

Warszawa, 21 maja 2021 r.  
KL/214/157/KO/2021

Pan  
**Sławomir Gadomski**  
Podsekretarz Stanu  
Ministerstwo Zdrowia

*Szanowny Panie Ministrze,*

w związku z konsultacjami Planu dla Chorób Rzadkich uprzejmie przekazuję uwagi Konfederacji Lewiatan. Dokument oceniamy pozytywnie w zakresie poprawy dostępu do procesu diagnostycznego i terapeutycznego dla świadczeniobiorców cierpiących na choroby rzadkie, a także zapewnienia dostępu do wysokiej jakości innowacyjnych świadczeń opieki zdrowotnej.

Z poważaniem,



Maciej Witucki  
Prezydent Konfederacji Lewiatan



## Uwagi Konfederacji Lewiatan do Planu dla Chorób Rzadkich

Konfederacja Lewiatan dostrzega pewne zagadnienia w projekcie Planu dla Chorób Rzadkich, wymagające doprecyzowania zgodnie z uwagami zaproponowanymi poniżej:

- doprecyzowania wymaga uproszczona procedura wnioskowania o refundację leków o niewielkim wpływie na budżet płatnika stosowanych w chorobach rzadkich – zapis nie jest jasny, zaproponowane rozwiązania dotyczą analiz farmakoekonomicznych dotyczących wpływu na budżet, wątpliwości budzi sposób realizacji uproszczonej procedury, biorąc pod uwagę fakt, że praktycznie wszystkie leki stosowane w chorobach rzadkich mają znaczący wpływ na budżet płatnika. Konieczne jest w tej sytuacji doprecyzowanie wykazu leków mających niewielki wpływ na budżet płatnika, co umożliwi prawidłowe stosowanie wskazanej procedury;
- zaproponowane rozwiązania dotyczące instrumentu podziału ryzyka wymagają wyjaśnienia w kwestii uzależnienia refundacji od wyników terapii – w Planie wskazano na możliwość wydawania decyzji refundacyjnych na inne, niż określone w ustawie o refundacji okresy czasu, a także powiązanie te okresy z mechanizmem oceny skuteczności terapii. Wprowadzenie odrębnych okresów obowiązywania decyzji zdestabilizuje system, wprowadzi dezorientację zarówno dla wnioskodawców, jak i Pacjentów. Naszym zdaniem wskazane jest określenie z góry czasu obowiązywania decyzji refundacyjnych dla produktów stosowanych w chorobach rzadkich. Proponujemy wskazanie dłuższych okresów obserwacji terapii, które pozwolą na lepsze oszacowanie efektywności i skutków terapii;
- konieczne jest jednoznaczne określenie odpowiedzialności za ewentualne wystąpienie działań niepożądanych u Pacjentów stosujących leki poza zarejestrowanymi wskazaniami, w tym celu niezbędne jest określenie odpowiedzialności oraz zdefiniowanie procedury obejmowania refundacją produktów poza ich wskazaniami refundacyjnymi;
- słuszne są zaproponowane rozwiązania dot. odstąpienia od wymogu udowodnienia dostępności w obrocie leków przy wnioskowaniu o refundację, jednak mają one dotyczyć tylko niektórych kategorii produktów, np. terapii personalizowanych. Zaproponowany wymóg składania dowodu dostępności leku w obrocie jest dużym utrudnieniem przy refundacji wszystkich leków w chorobach rzadkich (niektóre są sprowadzane do hurtowni

w ilości minimalnych specjalnie po to, by można było złożyć wniosek o refundację). Chcielibyśmy wskazać na konieczność umożliwienia dla wszystkich leków stosowanych w chorobach rzadkich składania oświadczenia razem z wnioskiem o gotowości zapewnienia dostępności produktu w razie uzyskania pozytywnej decyzji o refundacji leku;

- realizacja planu została ustalona na lata 2021 – 2023. Uważamy, że harmonogram poszczególnych zmian opóźnia wdrożenie rozwiązań zawartych w projekcie. W zakresie poprawy opieki nad Pacjentami z chorobami rzadkimi zasadne jest znacznie szybsze wdrożenie zaproponowanych rozwiązań oraz usunięcie w projekcie wskazanych powyżej niejasności.

***Konfederacja Lewiatan, KL/214/157/KO/2021***





member of BUSINESSEUROPE



Konfederacja Lewiatan  
ul. Zbyszka Cybulskiego 3  
00-727 Warszawa

tel.(+48) 22 55 99 900  
fax (+48) 22 55 99 910  
lewiatan@konfederacjalewiatan.pl  
www.konfederacjalewiatan.pl

NIP 5262353400  
KRS 0000053779  
Sąd Rejonowy dla  
m.st. Warszawy w Warszawie  
XIII Wydział Gospodarczy KRS

