

Małgorzata Pępek  
Poseł na Sejm  
Rzeczypospolitej Polskiej

Żywiec, dnia 11.05.2021 r.

L.Dz.371/2021

**Sz. P. Beata Karlińska**  
**Prezes Zarządu Fundacji Pomocy**  
**Chorym na Zanik Mięśni**

*Sz. P. Beata Karlińska*

Mając na uwadze szansę dla dzieci chorych na rdzeniowy zanik mięśni (SMA), jaką daje terapia genowa lekiem Zolgensma oraz w związku z jego dopuszczeniem do stosowania w Unii Europejskiej, w załączeniu przesyłam kopię odpowiedzi na moją interpelację poselską skierowaną do Ministra Zdrowia Adama Niedzielskiego w sprawie procedury dopuszczenia leku Zolgensma w Polsce, ewentualnego obniżenia ceny po dopuszczeniu do obrotu w naszym kraju oraz częściowej lub całościowej jego refundacji przez Narodowy Fundusz Zdrowia.

Z udzielonej odpowiedzi wynika, że aktualnie trwają prace (zbierane są niezbędne opinie eksperckie) w zakresie ustalenia wykazu Ministra Zdrowia, zawierającego ostateczny wybór technologii o wysokim poziomie innowacyjności, który będzie podstawą do zawiadomienia podmiotów odpowiedzialnych o możliwości składania wniosków refundacyjnych. Kwestia ew. objęcia refundacją leku Zolgensma we wskazanym trybie zostanie wzięta pod uwagę przez resort zdrowia.

Pozostaję do dyspozycji w kwestiach wymagających interwencji Posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej.

Z wyrazami szacunku

**Małgorzata Pępek**  
*Pępek*  
Poseł na Sejm  
Rzeczypospolitej Polskiej



Minister Zdrowia

Warszawa, 29 kwietnia 2021

PLR.050.131.2021.PB

Pani

Elżbieta Witek

Marszałek Sejmu RP

Szanowna Pani Marszałek,

w odpowiedzi na interpelację nr 23103 w sprawie terapii genowej lekiem Zolgensma u dzieci z SMA, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji.

Na wstępie niniejszej odpowiedzi Minister Zdrowia pragnie zaznaczyć, że od ponad dwóch lat refundowany jest lek Spinraza (nusinersen) w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni, a cała populacja chorych jest zabezpieczona w skuteczne i bezpłatne leczenie. Co wymaga dodatkowego podkreślenia nie ma żadnych obostrzeń dotyczących wieku, liczby genów, czy parametrów płucnych. Zgodnie z aktualnymi danymi dotyczącymi realizacji programu aktywnie leczonych jest 760 pacjentów, a zakwalifikowanych do terapii jest 780 pacjentów.

Minister Zdrowia uprzejmie dodaje, że na podstawie art. 40a ust. 8 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2021 r. poz. 523) zmienionej w art. 36 ustawy z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym (Dz.U. poz. 1875), Prezes Agencji Technologii Medycznych i Taryfikacji ustalił wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (na dzień 26 lutego 2021 r.). Wykaz ten obejmuje 11 pozycji, wśród których znajduje się m.in. lek Zolgensma.

Należy dodać, że aktualnie trwają prace (zbierane są niezbędne opinie eksperckie) w zakresie ustalenia wykazu Ministra Zdrowia, zawierającego ostateczny wybór technologii o wysokim poziomie innowacyjności, który będzie podstawą do

zawiadomienia podmiotów odpowiedzialnych o możliwości składania wniosków refundacyjnych w tym trybie. W związku z powyższym kwestia ew. objęcia refundacją leku Zolgensma we wskazanym trybie zostanie wzięta pod uwagę przez resort zdrowia.

Minister Zdrowia pragnie zapewnić, iż Ministerstwo Zdrowia podejmuje wszelkie możliwe działania mające na celu zwiększenie dostępu pacjentom do skutecznej i bezpiecznej farmakoterapii w ramach dostępnych środków publicznych. Realizując politykę zdrowotną państwa Minister Zdrowia kieruje się zasadami medycyny opartej na dowodach naukowych (EBM) oraz oceny technologii medycznych (HTA), co zapewnia przejrzystość i racjonalność podejmowanych decyzji o alokacji środków publicznych. Należy zaznaczyć, iż środki finansowe przeznaczone na refundację są ograniczone, zatem istotne jest racjonalne wprowadzanie na wykazy kolejnych produktów leczniczych.

Z poważaniem

z upoważnienia Ministra Zdrowia

Maciej Miłkowski

Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/

Małgorzata Pępek

minister zdrowia

## Interpelacja nr 23103

### Interpelacja w sprawie terapii genowej lekiem Zolgensma u dzieci z SMA

Szanowny Panie Ministrze!

Rdzeniowy zanik mięśni to ciężka choroba rzadka, w której z powodu wady genetycznej obumierają neurony w rdzeniu kręgowym odpowiadające za skurcze i rozkurcze mięśni. Brak impulsów nerwowych prowadzi do uogólnionego osłabienia i postępującego zaniku mięśni szkieletowych, a w ostateczności do częściowego albo całkowitego paraliżu. Szacuje się, że obecnie w naszym kraju żyje około 800–1000 chorych na SMA, a co roku rodzi się około 45–55 dzieci, u których w pewnym momencie życia pojawi się rdzeniowy zanik mięśni; 30–40 z nich będzie miało ostrą postać SMA. Do tej pory jedynym zarejestrowanym lekiem na SMA była Spinraza ( nusinersen ) firmy Biogen, która może być stosowana we wszystkich grupach wiekowych.

Na terenie Stanów Zjednoczonych dostępna jest terapia genowa, przywracająca funkcję zmutowanego genu. Koszt jednorazowej terapii Zolgensma AveXis Inc. oszacowano na 2.125 miliona dolarów! Jest to najdroższa terapia dostępna na rynku. Bezpieczeństwo i skuteczność preparatu zostały potwierdzone przez dwa badania kliniczne. Dużą zaletą tego preparatu jest szybkie rozpoczęcie działania. Lek znacznie podnosi poziom białka SMN w ciągu kilkudziesięciu godzin od podania – tak bardzo, że poziom tego białka jest porównywalny z poziomem u osoby zdrowej. Sprawia to, że lek ten jest wyjątkowo przydatny do leczenia niemowląt i małych dzieci, u których objawy SMA jeszcze się nie pojawiły albo pojawiły się bardzo niedawno. Inną zaletą tego leku jest, że stosuje się go jednorazowo, w odróżnieniu od pozostałych leków, które należy przyjmować stale. Lek Zolgensma jest już dostępny we Francji w całym zakresie rejestracyjnym poprzez program ATU de cohorte. Wkrótce będzie dostępny w Niemczech.

W związku z powyższym zwracam się do Pana Ministra z następującymi pytaniami:

1. Czy i na jakim etapie jest procedura dopuszczenia leku Zolgensma w Polsce?
2. Czy znane są informacje o możliwości obniżenia ceny leku po ewentualnym dopuszczeniu go do obrotu w naszym kraju?
3. Czy Ministerstwo Zdrowia bierze pod uwagę częściową lub całościową refundację leku Zolgensma po ewentualnym dopuszczeniu do obrotu?

Z poważaniem  
Małgorzata Pępek  
Poseł na Sejm RP