



Warszawa, 05-09-2022 r.

RZECZNIK PRAW OBYWATELSKICH

Marcin Wiącek

V.7013.61.2022.ETP

Pan

Maciej Miłkowski

Podsekretarz Stanu

Ministerstwo Zdrowia

via ePUAP

Wielce Szanowny Panie Ministrze,

W odpowiedzi na pismo Pana Ministra z dnia 26 sierpnia 2022 r. w sprawie problematyki dostępu do refundacji leku Zolgensma dla dzieci zmagających się z chorobą SMA pragnę podnieść, co następuje.

Pragnę przede wszystkim podziękować za merytoryczne stanowisko w przedmiotowej sprawie. Podkreślam, że z uznaniem odnoszę się do decyzji o tym, iż na wrześniowej liście leków refundowanych widnieje najdroższy lek na SMA – Zolgensma¹.

Niewątpliwie to szansa na normalne życie dla dzieci dotkniętych tą rzadką chorobą genetyczną. Zauważam, że Polskie Towarzystwo Neurologii Dziecięcej w sposób

¹ Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 22 sierpnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 września 2022 r.

pozytywny ocenia zasady dostępu do diagnostyki i dostępu do terapii SMA². Dostrzegam również, że od 1 września 2022 r. wszedł w życie nowy, jednolity program leczenia rdzeniowego zaniku mięśni (SMA). Program ten obejmuje trzy opcje terapeutyczne: dotychczas stosowany lek Spinraza oraz nowo wprowadzane leki: Zolgensma (terapia genowa) i Evrysdi (terapia doustna). Natomiast od kwietnia 2021 r. SMA zostało włączone do Programu Badań Przesiewowych Noworodków, co pozwala na najbardziej skuteczne leczenie tej postępującej choroby w okresie przed wystąpieniem jej objawów. Tym samym Polska znajduje się w gronie 4 państw na świecie z tak kompleksowym podejściem do diagnostyki (badania przesiewowe) i terapii. Z optymizmem należy przyjąć, że wszystkie trzy leki będą w Polsce dostępne w ramach jednego zintegrowanego programu lekowego, który obejmie całą populację osób chorych na rdzeniowy zanik mięśni.

Rozumiejąc argumenty, jakie zostały przedstawione w piśmie Pana Ministra, jako Rzecznik Praw Obywatelskich jestem jednocześnie zobowiązany do odniesienia się do napływających do mojego Biura sygnałów, a także prezentowanych w przestrzeni publicznej wypowiedzi (zarówno rodziców, jak i części ekspertów) i tym samym wskazania, że w odniesieniu do leczenia produktem Zolgensma dzieci cierpiące na SMA w wieku powyżej 6 miesięcy nie otrzymają szansy na terapię tym lekiem, mimo że mogą znajdować się w analogicznej sytuacji zdrowotnej do dzieci spełniających to kryterium. Kluczowe jest bowiem to, **czy kryterium wieku jest optymalne z punktu widzenia decyzji o refundowaniu tego leku ze środków publicznych**. W tym przypadku pojawiają się zasadnicze wątpliwości.

Pragnę ponownie zauważyć, że w myśl art. 68 Konstytucji RP, obywatelom, niezależnie od ich sytuacji materialnej, władze publiczne zapewniają równy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych. Władze publiczne są obowiązane do zapewnienia szczególnej opieki zdrowotnej m.in. dzieciom. W ocenie Trybunału Konstytucyjnego: „szczególna opieka zdrowotna *ex definitione* wykracza poza sferę zwykłej, powszechnej opieki zdrowotnej, powinna więc być wzmożona,

² <https://ptnd.pl/aktualnosc/nowy-program-leczenia-sma> [dostęp: 29.08.2022]

intensywniejsza lub bardziej wyspecjalizowana, czyli dostosowana do specyfiki potrzeb charakterystycznych dla danej grupy podmiotów³.

Zasada równości w dostępie do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych polega na tym, że wszelkie różnicowania powinny być oparte na aktualnej wiedzy medycznej oraz kryteriach, które nie budzą zastrzeżeń z punktu widzenia zasady sprawiedliwości społecznej. Ostrożność w doborze właściwych kryteriów jest istotna zwłaszcza w odniesieniu do osób, którym Konstytucja nakazuje zapewnienie „szczególnej opieki zdrowotnej”.

W tym kontekście warto wskazać na wątpliwości, jakie mogą wiązać się ze zróżnicowaniem refundacji według kryterium wieku. Zagrożenie naruszenia art. 68 Konstytucji RP w sytuacji uzależnienia dostępu do leczenia od wieku pacjenta zostało dostrzeżone w orzecznictwie. W szczególności w jednym z wyroków SN wskazano, że „Uzależnienie ponoszenia kosztów leczenia od wieku pacjenta jest oczywistym zaprzeczeniem zasady równości (...)”⁴. Ponadto zdaniem SN „Wszelkie zarzuty dotyczące przeciwwskazań stosowania leku i ograniczeń przy jego rejestracji nie usprawiedliwiają różnicowania uprawnień do korzystania ze świadczeń z ubezpieczenia ze względu na wiek. Granica wiekowa jest bowiem umowna, a o zastosowaniu określonej metody decydują lekarze oceniając organizm chorego (...)”

Odnosząc się do kryterium wieku przyjętego w zasadach refundacji leku Zolgensma, należy przede wszystkim wskazać, że z dostępnej na stronie Europejskiej Agencji Leków (EMA) charakterystyki tego produktu⁵ wynika, że nie zostało wprowadzone ograniczenie wiekowe do stosowania tego leku. Natomiast są tam zawarte informacje, że ograniczone jest doświadczenie ze stosowania produktu u pacjentów w wieku 2 lat lub powyżej lub o masie ciała powyżej 13,5 kg. Dodatkowo największym opakowaniem

³ Wyrok TK z 22.07.2008 r., K 24/07.

⁴ Wyrok SN z 12.03.2004 r., II UK 243/03.

⁵ https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information_pl.pdf [dostęp: 26.08.2022]

leku, jakie producentowi wolno sprzedawać w UE, jest opakowanie odpowiadające pacjentowi o wadze ciała 20,5–21 kg⁶.

Również w przestrzeni publicznej pojawiają się stanowiska medyków podające w wątpliwość zasadność przyjęcia kryterium wieku⁷. Zauważono, że bardziej odpowiednim kryterium jest waga dziecka oraz indywidualna ocena lekarza. Ponadto na podstawie HPR (Healthcare Professionals) została zdefiniowana dawka wobec masy ciała.

Wiele argumentów dostarcza analiza regulacji obowiązujących w innych państwach. Dla przykładu, w Niemczech oraz Anglii lekarze coraz częściej decydują się podawać lek Zolgensma dzieciom do ok. 15 kg (Anglia) lub nawet 17–19 kg (Niemcy), bez ograniczeń wiekowych. W Niemczech oraz państwach Grupy Wyszehradzkiej terapia genowa może być stosowana także u dzieci z przewlekłą postacią SMA bez ograniczeń wiekowych (Niemcy, Węgry) lub w wieku do 2 lat (Czechy). Na drugim końcu spektrum są Włochy, gdzie Zolgensma jest obecnie refundowana tylko w leczeniu dzieci z niemowlęcą postacią SMA do 6. miesiąca życia (choć zakres refundacyjny we Włoszech ma zostać wkrótce rozszerzony)⁸.

Warto dodać, że w odniesieniu do produktu Zolgensma rodzice niektórych pacjentów prowadzą zbiórki pieniędzy na zakup leku⁹. W szczególności na stronie internetowej Fundacji SMA przedstawiono sytuacje pacjentów, którzy otrzymali lek Zolgensma w wyniku zbiórek dla dzieci w 9 miesiącu życia, czy sytuacje, w których pierwsze objawy nastąpiły dopiero gdy pacjent miał około 9-10 miesiąca życia, a diagnozę otrzymał, gdy miał już 15 miesięcy, natomiast terapię genową lekiem Zolgensma uzyskał dopiero gdy miał ok. 19 miesięcy. Nadto wskazani pacjenci byli przed terapią genową leczeni

⁶ <https://www.fsma.pl/2020/12/135-czy-21-kg-limit-wagowy-zolgensma-w-europie/>
[dostęp: 26.08.2022]

⁷ <https://zdrowie.gazeta.pl/Zdrowie/7,101458,28830993,dr-grzesiowski-o-zamieszaniu-z-refundacja-leku-na-sma-tlumaczenie.html> [dostęp: 29.08.2022]

⁸ <https://www.fsma.pl/leki/zolgensma/dostepnosc-leku-zolgensma-w-europie/>
[dostęp: 29.08.2022]

⁹ https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/RAPORTY/2020_022.pdf [dostęp: 29.08.2022]

lekiem Spinraza¹⁰. Oznacza to – co należy silnie podkreślić – że **lek Zolgensma jest uznawany za skuteczny w przypadku dzieci starszych niż 6 miesięcy, skoro obecnie dopuszczalne jest jego podanie takim dzieciom, według wskazań lekarza, o ile rodzicom tych dzieci uda się uzyskać wystarczające środki finansowe**. Okoliczność ta uprawnia do postawienia pytania, czy przyjęte kryterium wieku 6 miesięcy rzeczywiście pozostaje w bezpośrednim i koniecznym związku ze skutecznością Zolgensmy i czy nie jest możliwe odwołanie się do parametru, jakim jest waga dziecka, który to parametr – po pierwsze – jest obecny w dokumentach Europejskiej Agencji Leków, a także jest stosowany w innych państwach oraz – po drugie – nie budziłby aż takich kontrowersji z punktu widzenia zasady sprawiedliwości społecznej.

Kolejnym problemem jest to, że z refundacji będą wyłączone dzieci – również te do 6 miesięcy – które już były poddane terapii innym lekiem. Oznacza, to że refundacja będzie obejmowała w zasadzie tylko te dzieci, które urodzą się po wejściu w życie nowych przepisów. Poza tym w przypadku wykrycia SMA zalecana jest natychmiastowa terapia, a tu pojawia się kwestia czasu oczekiwania na refundację, procedury odwoławcze itd.

Pragnę zauważyć, że do mojego Biura wpływają sygnały od obywateli, którzy czują się pokrzywdzeni i podnoszą zarzut dyskryminacji dzieci chorych na SMA ze względu na wiek. Wpłynęły ponadto sygnały ze strony lekarzy, że w dostępnych informacjach na stronie EMA w SPC (Specific Product Characteristics) nie ma informacji o ograniczeniu wiekowym w podawaniu niniejszego leku. Z kolei podczas spotkania z rodzicami dzieci chorych na SMA zwrócono uwagę m.in. na to, że w Polsce jest tylko 27 przypadków dzieci, które walczą o podanie refundowanego leku, a kryteria kwalifikacji do refundacji powodują, że na dzień dzisiejszy nie ma dziecka, które dostanie tę terapię. Moje wystąpienie do Ministra Zdrowia miało na celu podkreślenie, że kryteria refundacji tak kosztownego leku, jak Zolgensma, powinny być określone ze szczególną troską o to, aby żadna z potrzebujących osób nie czuła się pokrzywdzona,

¹⁰ <https://www.fsma.pl/2021/04/zebralismy-na-terapiie-genowa-historia-trzech-rodzin/>
[dostęp: 29.08.2022]

dyskryminowana czy potraktowana niesprawiedliwie przez państwo. Analiza rozwiązań przyjętych w innych krajach, a także wypowiedzi części ekspertów, świadczą o tym, że skuteczność leku jest uzależniona przede wszystkim od wagi dziecka oraz wskazań lekarskich. Tymczasem przyjęta zasada – odwołująca się wyłącznie do kryterium wieku, a przy tym określonego na tak niskim poziomie – może doprowadzić do tego, że dzieci znajdujące się w tożsamej sytuacji zdrowotnej z punktu widzenia wskazań do objęcia ich terapią lekiem Zolgensma mogą być – tylko z tego powodu, że urodziły się w odstępie kilku tygodni czy miesięcy – potraktowane diametralnie odmiennie. Tego typu sytuacja może budzić uzasadnione poczucie pokrzywdzenia i niesprawiedliwości po stronie rodziców takich dzieci.

Wobec powyższego, na podstawie art. 13 ust. 1 pkt 2 ustawy z dnia 15 lipca 1987 r. o Rzeczniku Praw Obywatelskich (Dz. U. z 2020 r poz. 627 ze zm.) zwracam się do Pana Ministra z uprzejmą prośbą o zajęcie stanowiska w podnoszonej przeze mnie sprawie.

Z wyrazami szacunku

Marcin Wiącek

Rzecznik Praw Obywatelskich

/-podpisano elektronicznie/