

## **Postulaty organizacji wspierających pacjentów onkologicznych wobec ustawy refundacyjnej oraz innych regulacji wpływających na dostępność terapii przeciwnowotworowych**

W debacie publicznej poświęconej projektowanym zmianom w systemie ochrony zdrowia w Polsce wiele miejsca w ostatnim czasie poświęcono planowanym zmianom w ustawie refundacyjnej oraz innych aktach prawnych wpływających na dostępności terapii (np. projekt ustawy wprowadzający ratunkowy dostęp do leków). Zainteresowanie pracami nad tymi regulacjami wyraziło wiele środowisk oraz grup. Szanując tę sytuację nie można zapomnieć, że to pacjenci są grupą, dla której skutki zmian prawnych będą najistotniejsze. W przypadku chorych zmagających się z chorobami nowotworowymi wszelkie zmiany wpływające na dostępność terapii mają szczególnie istotny charakter. Po pierwsze, dostępność terapii onkologicznych poza systemem finansowanym ze środków publicznych jest znikoma i osiągalna dla nielicznych. Po drugie, dostępność terapii jest jednym z czynników istotnie wpływających na skuteczność leczenia w systemie opieki onkologicznej. Po trzecie, zarówno my, jak i nasi podopieczni wielokrotnie szukając możliwości rozwiązania naszych problemów związanych z dostępnością leczenia, spotykaliśmy się z problemami, których występowanie motywowano regulacjami prawnymi.

W naszej opinii rolą państwa jest zapewnienie odpowiednich ram prawnych, w których pacjenci mogą uzyskać najlepsze możliwe leczenie. Zwracamy się do Ministra Zdrowia z prośbą o uwzględnienie w trakcie prac legislacyjnych stanowiska naszych organizacji. Jednocześnie zapewniamy o pełnym wsparciu dla zmian, które będą poprawiać sytuację pacjentów. Niniejszy dokument przedstawia dostrzegane problemy oraz kierunki zmian, które w naszej opinii należy obrać. Będziemy bardzo wdzięczni za wsparcie pracowników resortu zdrowia, aby przełożyć język problemów na język prawa.

### **Lista organizacji popierających (w kolejności alfabetycznej, stan na 21.09.2016):**

Federacja Stowarzyszeń Amazonki  
Fundacja Carita – Życ z Szpiczakiem  
Fundacja Gwiazda Nadziei  
Fundacja Onkocafe – Razem Lepiej  
Fundacja Onkologiczna Alivia  
Fundacja Onkologiczna No pasaRAK  
Fundacja „Pokonaj raka”  
Fundacja Rak’n’ROII Wygraj Życie!  
Polskie Towarzystwo Stomijne POL-ILKO

Stowarzyszenie Mężczyzn z Chorobami Prostaty im. Prof. Tadeusza Koszarowskiego „Gladiator”

Stowarzyszenie na Rzecz Walki z Rakiem z Chorobami Nowotworowymi Sanitas

Stowarzyszenie na Rzecz Walki z Rakiem Jajnika Niebieski Motyl

Stowarzyszenie Polskie Amazonki Ruch Społeczny

Stowarzyszenie Przyjaciół Chorych na Chłoniaki „Przebiśnięg”

Stowarzyszenie Walki z Rakiem Płuca



## **POSTULAT I – publikacja informacji o toczących się postępowaniach refundacyjnych oraz decyzjach wydawanych przez Ministra Zdrowia.**

Obecnie źródła informacji o toczących się postępowaniach refundacyjnych są niepełne oraz rozproszone. Ze względu na konieczność zapewnienia przejrzystości postępowań oraz umożliwienie pacjentom łatwego pozyskania informacji o toczących się pracach, zasadnym wydaje się wprowadzenie bazy postępowań administracyjnych, obejmujących m.in. następujące informacje: nazwa cząsteczki, wskazanie, data złożenia wniosku, etap oraz status prac oraz inne istotne dla postępowania informacje. Poniżej znajduje się przykładowa tabela:

Nazwa cząsteczki	Wskazanie	Data złożenia wniosku:	Etap prac (np. skierowany do AOTMiT)	Uwagi

Opowiadamy się także za stworzeniem bazy informacji o zakończonych postępowaniach. W przypadku, gdyby stworzenie takim rozwiązań stanowiłoby duży wysiłek organizacyjny, sugerujemy ograniczenie baz do informacji o lekach dotychczas nierefundowanych lub takich, dla których toczą się postępowania w sprawie rozszerzenia zakresu wskazań, w których dana terapia jest refundowana.

## **POSTULAT II – rezygnacja z kryterium efektywności kosztowej dla leków stosowanych w leczeniu chorób rzadkich oraz ultraradkich**

Dotychczasowe regulacje zawarte w ustawie refundacyjnej określają próg efektywności kosztowej dla leków refundowanych jako trzykrotność dochodu narodowego brutto *per capita*. Wspomniane kryterium jest stosowane zarówno przy ocenie chorób powszechnych, jak i rzadkich lub ultraradkich. W naszej opinii takie rozwiązania wpływają negatywnie na sytuację chorych zmagających się z rzadkimi chorobami nowotworowymi poprzez ograniczenie szans na objęcie tych leków finansowaniem przez Narodowy Funduszu Zdrowia. W naszej opinii w przypadku oceny tego rodzaju terapii Rada Przejrzystości oraz Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji powinni być zobligowani jedynie do przedstawienia analizy skuteczności klinicznej danej terapii. Również na kolejnych etapach postępowania przekroczenie progu efektywności kosztowej dla tej klasy terapii nie powinno wykluczać możliwości ich refundacji. Jest to szczególnie istotne również ze względu na dostrzegany rozwój onkologicznych leków sierocych, stanowiących jedyną opcję terapeutyczną dla wielu grup pacjentów. Zwracamy również uwagę, że problem kryterium efektywności kosztowej jako kryterium „odcinającego” dotyczy nie tylko chorób rzadkich – w naszej ocenie wiele kryteriów powinno być brane pod uwagę i niespełnienie jednego z nich nie powinno blokować refundacji.

### **POSTULAT III – wdrożenie rejestrów medycznych monitorujących efektywność leczenia**

Leczenie onkologiczne powinno odbywać się lub być koordynowane przez ośrodki referencyjne, charakteryzujących się wysoką specjalizacją oraz doświadczeniem organizacji. W Polsce dotychczas nie wdrożono systemu informatycznego, który pozwoliłby na monitorowanie wskaźników jakościowych, np. bezpieczeństwa i skuteczności zabiegów operacyjnych, jakości oraz szybkości procesu diagnostycznego, informacji dot. 1-rocznych, 2-letnich, 3-letnich, 4-letnich oraz 5-letnich przeżyć u pacjentów onkologicznych. W naszej opinii dane te powinny nie tylko być zbierane i agregowane (np. z wykorzystaniem Krajowego Rejestru Nowotworów), lecz również brane pod uwagę przy kontraktowaniu ośrodków szpitalnych. Ponadto, wszelkie informacje dotyczące efektywności oraz bezpieczeństwa leczenia powinny być dostępne publicznie poprzez strony internetowe resortu zdrowia oraz płatnika.

### **POSTULAT IV – zwiększenie dostępności leków poza wskazaniami określonymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego**

Wielu pacjentów onkologicznych każdego roku rozpoczyna walkę z rakiem nietypowo umiejscowionym lub charakteryzującym się innymi właściwościami skutkującymi brakiem możliwości skorzystania ze standardowego leczenia. Co więcej, ze względu na niewielką liczebność grup chorych brakuje wyników badań naukowych świadczących o skuteczności danego leku dla tej grupy pacjentów. Z tego samego powodu ograniczeniu ulegają szanse na opracowanie nowych terapii dla tych chorych w przyszłości. Zasadnym wydaje się wprowadzenie możliwości leczenia takich grup chorych na podstawie decyzji lekarza przy zachowaniu dwóch warunków: sprawnego zakończenia procedury finansowania takiego leczenia (np. w przeciągu 7 dni) oraz prowadzenia ogólnodostępnego rejestru medycznego, pozwalającego monitorować efekty terapii, z którego mógłby korzystać płatnik oraz lekarz rozważający zastosowanie takiego leczenia. Takie rozwiązanie zapewniłoby dostęp do najlepszego możliwego leczenia, jak również prowadziłoby do gromadzenia wiedzy istotnej dla podejmowania decyzji np. o zwiększeniu dostępu do danego leku poprzez program lekowy (patrz postulat VII).

### **POSTULAT V – skrócenie okresu od wydania decyzji refundacyjnej do faktycznego udostępnienia terapii**

Obecnie wydanie pozytywnej decyzji refundacyjnej nie jest równoznaczne z faktyczną możliwością skorzystania z danej terapii. Pacjenci zmuszeni są czekać na publikację obwieszczenia refundacyjnego, zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia oraz zakończenie procedur administracyjnych związanych z dostarczeniem leków do ośrodków (większość terapii przeciwnowotworowych jest podawanych w lecznictwie zamkniętym). W przypadku onkologii czas jest niezwykle istotny. Zbyt długie oczekiwanie na lek może pogorszyć rokowanie a nawet, w skrajnym przypadku, uniemożliwić choremu skorzystanie z takiej terapii ze względu na pogorszenie stanu zdrowia lub zamknięcie tzw. "okna

terapeutycznego" w okresie oczekiwania na realną dostępność terapii. Dostrzegamy potrzebę określenia terminu pomiędzy publikacją obwieszczenia refundacyjnego a faktycznym udostępnieniem terapii przez pacjenta. Obecnie okres ten trwa od kilku do kilkunasty tygodni - dla części pacjentów onkologicznych okazują się one krytyczne oraz może prowadzić do powstania uzasadnionych roszczeń chorych ze względu na brak zapewnienia dostępu do gwarantowanych świadczeń zdrowotnych. Dostrzegając starania Funduszu zmierzające na rzecz skrócenia tego okresu w ostatnich miesiącach, wydaje się uzasadnionym poszukanie rozwiązań zabezpieczających pacjentów przed przewlekłym procesem udostępniania terapii.

#### **POSTULAT VI – wezwanie podmiotu odpowiedzialnego/wprowadzenie systemu motywującego do złożenia wniosku refundacyjnego**

W obecnym stanie prawnym prawo do wszczęcia procesu refundacyjnego mają wyłącznie podmioty odpowiedzialne. Z tego względu Minister Zdrowia jako instytucja zajmująca się kreowaniem polityki zdrowotnej posiada ograniczone możliwości prowadzenia spójnej oraz konsekwentnej polityki lekowej. Z naszych doświadczeń wynika, że pomimo istnienia niezaspokojonych potrzeb zdrowotnych dla wielu terapii, których refundacja mogłaby przynieść istotne korzyści pacjentom, nie są złożone wnioski. Wydaje się, że obecna sytuacja ma dwie przyczyny. Po pierwsze, niewielka liczebność grupy pacjentów, którzy mogliby otrzymać leczenie sprawia, że przeprowadzenie procesu refundacyjnego jest dla podmiotu nieopłacalne. Po drugie, terapie, które miałyby zostać objęte refundacją, są zbyt tanie, by rekompensowały koszty ewentualnego postępowania. W naszej opinii Minister Zdrowia powinien posiadać narzędzia pozwalające prowadzić politykę lekową bez zbędnych ograniczeń. Z tego względu wydaje się wartościowe wprowadzenie administracyjnej możliwości wezwania producenta do złożenia wniosku refundacyjnego z wykorzystaniem odpowiednich narzędzi motywujących do podjęcia takiego działania lub wdrożenie mechanizmów eliminujących przyczyny zaniechania do złożenia takiego wniosku (np. zwolnienie z części opłat, przeniesienie części pracy do AOTMiT). W przypadku niepowodzenia w/w działań powinna istnieć prosta i szybka w implementacji procedura zabezpieczenia pacjenta w lek na drodze realizacji zakupu poza granicami RP.

#### **POSTULAT VII – wprowadzenie możliwości zmiany z urzędu zapisów programu lekowego**

Wiele terapii onkologicznych finansowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia jest dostępnych poprzez programy lekowe, określające kryteria kwalifikacji do leczenia. W przypadku kilku przypadków ograniczenia w dostępie do terapii nie odpowiadają aktualnej wiedzy medycznej – wynika to z błędnej pierwotnej konstrukcji treści programu lub z dezaktualizacji tej treści w wyniku pojawiania się nowych doniesień w literaturze medycznej. W naszej opinii Ministerstwo Zdrowia powinno dysponować narzędziami, które pozwolą wyeliminować w/w błędy poprzez możliwość wprowadzenia z urzędu zmian w treści programów lekowych. To narzędzie byłoby również cenne w przypadku zgromadzenia wiedzy naukowej, dowodzącej skuteczności danej terapii u kolejnych grup pacjentów onkologicznych.

W takim przypadku resort zdrowia otrzymałby możliwość rozszerzenia grupy pacjentów otrzymujących leczenie.

#### **POSTULAT VIII – dostęp do leków przed rejestracją (*Compassionate Use*)**

Ze względu na prowadzenie prac nad nowymi cząsteczkami, które roją nadzieję na istotny postęp terapeutyczny w porównaniu do obecnie istniejących opcji leczenia, istotnym wydaje się wprowadzenie możliwości wczesnego dostępu do leków w okresie poprzedzającym ich rejestrację. Wydaje się również zasadnym stworzenie mechanizmów, które pozwoliłyby podmiotom odpowiedzialnym na finansowanie takich interwencji, jak również wprowadzenie rejestru medycznego, który pozwoli śledzić skuteczność i bezpieczeństwo stosowania terapii w praktyce klinicznej, dzięki czemu resort zdrowia posiadałby wiarygodne informacje pożyteczne w przypadku podejmowania decyzji o finansowaniu tych terapii w okresie porejestracyjnym.

#### **POSTULAT IX – ratunkowy dostęp do leków (*Early Access*)**

Obecnie brakuje w systemie prawnym regulacji, które służyłyby zwiększeniu liczby pacjentów korzystających z leków ratujących życie będących na etapie porejestracyjnym, ale przed podjęciem decyzji refundacyjnej. Jest to szczególnie istotne dla chorych, dla których nie istnieje żadna dostępna możliwość leczenia. Stworzenie ram prawnych, dzięki którym podmioty odpowiedzialne mogłyby finansować podjęcie takich interwencji powinno towarzyszyć wprowadzenie rejestru medycznego, który pozwoli śledzić skuteczność i bezpieczeństwo stosowania terapii w praktyce klinicznej, dzięki czemu resort zdrowia posiadałby wiarygodne informacje pożyteczne w przypadku podejmowania decyzji o finansowaniu tych terapii w późniejszym okresie.

#### **POSTULAT X – uwzględnienie dostępu do leków onkologicznych w strategicznym dokumencie polityki lekowej państwa**

W naszej opinii jedynie długoterminowa perspektywa oraz podjęcie działań o charakterze systemowym stanowi szansę na rozwiązanie problemów związanych z dostępnością leków onkologicznych w Polsce. Z radością przyjęliśmy informację o powołaniu w Ministerstwie Zdrowia zespołu, którego zadaniem jest przygotowanie dokumentu opisującego politykę lekową państwa. Mamy nadzieję, że część tego dokumentu będzie odnosić się do obszaru dostępności leków onkologicznych jako istotnego czynnika wpływającego na skuteczność systemu opieki onkologicznej. Wprowadzenie takich zapisów powinno uwzględniać krótko-, średnio- oraz długoterminowe cele oraz wskaźniki, według których byłoby możliwe mierzenie podejmowanych działań. Dokument ten oraz informacja o realizacji wskazanych w nim założeń powinny być dostępne publicznie oraz podlegać cyklicznej kontroli społecznej i parlamentarnej, dzięki czemu byłaby możliwa ewaluacja oraz wprowadzanie ew. zmian do dokumentu. Prosimy również o włączenie do prac zespołu lub pełnienie funkcji obserwatora przedstawiciela organizacji pacjentów onkologicznych.

