które zostały zakwalifikowane do koszyka świadczeń gwarantowanych pod koniec roku 2011, jednak z uwagi na czas ich wprowadzenia nie mogły zostać zakontraktowane przez NFZ.

²⁰ Od dnia 1 lipca 2015 r. refundacja objęto lek Dabrafenib (4 kody EAN) w ramach programu lekowego Leczenie czerniaka skóry dabrafenibem (ICD-10 C43).

Tab.4 Programy lekowe, które weszły w życie po wprowadzeniu ustawy o refundacji.

Lp	Nazwa programu lekowego	Substancje czynne finansowane w ramach programu lekowego (stan na 07.2015r.)
1.	Leczenie wirusowego zapalenia wątroby typu B u świadczeniobiorców po przeszczepach lub u świadczeniobiorców z chłoniakami, leczonych rytuksymabem	Lamiwudyna
2.	Leczenie ciężkiej astmy alergicznej IgE zależnej omalizumabem	Omalizumab
3.	Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym	Tocilizumab, Certolizumab
4.	Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (II rzut SM)	Fingolimod, Natalizumab
5.	Leczenie ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej	Ustekinumab, Adalimumab
6.	Leczenie czerniaka skóry	Wemurafenib
7.	Leczenie doustne stanów nadmiaru żelaza w organizmie	Deferazyroks
8.	Leczenie chorych na zaawansowanego raka jajnika	Bewacyzumab
9.	Leczenie bendamustyną chłoniaków niezłośliwych o powolnym przebiegu opornych na rytuksymab	Bendamustyna
10.	Leczenie płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie	Cetuksymab
11.	Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki	Sunitynib, Ewerolimus
12.	Lenalidomid w leczeniu chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka mnogiego	Lenalidomid
13.	Indukcja remisji wrzodziejącego zapalenia jelita grubego (WZJG)	Infliksymab
14.	Leczenie opornego na kastrację raka gruczołu krokowego	Octan abirateronu
15.	Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A	Toksyna Botulinowa Typu A
16.	Leczenie zaawansowanego raka żołądka	Trastuzumab
17.	Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych ipilimumabem	Ipilimumab
18.	Leczenie choroby Gaucher'a typu I	Welaglyceraza Alfa
19.	Leczenie wczesnodziecięcej postaci cystynozy nefropatycznej	Cysteamina
20.	Leczenie pierwotnych niedoborów odporności u pacjentów dorosłych	Immunoglobuliny
21.	Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca z zastosowaniem afatynibu	Afatynib
22.	Leczenie hormonem wzrostu niskorosłych dzieci urodzonych jako zbyt małe w porównaniu do czasu trwania ciąży (SGA lub IUGR)	Somatotropina
23.	Leczenie dazatynibem ostrej białaczki limfoblastycznej z chromosomem filadelfia (Ph+)	Dazatynib
24.	Leczenie beksarotenem ziarniniaka grzybiastego lub zespołu Sézary'ego	Beksaroten
25.	Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych	Immunoglobuliny
26.	Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego sildenafilem i epoprostenolem (TNP)	Sildenafil, Epoprostenol
27.	Leczenie parykalcytolem wtórnej nadczynności przytarczyc u pacjentów Hemodializowanych	Parykalcytol

Lp.	Nazwa programu lekowego	Substancje czynne finansowane w ramach programu lekowego (stan na 07/2015 r.)
28.	Leczenie neowaskularnej (wysiękowej) postaci zwyrodnienia plamki związanego z wiekiem (AMD)	Aflibercept, Ranibizumab
29.	Leczenie przewlekłego wirusowego zapalenia wątroby typu c terapią bezinterferonową	Dasabuvirum, Ombitasvirum, Paritaprevirum Ritonavirum
30.	Leczenie czerniaka skóry dabrafenibem	Dabrafenib
31.*	Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca	Pemetreksed, Gefitynib, Erlotinib
32.*	Leczenie mięsaków tkanek miękkich	Trabectedyna, Pazopanib, Sunitynib
33.*	Leczenie ciężkich wrodzonych hiperhomocysteinemii	Betaina Bezwodna
34.*	Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego	Bewacyzumab, Cetuksymab, Panitumumab

*Programy, które zostały zakwalifikowane do koszyka świadczeń gwarantowanych pod koniec roku 2011, jednak z uwagi na czas ich wprowadzenia nie mogły zostać zakontraktowane przez NFZ. Od 1 stycznia 2012 r. substancje czynne przewidziane w tych programach były finansowane w ramach chemioterapii niestandardowej.

Jednocześnie należy zauważyć, że na świadczenia lekowe finansowane w ramach onkologicznych programów lekowych w 2014 r. przeznaczono kwotę w wysokości 1,1 mld zł. Zgodnie z przedstawioną poniżej tabelą, zawierającą szczegółowe informacje odnośnie wysokości wydatków na finansowanie leków w poszczególnych programach lekowych, widoczny jest systematyczny wzrost nakładów w przedmiotowym zakresie. W 2010 r. NFZ na przedmiotowe świadczenia lekowe wydał 520 mln zł, w roku 2011 r. kwota ta wynosiła 590 mln zł, zaś w kolejnych latach 760 mln zł oraz 920 mln zł. Systematyczny wzrost ponoszonych kosztów jest wynikiem rozszerzania zakresu programów lekowych jak i obejmowania finansowaniem systemowym nowych substancji czynnych finansowanych w programach.

Dodatkowo na świadczenia lekowe finansowane w ramach katalogu chemioterapii w 2014 r. przeznaczono kwotę w wysokości 513 mln zł. Zgodnie z przedstawioną poniżej tabelą, zawierającą szczegółowe informacje odnośnie wysokości wydatków przeznaczonych na finansowanie leków w katalogu chemioterapii, widoczny jest spadek nakładów w przedmiotowym zakresie w latach 2011- 2013 r. oraz wzrost w roku 2014 r., który związany jest z przeniesieniem finansowania niektórych substancji czynnych z programu lekowego do katalogu chemioterapii oraz poszerzaniem zakresu wskazań refundacyjnych wielu substancji czynnych, w tym w zakresach finansowanych uprzednio w ramach chemioterapii niestandardowej. W przypadku wydatków ponoszonych na finansowanie substancji czynnych w katalogu chemioterapii należy

zauważyć, iż spadek wysokości wydatków ma związek z systematycznym obniżaniem kosztu substancji czynnych w wyniku obejmowania refundacją leków generycznych.

Jednocześnie w przypadku finansowania świadczenia chemioterapii niestandardowej widoczny jest spadek wydatków NFZ wynikający ze zlecaniej systematycznie przez Ministra Zdrowia oceny zasadności finansowania poszczególnych substancji czynnych w ramach przedmiotowego świadczenia i obejmowania ich w uzasadnionych przypadkach, finansowaniem systemowym.

Tab. 5 Koszty poniesione przez NFZ na finansowanie substancji czynnych w ramach onkologicznych programów lekowych [zł]

NAZWA PROGRAMU LEKOWEGO	2010 r.	2011 r.	2012 r.	2013 r.	2014 r.
LECZENIE BENDAMUSTYNĄ CHŁONIAKÓW NIEZIARNICZYCH O POWOLNYM PRZEBIEGU OPORNYCH NA RYTUKSYMAB	-	-	-	344 884,83	2 134 965,18
LECZENIE CHŁONIAKÓW ZŁOŚLIWYCH	57 628 505,03	55 227 106,10	56 777 224,82	60 002 665,29	57 855 707,98
LECZENIE CHORYCH NA ZAAWANSOWANEGO RAKA JAJNIKA	-	-	-	2 249 818,58	10 365 031,03
LECZENIE CZERNIAKA SKÓRY	-	-	-	17 487 100,70	55 165 699,79
LECZENIE CZERNIAKA SKORY LUB BŁON ŚLIZOWYCH IPILIMUMABEM	-	-	-	-	23 878 412,08
LECZENIE GLEJAKÓW MÓZGU	11 344 952,10	7 528 298,85	6 969 242,81	4 928 620,79	689 269,60
LECZENIE MIĘSAKÓW TKANEK MIĘKICH	-	-	3 789 676,31	9 654 658,50	10 874 029,80
LECZENIE NIEDROBNOKOMÓRKOWEGO RAKA PŁUCA	-	-	11 914 610,21	32 065 042,68	37 014 435,02
LECZENIE NOWOTWORÓW PODŚCIELISKA PRZEWODU POKARMOWEGO (GIST)	45 261 103,24	47 750 672,08	56 981 248,49	65 923 178,56	73 383 672,10
LECZENIE OPORNEGO NA KASTRACJĘ RAKA GRUCZOŁU KROKOWEGO	-	-	-	-	16 211 424,67
LECZENIE PŁASKONABŁONKOWEGO RAKA NARZĄDÓW GŁOWY I SZYI W SKOJARZENIU Z RADIOTERAPIĄ W MIEJSCOWO ZAAWANSOWANEJ CHOROBY	-	-	-	-	1 447 597,63
LECZENIE PRZEWLEKŁEJ BIAŁACZKI SZPIKOWEJ	165 790 571,61	185 977 906,13	217 391 444,09	256 141 318,67	194 758 651,15
LECZENIE RAKA NERKI	36 372 574,43	60 376 006,73	107 574 826,33	109 306 084,54	125 933 906,82
LECZENIE RAKA PIERSI	203 742 010,60	231 593 974,66	255 318 090,77	253 850 877,91	279 243 536,36

LECZENIE RAKA WĄTROBOKOMÓRKOWEGO	-	1 105 412,00	5 652 415,37	7 832 602,78	8 961 011,31
LECZENIE SZPICZAKA PLAZMOCYTOWEGO	-	-	11 914 837,30	33 161 635,79	41 634 297,59
LECZENIE WYSOKO ZRÓŻNICOWANEGO NOWOTWORU NEUROENDOKRYNNEGO TRZUSTKI	-	-	-	-	2 809 102,70
LECZENIE ZAAWANSOWANEGO RAKA JELITA GRUBEGO	138 348,43	-	23 653 226,98	68 951 328,42	91 619 108,16
LECZENIE ZAAWANSOWANEGO RAKA ŻOŁĄDKA	-	-	-	-	1 526 409,02
LECZENIE ZAAWANSOWANEGO WŁÓKNIAKOMIĘSAKA GUZOWATEGO SKÓRY (DFSP)	-	-	809 071,80	1 609 835,04	580 830,00
LENALIDOMID W LECZENIU CHORYCH NA OPORNEGO LUB NAWROTOWEGO SZPICZAKA MNOGIEGO				-	75 718 048,99
Suma:	520 278 065,43	589 559 376,54	758 745 915,28	923 509 653,07	1 111 805 146,98

Tab. 6 Koszty poniesione przez NFZ na finansowanie substancji czynnych w ramach katalogu chemioterapii [zł]

	2010r.	2011r.	2012r.	2013r.	2014r.
SUBSTANCJE CZYNNIE W CHEMIOTERAPII - HOSPITALIZACJI Z ZAKRESEM SKOJARZONYM	303 320 605,81	113 727 366,69	201 961 206,08	194 457 719,44	247 803 389,86
SUBSTANCJE CZYNNIE W CHEMIOTERAPII W TRYBIE JEDNODNIOWYM Z ZAKRESEM SKOJARZONYM	246 611 304,40	275 834 804,12	162 657 134,86	139 322 387,42	153 096 628,59
SUBSTANCJE CZYNNIE W CHEMIOTERAPII W WARUNKACH AMBULATORIJNYCH Z ZAKRESEM SKOJARZONYM	98 049 936,67	300 024 483,58	88 092 205,96	83 597 596,75	112 502 679,31
Suma :	647 981 846,88	689 586 654,39	452 710 546,90	417 377 703,62	513 402 697,77

Tab. 7 Koszty poniesione przez NFZ na finansowanie substancji czynnych w ramach świadczenia chemioterapii niestandardowej:

Rok	Wydatki NFZ
2012	140 683 827,65 zł
2013	122 460 030,26 zł
2014	24 545 434,23 zł

Odnosząc się do poruszanej w piśmie kwestii realizacji budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia uprzejmie informuje, iż szczegółowe dane odnośnie realizacji zostały zamieszczone w poniższych tabelach.

W latach 2013 i 2014 z uwagi na przepisy przejściowe ustawy o refundacji nie było wzrostu całkowitego budżetu na refundację w roku rozliczeniowym w stosunku do całkowitego budżetu na refundację w roku poprzedzającym. Wyraźnie należy zaznaczyć, że rezerwa o której mowa w art. 3 ust. 3 ustawy o refundacji w latach 2013 i 2014 wynosiła zero, w związku z czym nie istniała kwota, której podziału miałby dokonać Minister Zdrowia. Wysznuwanie nieprawdziwego twierdzenia o istnieniu rzekomej rezerwy w powyżej opisanym zakresie świadczy dobitnie o niezrozumieniu treści aktu prawnego jakim jest ustawa o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

W związku z powyższym uprzejmie informuję, że zgodnie z art. 3 ustawy o refundacji całkowity budżet na refundację wynosi nie więcej niż 17% sumy środków publicznych przeznaczonych na finansowanie świadczeń gwarantowanych w planie finansowym Narodowego Funduszu Zdrowia.

Natomiast zgodnie z art. 74 ustawy o refundacji, wysokość całkowitego budżetu na refundację w 2012 r. była równa kwocie kosztów poniesionych w 2010 r. na finansowanie świadczeń gwarantowanych, określonych w przepisach wydanych na podstawie:

- 1) art. 31d ustawy o świadczeniach w zakresie dotyczącym:
 - a) programów zdrowotnych w części dotyczącej leków stosowanych w terapeutycznych programach zdrowotnych,
 - b) leczenia szpitalnego oraz ambulatoryjnej opieki specjalistycznej w części dotyczącej leków stosowanych w chemioterapii;

2) art. 36 ust. 4 i 5, art. 37 ust. 2 i art. 38 ust. 6 ustawy świadczeniach.

Wysokość całkowitego budżetu na refundację w latach 2013 i 2014 była równa kwocie poniesionych przez Narodowy Fundusz Zdrowia wydatków, związanych z finansowaniem świadczeń gwarantowanych, o których mowa w art. 15 ust. 2 pkt 14-18 ustawy o świadczeniach, w brzmieniu nadanym ustawą o refundacji leków, w roku 2011, a począwszy od roku 2015 nie może być niższa od tej kwoty.

Z powyższego jak i zaprezentowanych poniżej danych liczbowych wynika, iż Narodowy Fundusz Zdrowia nie posiadał rezerwy, o której mowa w art. 118 ust. 2 pkt 2 lit. c ustawy, a zatem nie istniały jak dotąd również środki, które można by podzielić w oparciu o zapisy ustawowe.

Lp.	Wyszczególnienie	Styczeń 2014	Luty 2014	Marzec 2014	Kwiecień 2014	Maj 2014	Czerwiec 2014	Lipiec 2014	Sierpień 2014	Wrzesień 2014	Październik 2014	Listopad 2014	Grudzień 2014	Styczeń- grudzień 2014
	Całkowity budżet na refundację (1+2+3+4)	763 357,21	794 734,10	848 320,45	856 204,86	855 366,37	841 066,02	855 497,68	795 309,08	886 610,26	951 611,72	885 135,17	1 023 603,02	10 317 315,94
1	leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywnościowego objęte programami lekowymi	139 230,15	164 552,97	176 778,95	183 028,15	192 803,42	189 961,51	183 567,24	184 606,28	203 962,38	205 042,21	179 441,00	255 088,27	2 258 062,53
2	leki stosowane w chemioterapii	28 506,79	32 013,50	38 190,10	35 580,14	45 755,15	39 987,30	42 773,42	42 035,01	47 324,71	49 430,66	40 835,64	65 676,74	508 109,16
3	Refundacja, w tym:	595 620,27	598 167,63	633 851,40	637 596,57	616 807,80	611 117,21	629 157,02	568 667,79	635 323,17	697 138,85	624 858,53	702 838,01	7 551 144,25
3.1	refundacja leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywnościowego oraz wyrobów medycznych dostępnych w aptece na receptę	594 300,88	596 761,59	632 094,57	636 236,68	615 209,87	609 774,04	627 696,94	567 552,44	633 688,87	695 829,85	623 322,81	700 631,56	7 533 100,10
3.2	refundacja leków, o których mowa w art. 15 ust. 2 pkt 17 ustawy	1 122,95	1 090,32	1 320,20	902,05	1 218,76	1 070,59	1 057,71	921,71	1 302,70	990,98	888,97	1 757,16	13 644,10
3.3	refundacja środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywnościowego, o których mowa w art. 15 ust. 2 pkt 18 ustawy	196,44	315,72	436,63	457,84	379,17	272,58	402,37	193,64	331,60	318,02	646,75	449,29	4 400,05
4	Rezerwa, o której mowa w art. 118 ust. 2 pkt 2 lit. c ustawy	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00

Tab. 8 Realizacja budżetu na refundację w roku 2014.

Lp.	Wyszczególnienie	Styczeń 2015	Luty 2015	Marzec 2015	Kwiecień 2015	Maj 2015	Styczeń-maj 2015
	Całkowity budżet na refundację (1+2+3+4)	829 549,37	874 165,97	924 436,15	918 839,98	871 459,40	4 418 450,87
1	leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego objęte programami lekowymi	151 891,13	175 072,82	180 551,85	186 003,68	185 071,47	878 590,95
2	leki stosowane w chemioterapii	32 305,27	40 335,93	40 053,80	45 462,95	43 082,28	201 240,23
3	Refundacja, w tym:	645 352,97	658 757,22	703 830,50	687 373,35	643 305,65	3 338 619,69
3.1	refundacja leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych dostępnych w aptece na receptę	643 717,12	657 382,19	702 118,61	685 391,05	641 593,06	3 330 202,03
3.2	refundacja leków, o których mowa w art. 15 ust. 2 pkt 17 ustawy	1 082,98	925,55	1 132,45	1 409,75	1 422,57	5 973,30
3.3	refundacja środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, o których mowa w art. 15 ust. 2 pkt 18 ustawy	552,87	449,48	579,44	572,55	290,02	2 444,36
4	Rezerwa, o której mowa w art. 118 ust. 2 pkt 2 lit. c ustawy	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00

Tab. 9 Realizacja budżetu na refundację w roku 2015.

Reasumując pragnę podkreślić, że podstawowym imperatywem polityki lekowej jest wybór najbardziej korzystnych dla pacjentów terapii, które niezależnie od czasu jaki upłynął od wytworzenia technologii, pozwalają na uzyskanie najlepszych wyników leczenia. Jednocześnie za racjonalną politykę lekową należy uznać taką, która promuje technologie faktycznie wpływające na poprawę zdrowia w populacji, w tym w szczególności w zakresie skuteczności istotnej z punktu widzenia klinicznego²¹ oraz efektywne kosztowo w warunkach krajowych, nie zaś pozostające w dysproporcji do ogólnej wielkości środków przeznaczanych na ochronę zdrowia. Ograniczone środki na ochronę zdrowia sprawiają, iż podejmowanie jakichkolwiek decyzji bez oceny ich skutków finansowych jak i realnych możliwości ich zabezpieczenia jest daleko nieodpowiedzialne. Jednocześnie ponownie pragnę podkreślić, że zarówno w zaprezentowanym raporcie jak i przekazanym stanowisku, mimo podjętej próby oceny jakości efektywności leczenia onkologicznego oraz dostępności do niego poprzez porównanie szeregu danych i współczynników, brak jest odniesienia się do wartości terapeutycznej rozważanych technologii lekowych.

W kontekście powyższego pragnę zauważyć przykładowo, że roczny budżet brytyjskiego National Health Service (NHS) na onkologię to ok 1,3 miliarda funtów (7,7 miliarda zł). Dodatkowo na leczenie onkologiczne od 2010 r. w ramach Cancer Drugs Fund, który dodatkowo finansuje leki onkologiczne nie objęte systemowym finansowaniem w ramach NHS, przeznacza się kwotę w wysokości co najmniej 200 mln funtów (1,2 miliarda zł), co w sumie daje do dyspozycji kwotę w wysokości ponad 1,5 miliarda funtów (ok 9 miliardów złotych). Pomimo dysponowania tak dużą, w porównaniu z możliwościami polskiego systemu ochrony zdrowia, pulą środków przeznaczanych na leczenie onkologiczne nadal poszukuje się optymalnego wykorzystania środków, co wiąże się z brakiem finansowania chociażby niektórych z leków wskazanych powyżej.

²¹ przykładowo zgodnie z algorytmem oceny wartości klinicznej leków stosowanych w onkologii opracowanym przez Amerykańskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (American Society of Clinical Oncology, ASCO) korzyść terapeutyczną, którą można uznać za istotną klinicznie w warunkach leczenia onkologicznego (dla chorych z chorobą uogólnioną, otrzymujących leczenie systemowe w pierwszej linii) w przypadku: wartość ryzyka względnego (Hazard Ratio, HR) $\leq 0,8$ odpowiadającą zwiększeniu mediany OS (Overall Survival- przeżycie całkowite-) przynajmniej o 2,5-6 miesięcy w zależności od kontekstu klinicznego, niewielkiego wzrostu toksyczności leczenia towarzyszący dodatkowym korzyściom oferowanym przez nowe technologie w stosunku do aktualnie obowiązującego standardu, w przypadku terapii wykazujących znaczny stopień toksyczności powinny oferować największy dodatkowy zysk zdrowotny zakresie OS.

Pragnę zapewnić i podkreślić, iż zarówno podejmowanie działań prewencyjnych w zakresie zmniejszenia zachorowalności na nowotwory, poprawy wykrywalności nowotworów, szybkiej diagnostyki, jak i leczenia jest przedmiotem szczególnej troski Ministra Zdrowia, która wyraża się w podejmowanych systematycznie działaniach. Należy zauważyć również, iż wydatki na leki w Polsce, wyrażone jako procent Produktu Krajowego Brutto, wynoszą 1,4% PKB, co jest wartością średnią dla krajów OECD²². Jednocześnie działania mające poprawić jakość opieki nad pacjentem onkologicznym (koordynacja leczenia, konsultacje w wielodyscyplinarnym zespole) oraz skrócić czas diagnostyki choroby nowotworowej, które realizowane są w ramach tzw. Pakietu Onkologicznego, zaczynają przynosić pierwsze efekty²³. Zarówno w opinii Ministra Zdrowia jak i środowisk eksperckich równoczesne i skoordynowane działania we wszystkich ww. zakresach mają szansę przynieść poprawę sytuacji.

Minister Zdrowia ma nadzieję, że użyta powyżej merytoryczna argumentacja pozwoli na lepsze zrozumienie tak podejmowanych decyzji w zakresie udostępniania nowych technologii medycznych jak i przesłanek jakimi kierują się decydenci podczas ich podejmowania.

Z wyrazami szacunku


Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Igor Radziewicz-Winnicki

Otrzymują:

1. Pan dr Grzegorz Luboiński, Polska Unia Onkologii;
2. Pan Rafał Świerzewski, European Cancer Patient Coalition (ECPC);
3. Pani Kapsyda Kobro-Okołowicz, Fundacja Rak'n'Roll- Wygraj Życie;
4. Pan Mirosław Skitek, Stowarzyszenie Chorych na Czerniaka;
5. Pani Elżbieta Kozik, Polskie Amazonki- Ruch Społeczny;
6. Pan Piotr Piotrowski, Fundacja 1 Czerwca;
7. Pani Anna Kupiecka, Fundacja OnkoCafe- Razem Lepiej;
8. Pani Katarzyna Gulczyńska, Fundacja „Pokonaj raka”;

²² <http://www.compareyourcountry.org/health?cr=oeed&cr1=oeed&lg=en&page=2>.

²³ <http://pakietonkologiczny.gov.pl/>.

9. Pani Agnieszka Olejnik, Fundacja Chustka;
10. Pani Joanna Konarzewska-Król, Fundacja Onkologiczna Nadzieja;
11. Pani Beata Ziemkiewicz-Janota, Polski Komitet Zwalczania Raka.

Do wiadomości:

1. Pan Bronisław Komorowski, Prezydent Rzeczypospolitej Polskiej;
2. Pani Ewa Kopacz, Prezes Rady Ministrów;
3. Pan Tomasz Łatos, Przewodniczący Komisji Zdrowia- Sejm Rzeczypospolitej Polskiej;
4. Pan Rafał Muchacki, Przewodniczący Komisji Zdrowia- Senat Rzeczypospolitej Polskiej;
5. Pani Alicja Dąbrowska, Przewodnicząca Parlamentarnego Zespołu ds. Onkologii- Sejm Rzeczypospolitej Polskiej;
6. Pani Irena Lipowicz, Rzecznik Praw Obywatelskich;
7. Pani Krystyna Barbara Kozłowska, Rzecznik Praw Pacjenta;
8. Pan Krzysztof Kwiatkowski, Prezes Najwyższej Izby Kontroli;
9. Pan Mateusz Szczurek, Minister Finansów;
10. Pan Maciej Hamankiewicz, Prezes Naczelnej Rady Lekarskiej;
11. Pani Grażyna Rogala-Pawelczyk, Prezes Naczelnej Rady Pielęgniarek i Położnych;
12. Pan Tadeusz Jędrzejczyk, Prezes Narodowego Funduszu Zdrowia;
13. Pan Wojciech Matuszewicz, Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji;
14. Pani Zofia Ulz, Główny Inspektor Farmaceutyczny;
15. Pani Danuta Przywara, Prezes Zarządu Helsińskiej Fundacji Praw Człowieka w Polsce;
16. Pan Jacek Kucharczyk, Prezes Zarządu Fundacji Instytut Spraw Publicznych;
17. Pan Aleksander Smolar, Prezes Zarządu Fundacji im. Stefana Batorego;
18. Pan Jacek Fijuth, Przewodniczący Polskiego Towarzystwa Onkologicznego;
19. Pan Maciej Krzakowski, Prezes Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej;
20. Polska Liga Walki z Rakiem;
21. Polska Koalicja Pacjentów Onkologicznych.