



RZECZPOSPOLITA POLSKA
Rzecznik Praw Dziecka
Monika Horna-Cieślak

Warszawa, 30 lipca 2024 roku

ZSS.422.4.2024.KS

Szanowna Pani
Joanna Scheuring-Wielgus
Posłanka do Parlamentu Europejskiego
Grupa Postępowego Sojuszu Socjalistów
i Demokratów w Parlamencie Europejskim
joanna.scheuring-wielgus@europarl.europa.eu

Szanowna Pani Posłanko,

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

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 tym roku odnotowałam bardzo dużo¹ zgłoszeń od rodziców i bliskich dzieci z achondroplazją oraz od samych dzieci z tą chorobą, która znacząco wpływa na jakość i często także niestety na długość życia, w sprawie umożliwienia im leczenia w Polsce lekiem VOXZOGO® (wozorytyd), dla którego podmiotem odpowiedzialnym jest BioMarin International Limited.² VOXZOGO® jest jedynym dostępnym obecnie na świecie lekiem dedykowanym ww. chorobie.

¹ Na dzień sporządzania niniejszego pisma w Biurze Rzecznika Praw Dziecka zarejestrowanych jest 362 sprawy indywidualne dotyczące umożliwienia leczenia dzieci z achondroplazją wozorytydem.

²BioMarin Pharmaceutical Inc.- Europe and Canada Region: BioMarin International Limited 6th Floor, 5 Earlsfort Terrace Earlsfort Centre Dublin 2 DO2 CK83

W 2022 r., uwzględniając kryteria włączenia do terapii lekiem VOXZOGO® oraz przekładając je na populację Polski oszacowano, iż leczenie ww. lekiem dotyczy ok. 220 małych pacjentów w Polsce. Obecnie uznaje się, że liczba dzieci kwalifikujących się do terapii to 250 małych pacjentów.

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 krążenia.³ 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.

W Polsce nie jest dostępna żadna metoda terapeutyczna dedykowana ww. jednostce chorobowej. Leczy się jedynie - w ograniczonym zakresie - objawy wynikających z achondroplazji chorób i problemów zdrowotnych, wykorzystując zarówno farmakoterapię, rehabilitację, jak i procedury zabiegowe i interwencje chirurgiczne. Terapia VOXZOGO® może zahamować postęp tej choroby, ograniczając częstotliwość i konieczność hospitalizacji oraz ewentualnych 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.

Produkt leczniczy VOXZOGO® w dniu 26 sierpnia 2021 r. uzyskał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ważne na terytorium Unii Europejskiej. Początkowo lek zarejestrowany był w terapii pacjentów z potwierdzoną achondroplazją w wieku 2 lat i starszych, u których nasady kości długich nie zostały zamknięte, przy czym w październiku 2023 r. dolna granica podania leku pacjentom uległa obniżeniu do 4 miesięcy. Lek ten jest dostępny na polskim rynku jednak należy wskazać, że nie jest on aktualnie finansowany ze środków publicznych w ramach mechanizmu refundacji systemowej.

³ 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

Lek podlegał finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”).⁴ Aktualnie nie ma możliwości finansowania leczenia produktem leczniczym VOXZOGO® w ramach dostępnych środków publicznych. Lek ten mógł być finansowany w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych do dnia 16 sierpnia 2023 r. Następnie, z dniem wejścia w życie sierpniowego wykazu produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL, taka możliwość została zamknięta⁵ – zgodnie z zapisami ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych. Możliwość terapii z zastosowaniem wozorytydu w ramach procedury RDTL pozostała zachowana już tylko dla pacjentów, którzy rozpoczęli leczenie z zastosowaniem leku Voxzogo przed dniem 16 sierpnia 2023 r. i u których istnieją uzasadnione przesłanki do kontynuacji terapii. (tj. potwierdzona skuteczność praktyczna stosowanego dotychczas leczenia).

Z informacji udzielonych mi przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia⁶ odnośnie pacjentów leczonych lekiem VOXZOGO® w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych wynika, że w latach 2020 – 2024 leczonych było 17 pacjentów posiadających rozpoznanie ICD-10: Q77.4 Achondroplazja. Natomiast wartość poniesionych przez Fundusz kosztów związanych z ww. terapią wyniósł 13 190 135,04 zł.

⁴ W ramach tej procedury możliwe jest wydanie zgody na pokrycie kosztów leku na potrzeby pacjenta, u którego w toku dotychczasowej terapii zostały wyczerpane dostępne metody leczenia finansowane ze środków publicznych w danym wskazaniu. Finansowaniu w ramach procedury RDTL podlegać mogą produkty lecznicze posiadające pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ważne na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, pozostające w obrocie lub dostępne na polskim rynku, które nie znajdują się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL, publikowanym regularnie przez Ministra Zdrowia. Niespełnienie warunków wskazanych powyżej, jak również zaistnienie okoliczności, o których mowa w art. 47f ust. 3 pkt 1-4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 2561, z późn. zm.), tj.: 1. niezłożenie przez podmiot odpowiedzialny (lub jego przedstawiciela) wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w terminie wskazanym przez Ministra Zdrowia; 2. umorzenie postępowania o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu; 3. wydanie przez Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji rekomendacji, w której objęcie refundacją danej substancji czynnej w danym wskazaniu uznaje się za niezasadne; 4. wydanie przez Ministra Zdrowia decyzji o odmowie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu dla danej substancji czynnej w danym wskazaniu - skutkuje brakiem możliwości finansowania danego produktu leczniczego w ramach procedury RDTL i umieszczeniem go na wymienionym wyżej wykazie.

⁵ W ramach tej procedury możliwe jest wydanie zgody na pokrycie kosztów leku na potrzeby pacjenta, u którego w toku dotychczasowej terapii zostały wyczerpane dostępne metody leczenia finansowane ze środków publicznych w danym wskazaniu. Finansowaniu w ramach procedury RDTL podlegać mogą produkty lecznicze posiadające pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ważne na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, pozostające w obrocie lub dostępne na polskim rynku, które nie znajdują się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL, publikowanym regularnie przez Ministra Zdrowia. Niespełnienie warunków wskazanych powyżej, jak również zaistnienie okoliczności, o których mowa w art. 47f ust. 3 pkt 1-4 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 2561, z późn. zm.) skutkuje brakiem możliwości finansowania danego produktu leczniczego w ramach procedury RDTL i umieszczeniem go na wymienionym wyżej wykazie W odniesieniu do Voxzogo i tych przepisów: niezłożenie przez podmiot odpowiedzialny (lub jego przedstawiciela) wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w terminie wskazanym przez MZ poskutkowało brakiem możliwości finansowania tego produktu leczniczego w ramach procedury RDTL i umieszczeniem go w ww. wykazie. Produkt leczniczy Voxzogo znajduje się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL od dnia 9 sierpnia 2023 r.

⁶ Pismo z 27.02.2024 r.

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 ponad 1 mln zł.

Minister Zdrowia, dostrzegając niezaspokojoną potrzebę medyczną, jaką jest leczenie achondroplazji, uwzględnił VOXZOGO® 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 International Limited – miał w Polsce otwartą drogę do złożenia wniosku o objęcie tego leku refundacją w trybie szybkiej i uproszczonej ścieżki⁷. Ponadto, Minister Zdrowia jeszcze trzykrotnie na przestrzeni ostatnich lat wzywał BioMarin International Limited do złożenia wniosku refundacyjnego w ramach standardowego mechanizmu refundacji. **BioMarin International Limited z tej możliwości nie skorzystała, co tym samym pozbawia polskie dzieci z achondroplazją szansy na dostęp do obecnie jedynego leczenia.**

Mając na uwadze powyższe okoliczności od lutego br. prowadzę intensywne działania na rzecz dzieci z achondroplazją, w tym m.in.:

- 1) 06.02.2024 w Biurze Rzecznika Praw Dziecka odbyłam spotkanie z dziećmi chorymi na achondroplazję i ich rodzicami (rodzice przedstawili problem wycofania VOXZOGO® z listy leków dostępnych w ramach RDTL);
- 2) 13.02.2024 r. skierowałam wystąpienie do producenta leku - firmy BioMarin International Limited – z apelem o uwzględnienie sytuacji polskich dzieci z achondroplazją w działaniach BioMarin. Zwróciłam się również o przekazanie informacji, czy ww. podmiot odpowiedzialny planuje podjęcie działań na rzecz przystąpienia do polskiej procedury refundacyjnej dla produktu VOXZOGO®, a jeżeli nie, to jakie są powody tej decyzji;

⁷ Ścieżka ta obejmuje m.in. zwolnienie podmiotu odpowiedzialnego z opłat za złożenie wniosku oraz dokonanie oceny technologii medycznej, jak również skrócenie czasu postępowania refundacyjnego do 60 dni od daty złożenia wniosku; należy przy tym zaznaczyć, że technologie lekowe o wysokim poziomie innowacyjności objęte refundacją w ramach tej ścieżki refundacyjnej finansowane są ze środków Funduszu Medycznego

- 3) 14.02.2024 r. spotkałam się z Rzecznikiem Praw Pacjenta m.in. w sprawie leczenia dzieci z achondroplazją. Podczas tego spotkania uzgodniono nasze wspólne działania na rzecz leczenia polskich dzieci z achondroplazją;
- 4) 20.02.2024 przedstawiciele Biura Rzecznika Praw Dziecka spotkali się z Wiceministrem Zdrowia⁸ odpowiedzialnym za politykę lekową w Polsce oraz z Zastępcą Dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji Ministerstwa Zdrowia w sprawie możliwości i szans na udostępnienie dzieciom z achondroplazją leczenia technologią lekową VOXZOGO®;
- 5) 28.02.2024 r. wspólnie z Rzecznikiem Praw Pacjenta skierowaliśmy wspólne wystąpienie do BioMarin International Limited w sprawie rozważenia złożenia wniosku o refundację leku VOXZOGO®;
- 6) 20.03.2024 r. otrzymałam odpowiedź⁹ od Dyrektora Jamesa Lennertza z BioMarin International Limited (z której wynikało, że przedstawiciele tej firmy zamierzają „w najbliższej przyszłości spotkać się z Ministerstwem Zdrowia w celu omówienia warunków dostępu do Produktu [VOXZOGO] w Polsce”), które to pismo 26.03.2024 r. przekazałam do Wiceministra Zdrowia Macieja Miłkowskiego.
- 7) 12.04.2024 r. uczestniczyłam – wraz z przedstawicielami Rzecznika Praw Pacjenta – w spotkaniu Wiceministra Zdrowia oraz przedstawicieli Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji Ministerstwa Zdrowia z przedstawicielami firmy BioMarin International Limited.
- 8) 11.06.2024 r. zwróciłam się do Ministerstwa Zdrowia z prośbą o udzielenie informacji o stanie sprawy dotyczącej możliwości zapewnienia dzieciom z rozpoznaną achondroplazją dostępu do leczenia produktem leczniczym VOXZOGO®. W odpowiedzi udzielono mi informacji, że dotychczas nie wpłynął do Ministra Zdrowia wniosek od podmiotu odpowiedzialnego o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto dla produktu leczniczego VOXZOGO®.
- 9) 11.07.2024 r. uczestniczyłam w posiedzeniu Parlamentarnego Zespołu ds. Achondroplazji, podczas którego przedstawiłam swoje dotychczasowe i planowane działania na rzecz dzieci z achondroplazją.

⁸ Panem Maciejem Miłkowskim - w latach 2018–2023 i w 2024 podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia.

⁹ Pismo z dnia 15.03.2024 r. stanowiące odpowiedź na moje wystąpienie z 13 i 14 marca 2024 r. do ww. firmy farmaceutycznej z apelem o uwzględnienie sytuacji polskich dzieci z achondroplazją w działaniach BioMarin oraz przystąpienie do polskiej procedury refundacyjnej dla produktu VOXZOGO®.

10) 19.07.2024 r., wspólnie z Rzecznikiem Praw Dziecka, ponownie skierowaliśmy pismo do BioMarin International Limited, w którym wyraziliśmy nadzieję, że BioMarin zdecyduje się przystąpić do procedury objęcia leku VOXZOGO® refundacją w Polsce i że podjęte działania przyczynią się do poprawy sytuacji dzieci z achondroplazją w obszarze ich dostępu do innowacyjnego i jedynie obecnie zarejestrowanego leczenia. W odpowiedzi z 23.07.2024 r. podmiot odpowiedzialny poinformował, że BioMarin International Limited zaangażowało eksperta ds. dostępu do lokalnego rynku, aby pomógł im w przygotowaniu dokumentacji potrzebnej do złożenia wniosku o refundację dla leku VOXZOGO®. Odpowiedź ta pozwala oczekiwać, że ww. podmiot odpowiedzialny zdecyduje się przystąpić do polskiej procedury refundacyjnej.

Cierpienie dzieci ze zdiagnozowanymi nieuleczalnymi chorobami jest dla mnie niezwykle poruszające i stale motywuje do podejmowania wszelkich możliwych działań na rzecz zapewnienia im leczenia pozwalającego na ratowanie ich życia i zdrowia. Dlatego też zdecydowałam się wystąpić do Pani Posłanki w sprawie wsparcia dzieci z chorobami rzadkimi i ultraradkimi w zapewnieniu im dostępu do refundowanego leczenia.

W Polsce system refundacji opiera się na trybie wnioskowym, zatem pierwszy ruch w kierunku objęcia danej technologii lekowej refundacją leży po stronie podmiotu odpowiedzialnego. Niestety firmy farmaceutyczne nie zawsze są zainteresowane rynkiem polskim w równym stopniu jak innymi rynkami zagranicznymi.

W przypadku VOXZOGO® lek ten dostępny jest w refundacji w wielu krajach europejskich m.in. w Niemczech, Czechach, Rosji, Szwajcarii, Francji, Portugalii, Austrii czy Hiszpanii. W ramach innego dostępu niż tryb refundacyjny, także w Czechach, Węgrzech, Estonii, Bułgarii i Rumunii. W Polsce dzieci z achondroplazją nie mogą skorzystać z leczenia finansowanego ze środków publicznych, do którego dostęp mają dzieci z wielu innych krajów członkowskich Unii Europejskiej. Ci małoletni skazani są na oczekiwanie na to, aż podmiot odpowiedzialny zdecyduje się złożyć wniosek refundacyjny a polski minister właściwy do spraw zdrowia wyrazi zgodę na objęcie leku refundacją.

Dzieci z achondroplazją nie mogą już czekać. VOXZOGO® można podawać pacjentowi tylko wtedy, gdy nasady kości długiej nie są zamknięte. Po tym czasie leczenie ww. technologią lekową nie jest możliwe. Każdy dzień oczekiwania znacząco zmniejsza, a niekiedy też całkowicie przekreśla, szansę na leczenie dziecka z achondroplazją. Dlatego też zwracam się z serdecznym apelem do Pani Posłanki o wsparcie moich działań na rzecz

dzieci z achondroplazją oraz dzieci cierpiących na inne choroby rzadkie, które są w takiej samej sytuacji.

Na kanwie sprawy dotyczącej dostępu polskich dzieci z achondroplazją do jedynej obecnie technologii lekowej dedykowanej ww. chorobie, w mojej ocenie ujawnia się kwestia nierównego dostępu do leczenia dzieci z określoną jednostką chorobową, w szczególności z chorobą rzadką i ultraradką na terenie UE. Oczywiście zdaję sobie przy tym sprawę, że nie ma procedury obejmowania danego leku równym dostępem na rynkach wszystkich państw członkowskich UE oraz z tego, że państwa członkowie UE mają różne polityki lekowe i różne tryby i mechanizmy zapewniania pacjentom dostępu do leczenia farmakologicznego finansowanego ze środków publicznych danych państw. Niemniej trudno mi pogodzić się z sytuacją, że dzieci z achondroplazją w Polsce pozbawione są obecnie szansy na leczenie poprawiające ich jakość życia, podczas gdy większość państw ościennych i wiele państw UE takie refundowane leczenie oferuje. Dlatego zwracam się do Pani Posłanki z apelem o rozważenie przyłączenia się do działań na rzecz wsparcia dzieci z chorobami rzadkimi i ultraradkimi w Polsce, w tym dzieci z achondroplazją, w zapewnieniu im dostępu do refundowanego leczenia. Kierunki działań jakie można podjąć w ujęciu wspólnotowym wyznaczają m.in. założenia reformy unijnych przepisów farmaceutycznych¹⁰. Będę wdzięczna za wszelkie udzielone wsparcie w sprawie.

Z wyrazami szacunku,

Monika Horna-Cieślak

Rzeczniczka Praw Dziecka

¹⁰ https://commission.europa.eu/strategy-and-policy/priorities-2019-2024/promoting-our-european-way-life/european-health-union/reform-eu-pharmaceutical-legislation_pl