

irattári
rételszám: 04
ügyintézési idő: 5 év



EMBERI ERŐFORRÁSOK
MINISZTERIUMA

Iktatószám: 43463-3/2019/GYO

Hiv. szám: 852-2-2019.09.19.

Melléklet: –

Tárgy: Tájékoztatás a Spinraza 12 mg
oldatos injekcióval kapcsolatban

Kovács Ágnes Elnök Asszony
részére

Mozgáskorlátozottak Egyesületének Országos Szövetsége

Budapest
San Marco utca 76.
1032

Tisztelt Elnök Asszony!

ÉRKEZETT	
A MEGSZ. KÖZPONTBA	
Idő:	2019 OKT 25
Nytsz.:	2008-1
Ügyintéző:	Kovács
Határidő:	
Iktató aláírása	

A gerincvelői eredetű izomsorvadásban (Spinal Muscular Atrophy, rövidítve: SMA) szenvedő betegek gyógyszeres kezelése érdekében Prof. Dr. Kásler Miklós miniszter úrhoz írt levelében feltett kérdéseire az alábbi tájékoztatást adom.

Mint azt levelében Ön is jelezte, az SMA egy öröklődő, jelenleg gyógyíthatatlan betegség. Kialakulásában egy hibás gén játszik szerepet, amely a gerincvelőben található mozgató idegsejtek károsodását okozza, melynek következménye a fokozatosan súlyosbodó izomsorvadás, majd az esetek többségében az izomzat teljes bénulása. A betegség kezelése több szintű, rendkívül komplex ellátást igényel. A kezelésnek minden esetben személyre szabottnak kell lennie.

A forgalomba hozatalra került, nusinersen hatóanyagú (Spinraza megnevezésű) gyógyszer az első betegségmódosító terápia az SMA kezelésében. A kezelésre várhatóan élethossziglan van szükség. A terápia a betegeket nem gyógyítja meg, azonban lehetővé teszi, hogy a betegség kialakulásáért felelős hibás gén részleges helyettesítése révén megfelelő működésre képes fehérjét termeljen, ezáltal enyhülhetnek a betegség tünetei.

A gyógyszer alkalmazhatóságát nagy várakozás előzte meg, azonban még nincsenek végleges adatok arra vonatkozóan, hogy mely betegek esetében várható a legjobb eredmény. A gyógyszer engedélyezését követően az európai gyógyszerügyi hatóság is további hatásossági vizsgálatok elvégzésére kötelezte a gyártót, melyek még jelenleg is folyamatban vannak.

Fontos tudni, hogy a gyógyszer alkalmazása nem veszélytelen. A készítmény alkalmazási előírása is felhívja a figyelmet a beadás speciális módjára, valamint azokra a súlyos mellékhatásokra, amelyek a klinikai vizsgálatok során már feltárásra kerültek és a gyógyszer alkalmazásának megítélése során ezekre figyelemmel kell lenni. Éppen ezért, a kezelés támogatására vonatkozó döntést az adott betegnél várt terápiás előnyök és a Spinraza-kezeléssel járó lehetséges kockázatok mérlegelésével, egyénre szabott, szakértői értékelés alapján lehet meghozni.

A Kormányzat egészségügyi ágazata együtt érez az SMA-betegekkel és hozzátartozóival.

Levelében Ön is említette, hogy az Európai Unióban nem egységes a gyógyszer finanszírozása.

A Spinraza készítmény orphan drug (ritka betegségek gyógyszere) státusza miatt nemzetközi viszonylatban is igen magas árú gyógyszer, ezért hazánkban az egészségügyi ágazat a készítmény európai forgalomba hozatalát követően rövid időn belül megkezdte a tárgyalásokat a gyártóval a készítmény rendkívül magas árának (az első éves terápiás költség 135 millió Ft/beteg volt) csökkentése érdekében.

A magyar Kormány az elsők között, már 2018 márciusától lehetővé tette, hogy a Nemzeti Egészségbiztosítási Alapkezelőhöz (NEAK) beérkezett egyedi méltányossági kérelmek alapján az érintett betegek kezelése támogatással megkezdődhessen.

A NEAK-hoz a mai napig beérkezett kérelmek alapján 54 beteg gyermek kezelése kezdődött meg kórházi egyedi méltányosság keretében, és jelenleg is több beteg kérelmének elbírálása van folyamatban. Az Egészségbiztosítási Alapból 2018-ban megközelítőleg 1,2 milliárd forint kifizetése történt erre a gyógyszerre. Annak érdekében, hogy minél több beteg ellátása biztosítható legyen, a finanszírozás az egészségbiztosító és a gyártó között – szakmai evidenciák figyelembevételével – megkötött kockázatmegosztási-megállapodás alapján történik.

Eddig az orvosszakmai vélemények alapján elsősorban a kisgyermek kezelésének kezdődhetett meg a gyógyszer klinikai vizsgálataiban rögzített feltételek mentén.

Minden beteg esetében egyedi döntés születik az orvosszakmai indokoltság alapján.

Tekintettel arra, hogy ritka betegségről van szó, melynek ezen készítménnyel történő kezelésével kapcsolatban korlátozott információk állnak rendelkezésre a kezeléstől várható rövid- és hosszútávú eredmények tekintetében, a megalapozott döntés érdekében szükséges egy orvosszakmai tanácsadó testület (továbbiakban: Testület) szakmai álláspontját kikérni a kezelés indokoltságára vonatkozóan.

A Testület azon túl, hogy a betegekkel kapcsolatban külön-külön szakvéleményt ad, és minden esetben elkészít egy általános kezelési tervet és objektív, részletes kritériumrendszer tervezetet a kezelés eredményességének utánkövetésével kapcsolatosan, melyet a meghosszabbítási kérelmek esetében is alapul vesz aszerint, hogy a beteg állapota hogyan alakult a kezelés hatására.

A Testület a protokoll megalkotása során figyelembe vette a klinikai vizsgálatok adatait, sajátosságait, a terápiás területen rendelkezésre álló egyéb evidenciákat és a nemzetközi tapasztalatokat.

Az elutasításra orvosszakmai okok miatt került sor, melyről a betegek a határozatban teljeskörű tájékoztatást kaptak.

A felnőtt betegek kérelmei is elutasításra kerültek, mivel esetükben a betegség lefolyása sokkal lassabb, illetve esetükben még nem ismert a terápia hozzáadott értéke.

A betegek kezelésében illetékes orvosszakma véleménye szerint, bár folynak vizsgálatok és jelennek meg közlemények a Spinraza gyógyszer felnőtteknél történő alkalmazásával kapcsolatban, azonban a gyógyszer biztonságosságát, tolerálhatóságát és hatékonyságát a 2018 őszén indított, megfelelő minőségű nemzetközi vizsgálat fogja megállapítani, amelynek befejezése 2022-re várható. Ennek következtében a felnőtt betegek kezelését Európában gyakorlatilag – néhány kivételtől eltekintve – még nem finanszírozzák.

A magyar Kormány mindent megtesz a betegek kezelésének biztosítása érdekében.

Fontos szempont azonban az egyenlő bánásmód elve. Az ellátórendszer akkor működik jól, ha a rendelkezésére álló gyógyító lehetőségeket egyformán képes nyújtani minden rászoruló állampolgár számára. E szempont érvényesülésének biztosítása érdekében törekszünk arra, hogy – a feltételek biztosítása mellett – az eljárásrendeket lehetőleg jogszabályokban rögzítsük. A méltányosság gyakorlását a szabályozás a NEAK hatáskörébe utalja, és pontosan meghatározott feltételekhez köti.

A NEAK tájékoztatása szerint – a gyógyszerári vényforgalmi adatok alapján – a gyógyszerek egyedi méltányossági támogatására fordított kiadások a 2010. évi 5,1 milliárd forinthez képest 2018-ra mintegy ötszörösére, 24,8 milliárd forintra emelkedtek. A ritka betegségek kezelésére fordított kórházi egyedi méltányossági támogatás összege pedig a 2015. évi 3,8 milliárd forintról 9,3 milliárd forintra növekedett, azaz mintegy két és félszeresére nőtt.

Jelenleg csak a 12 év alatti, SMA I., II., III. típusú SMA-ban szenvedő, olyan gyerekek kezelését tudja vállalni a biztosító, akik esetén a motoros funkciók bizonyos szinten megtartottak, és akik a tüdőkapacitások károsodása miatt még nem szorulnak tartós lélegeztetésre.

Célunk a kezelés kiterjesztése, hogy valamennyi 18 év alatti beteg (a pre-szimptomatikus populációt is beleértve, kivéve a tartós lélegeztetésben részesülőket) kezelése megvalósulhasson.

A 18 év feletti betegek esetén az SMA betegség kevésbé súlyos lefolyásáról lehet szó, amely esetben az izmok rendszeres mozgásával az izomerő megtartását el lehetett érni, számukra a gyógyszeres kezelés finanszírozása – figyelemmel a fentiekben jelzettekre – jelenleg még nem indokolt.

Ugyanakkor a NEAK a szakmai Testülettel szorosan együttműködve folyamatosan elemzi az adott terápiás területen történő változásokat, illetve az új terápiás lehetőségeket annak érdekében, hogy a magyar betegek az új terápiákkal a legnagyobb egészségnyereséget érhessék el.

Az egészségügyi ágazat figyelemmel kíséri az SMA betegségben szenvedők eddigi gyógyszeres kezelésének eredményeit, esetleges nem várt hatásait, valamint – a 2020. évi költségvetésben biztosított többletforrásra is figyelemmel – a NEAK bevonásával további tárgyalásokat kezdeményezett a készítmény gyártójával a kezelések kiterjesztése érdekében és vizsgálja annak lehetőségét, hogy orvos szakmailag indokolt esetekben az érintett magyar betegek minél szélesebb köre számára biztosítani tudja a gyógyszerhez való hozzájutást.

Kérem tájékoztatásom szíves elfogadását.

Budapest, 2019. október „^H.....”

Üdvözlettel:



Prof. Dr. Horváth Ildikó
egészségügyért felelős államtitkár

