

# Biuletyn Informacyjny

## ORPHAN

Czerwiec 2007

[www.rzadkiechoroby.pl](http://www.rzadkiechoroby.pl)

### W tym wydaniu:

- **Terapia chorób Gaucher'a i Hurler w 2 półroczu 2007**
- **Przyszłe programy terapeutyczne**
- **W Polsce niebawem zostanie powołany Komitet Sterujący ds. Chorób Rzadkich**

### Terapia chorób Gaucher'a i Hurler w 2 półroczu 2007 - czekamy na uzgodnienia CZD i NFZ

Obecnie trwają przygotowania aneksu uzgadniającego wysokość finansowania terapii dla pacjentów z chorobą Gauchera i Hurlera. Jednakże i tak prowadzone za późno prace utknęły w miejscu. Pomiędzy OW NFZ a IPCZD istnieje duża rozbieżność w wysokości środków potrzebnych na realizację obu programów w 2 półroczu. Brak uzgodnień wysokości kwot przyszłego aneksu może spowodować przerwy w podaniach leków. Zdaniem Forum można i należy tego uniknąć a przedłużanie się negocjacji nie powinno mieć wpływu na zdrowie pacjentów. OW NFZ dysponuje środkami wystarczającymi na podjęcie i kontynuację terapii na okres około 5 miesięcy.

Krajowe Forum wystosowało do OW NFZ prośbę aby w przypadku przedłużających się uzgodnień OW NFZ zapewnił IPCZD o możliwości zamówienia i rozliczenia nadchodzących podań lipcowych – wszystko w celu uniknięcia przerw w podaniach. Wiemy, że sytuacja jest wyjątkowa, ale też i dlatego prosimy o wyjątkowe potraktowanie naszej prośby. Uzgodnienia kontraktacji i związana z tym biurokratyczna obróbka dokumentów mogą trwać nawet w lipcu – jednakże pacjenci powinni stale otrzymywać leczenie w ramach programu, do którego zostali zakwalifikowani. Ufamy, że władze OW NFZ i IPCZD dołożą wszelkich starań aby ciągłość terapii w ramach obu programów terapeutycznych została utrzymana.

### Przyszłe programy terapeutyczne

Na ukończeniu w Centrali NFZ są prace związane z rankingiem dotyczącym wdrażania przyszłych programów terapeutycznych. Wśród wielu zgłoszonych aplikacji znajdują się też wnioski o utworzenie programów terapeutycznych dla pacjentów z chorobą Pompego, Fabry'ego i MPS typ 6. W zarządzeniu Prezesa NFZ nr 17/2007 przewidywano wprowadzenie specjalnego rejestru dla chorób ultra-rzadkich. Jednakże NFZ zdecydował się odstąpić od tej kontrowersyjnej koncepcji. Jak nas poinformowano obecnie przygotowywane jest zarządzenie, które ostatecznie usunie wymóg prowadzenia w/w rejestru. Po jego opublikowaniu, Departament Gospodarki Lekami przekaże Prezesowi NFZ ranking będący podstawą do wdrożenia przyszłych programów. Planowane jest to na początek lipca. Oczekiwać należy, że wkrótce po tym zapadną decyzje o uruchomieniach nowych programów terapeutycznych.

Niepokojące jest jednak zapowiadane przez NFZ szytywne farmako-ekonomiczne traktowanie ultra-rzadkich chorób. Koncepcje takiego podejścia do tych jednostek chorobowych podczas odbywającej się w maju w Serocku Międzynarodowej Konferencji MPS zaprezentował w imieniu NFZ Dyrektor Departamentu Gospodarki Lekami.

Spotkało się ono z powszechną dezaprobatą środowisk naukowych, medycznych oraz organizacji pacjentów i ich rodzin. Oczywistym jest, że prezentowane obecnie

podejście NFZ stoi w sprzeczności nie tylko z etyką lekarską ale także diametralnie różni się od obowiązującego w tej materii ustawodawstwa unijnego.

U podstaw Rozporządzenia UE 141/2000 powołującego Unijny Komitet ds. sierocych produktów medycznych leżą społeczne, pozaekonomiczne wartości, wskazujące na potrzebę tworzenia równego dostępu do terapii pacjentów w Unii Europejskiej. Ustawodawstwo unijne uznało terapię chorób rzadkich za priorytetowy obszar działań w zakresie zdrowia publicznego UE. Rozporządzenie mówi o konieczności dążenia w obrębie UE do sytuacji, w której pacjenci dotknięci chorobami rzadkimi będą mieli równy dostęp do terapii niezależnie od rzadkości danego schorzenia oraz niezależnie od warunków ekonomiczno-społecznych występujących w danym kraju członkowskim. Zapowiedzi NFZ o stosowaniu farmako-ekonomicznej miary skuteczności poszczególnych substytucyjnych terapii rzadkich chorób w sposób oczywisty, poprzez ignorowanie ich rzadkości, stoją w sprzeczności z w/w rozporządzeniem. Zdaniem specjalistów z dziedziny genetyki i metabolizmu, którzy wypowiedzieli w maju się podczas Międzynarodowej Konferencji MPS, jakiegokolwiek rankingowanie terapii chorób rzadkich nie powinno w ogóle mieć miejsca, zwłaszcza w przypadku substytucyjnych terapii uzupełniających. Organizacje pacjentów apelują o szybkie wdrożenie nowych programów terapeutycznych dla pacjentów z chorobą Pompego, Fabry'ego i Mukopolisacharydozy typu 6.



### W Polsce niebawem zostanie powołany Komitet Sterujący ds. Chorób Rzadkich

W dniach 24-27 maja 2007 z inicjatywy Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne zorganizowana była Międzynarodowa Konferencja MPS. W spotkaniu tym, objętym patronatem Ministra Zdrowia RP i Centrum Zdrowia Dziecka, uczestniczyli przedstawiciele 24 państw. Poza organizacjami pacjentów i rodzicami obecni byli przedstawiciele Narodowego Funduszu Zdrowia, Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, dyrektorzy szpitali w tym przedstawiciele dyrekcji głównego świadczeniodawcy IPCZD, konsultanci krajowi oraz przedstawiciele środowisk i instytutów badawczych oraz producentów leków sierocych. Podczas konferencji można było wysłuchać wystąpień polskich i światowych autorytetów medycznych w dziedzinie terapii rzadkich chorób genetycznych. Szczególnie interesujące była dyskusja na temat przyszłości refundacji terapii i odnoszące się do tego zagadnienia wystąpienia przedstawicieli płatnika, zarówno Centrali jak i Mazowieckiego Oddziału Wojewódzkiego NFZ.

Intencją organizatora było zwrócenie uwagi na aspekty organizacyjne i problemy związane z refundacją leków sierocych w Polsce. Jedną z głównych konkluzji była wynikająca z obrad zeszłorocznej Krajowej Konferencji MPS potrzeba utworzenia w Polsce Komitetu Sterującego ds. Chorób Rzadkich.

Historia tej inicjatywy sięga roku 2006. W październiku, podczas spotkania z przedstawicielami grupy inicjatywnej, Pan Minister wraz z Sekretarzem Stanu podjęli decyzję o powołaniu w/w Komitetu. Zlecono wówczas pilne przygotowanie zarządzenia powołującego komitet. Wkrótce potem, z udziałem strony społecznej zakończono prace nad projektem zarządzenia, uwzględniającym cele i zadania Komitetu, jego skład oraz funkcjonowanie. Projekt Zarządzenia od stycznia br. jest już gotowy. Niestety, od tego czasu nie doszło do formalnego powołania Komitetu do spraw chorób rzadkich.

Ta ważna inicjatywa zmierzająca do racjonalizacji leczenia rzadkich chorób genetycznych w Polsce została ponownie poparta przez przedstawicieli organizacji pacjentów, środowiska medyczne i NFZ. Pod apelem wspierającym dotychczasową inicjatywę tworzenia stabilnych podstaw leczenia chorób rzadkich podpisało się około 50 uczestników konferencji, wnosząc o pilne powołanie Komitetu Sterującego, złożonego z włączonych w terapię chorób rzadkich przedstawicieli władz resortu, płatnika, środowisk medyczno-naukowych i świadczeniodawców, organizacji pacjentów oraz producentów leków sierocych.

Podczas niedawno zorganizowanego spotkania przedstawiciela Krajowego Forum Orphan z Dyrekcją Departamentu Polityki Lekowej w Ministerstwie Zdrowia zapewnieni zostaliśmy o rychłym utworzeniu Komitetu. Optymistycznie na spotkaniu mówiono o dacie lipcowej.

### Członkami Krajowego Forum są:

- Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Gaucher'a
- Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego - [www.fabry.org.pl](http://www.fabry.org.pl)
- Stowarzyszenie Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne - [www.mps.sart.pl](http://www.mps.sart.pl)
- Polskie Towarzystwo Chorób Nerwowo-Mięśniowych - [www.idn.org.pl/tzchm](http://www.idn.org.pl/tzchm)

### Ważne linki:

- Instytut "Pomnik- Centrum Zdrowia Dziecka" - [www.czd.pl](http://www.czd.pl)
- Ministerstwo Zdrowia - [www.mz.gov.pl](http://www.mz.gov.pl)
- Narodowy Fundusz Zdrowia – Centrala - [www.nfz.gov.pl](http://www.nfz.gov.pl)
- Narodowy Fundusz Zdrowia - Oddział Mazowiecki - [www.nfz-warszawa.pl](http://www.nfz-warszawa.pl)
- UE/EMA - Komitet ds. Sierocych Produktów Medycznych - [www.emea.eu.int/htms/general/contacts/COMP/COMP.html](http://www.emea.eu.int/htms/general/contacts/COMP/COMP.html)

Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich ORPHAN [www.rzadkiechoroby.pl](http://www.rzadkiechoroby.pl)

Zamówienie lub odwołanie darmowej elektronicznej prenumeraty Biuletynu można dokonać pod adresem: [www.rzadkiechoroby.pl/biuletyn.php](http://www.rzadkiechoroby.pl/biuletyn.php)

03-916 Warszawa, Pasteura 6a/28  
Tel/fax: 022 / 617 54 81  
email: [sekretariat@rzadkiechoroby.pl](mailto:sekretariat@rzadkiechoroby.pl)

