



RZECZPOSPOLITA POLSKA
Rzecznik Praw Dziecka
Monika Horna-Cieślak

Warszawa, 13 lutego 2024 roku

ZSS.422.4.2024.KS

Alexander Hardy
President and Chief Executive Officer
BioMarin Pharmaceutical Inc.
105 Digital Drive
Novato, CA 94949

Szanowny Panie,

Rzecznik Praw Dziecka stoi na straży praw dziecka określonych w Konstytucji Rzeczypospolitej Polskiej, Konwencji o prawach dziecka i innych przepisach prawa. Rzecznik działa na rzecz ochrony praw dziecka, w szczególności prawa dziecka do ochrony zdrowia. Rzecznik Praw Dziecka szczególną troską i pomocą otacza dzieci z niepełnosprawnością.¹

W moim szczególnym zainteresowaniu jest sytuacja każdego dziecka potrzebującego pomocy w zapewnieniu mu dostępu do leczenia. W tym kontekście szczególnie złożona i trudna jest sytuacja dzieci cierpiących na choroby rzadkie, dla których nowe i innowacyjne technologie lekowe są jedyną szansą na zachowanie zdrowia, a niekiedy także życia.

W ostatnim czasie odnotowałam bardzo dużo zgłoszeń od dzieci, rodziców i opiekunów dzieci ze zdiagnozowaną achondroplazją – chorobą, która znacząco wpływa na jakość a czasem również niestety na długość życia – w sprawie umożliwienia im leczenia w Polsce lekiem VOXZOGO® (wozorytyd). VOXZOGO® jest jedynym dostępnym obecnie na świecie lekiem dedykowanym ww. chorobie.

Apele w tej sprawie wpływają do mnie również od organizacji pozarządowych.

Achondroplazja jest chorobą dziedziczną spowodowaną mutacją w genie kodującym receptor 3 dla czynnika wzrostu fibroblastów – FGFR3 (ang. fibroblast growth factor receptor 3). Pacjenci, którzy odziedziczyli wadliwy gen od obojga rodziców, są najczęściej dotknięci chorobą i zwykle umierają około urodzenia lub kilka miesięcy później. U pacjentów z tylko jednym wadliwym genem FGFR3 achondroplazja powoduje długotrwałą niepełnosprawność i może skutkować skróceniem życia ze względu na powikłania spowodowane chorobami

¹ Ustawa z dnia 6 stycznia 2000 r. o Rzeczniku Praw Dziecka (t.j. Dz. U. z 2023 r. poz. 292) – art. 1 ust. 2 i art. 3 ust. 2 pkt 1 oraz art. 3 ust. 4

krążenia.² Zespół objawów achondroplazji jest źródłem cierpienia psychicznego zarówno dla samych pacjentów jak też dla ich rodzin, którzy muszą mierzyć się nie tylko z walką o zdrowie i możliwie wysoką jakość życia dziecka ale też z wykluczeniem społecznym i stygmatyzacją w wielu obszarach życia. Dzieci z achondroplazją doświadczają niestety także cierpienia fizycznego i bólu związanego ze swoją chorobą. Terapia VOXZOGO® może zahamować postęp choroby, ograniczając częstotliwość i konieczność hospitalizacji oraz bolesnych zabiegów chirurgicznych. Dlatego też szczególnie istotne jest dla mnie wykorzystanie wszystkich dostępnych ścieżek na rzecz zapewnienia dzieciom z achondroplazją szansy na poprawę jakości życia i przede wszystkim zdrowia.

VOXZOGO® był dostępny dla małoletnich pacjentów w Polsce do 14 sierpnia 2023 r. kiedy to lek ten podlegał finansowaniu w ramach procedury Ratunkowy Dostęp do Technologii Lekowych (RDTL). Finansowanie terapii wozorytydem prowadzonej w ramach procedury RDTL możliwe było do dnia wejścia w życie zapisów wykazu produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL, opublikowanego w dniu 7 sierpnia 2023 r.³ Z uwagi na to polskie dzieci z achondroplazją nie mają już możliwości finansowania leczenia wozorytydem w ramach procedury RDTL, która jest ekstraordynaryjną ścieżką refundacyjną i nie może służyć omijaniu zasadniczego procesu refundacji, szczególnie w przypadku technologii lekowej, której szacunkowy koszt na 1 pacjenta wynosi 1,5 mln zł.

W 2022 r., uwzględniając kryteria włączenia do terapii lekiem VOXZOGO® oraz przekładając je na populację Polski oszacowano, iż leczenie ww. lekiem dotyczy ok. 220 małoletnich pacjentów w Polsce.

Dnia 25 lutego 2022 r. VOXZOGO® został uwzględniony w polskim wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności z określeniem wskazania: *achondroplazja u pacjentów w wieku co najmniej 2 lat, których nasady kości długiej nie są zamknięte*. Powyższe oznacza, że podmiot odpowiedzialny – w tym przypadku BioMarin Pharmaceutical Inc. – miał w Polsce otwartą drogę do złożenia wniosku o objęcie tego leku refundacją w trybie szybkiej ścieżki. Ponadto, Minister Zdrowia jeszcze dwukrotnie wzywał

² Voxzogo (wosorytyd) we wskazaniu: leczenie achondroplazji u pacjentów w wieku co najmniej 2 lat, których nasady kości długiej nie są zamknięte. Rozpoznanie achondroplazji powinno być potwierdzone za pomocą odpowiedniego badania genetycznego - Opracowanie analityczne. Załącznik do Raportu oceny technologii o wysokiej innowacyjności w ramach Funduszu Medycznego za rok 2022 Nr: 27/2022 Data ukończenia: 10.02.2022 r

³ Podstawą prawną tego działania jest art. 47f ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (t.j. Dz. U. z 2022 r. poz. 2561 z późn. zm.),

BioMarin Pharmaceutical Inc. do złożenia wniosku refundacyjnego w ramach standardowego mechanizmu refundacji. BioMarin Pharmaceutical Inc. z tej możliwości nie skorzystała, co tym samym pozbawia polskie dzieci z achondroplazją szansy na dostęp do obecnie jedynego leczenia.

Mając na uwadze powyższe, zwracam się z serdecznym apelem o uwzględnienie sytuacji polskich dzieci z achondroplazją w działaniach BioMarin Pharmaceutical Inc. Będę również wdzięczna za przekazanie informacji czy BioMarin Pharmaceutical Inc. planuje podjęcie działań na rzecz przystąpienia do polskiej procedury refundacyjnej dla produktu VOXZOGO®, a jeżeli nie, to jakie są powody tej decyzji.

Z poważaniem

Rzecznik Praw Dziecka

Monika Horna-Cieślak