

VASCULITIS

Stowarzyszenie Chorych
na Układowe Zapalenia Naczyń



Warszawa, dnia 28 lutego 2025 roku

**Stowarzyszenie Chorych
na Układowe Zapalenia Naczyń „VASCULITIS”
ul. Szaserów 128
04-141 Warszawa**

**Pani Izabela Leszczyna
Minister Zdrowia
ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa**

do wiadomości:

Pan Daniel Rutkowski
Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
ul. Przeskok 2
00-032 Warszawa

Drogą niniejszego pisma zwracamy się, jako Stowarzyszenie Chorych na Układowe Zapalenia Naczyń „VASCULITIS” (dalej jako „Stowarzyszenie”), **o wzięcie pod uwagę głosu i stanowiska Stowarzyszenia w zakresie możliwości objęcia refundacją produktu leczniczego Tavneos (awakopan) w programie lekowym B.75 „Leczenie chorych na aktywną postać ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowe zapalenie naczyń (MPA) (ICD-10: M31.3, M31.8)”**.

Nieuwzględnienie głosu środowiska

W pierwszej kolejności pragniemy wyrazić ubolewanie, że Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej jako „Agencja”) nie wsluchał się w głos środowiska zrzeszającego tak pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń, jak i osoby zajmujące się zawodowo opieką nad chorymi na tę ciężką chorobę autoimmunologiczną, i wydał w dniu 2 grudnia 2024 roku negatywną rekomendację co do objęcia tego leku refundacją (numer 137/2024).

Zdajemy sobie sprawę, że wraz z wejściem w życie ustawy z dnia 17 sierpnia 2023 roku o zmianie ustawy o refundacji leków oraz niektórych innych ustaw, zmieniona została dotychczasowa treść art. 35 ust. 2 pkt 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (dalej jako: „ustawa o refundacji”), który wprost wskazywał na możliwość Agencji zasięgnięcia opinii podmiotów, w tym organizacji pacjentów stowarzyszeń zawodowych i naukowych.

Niemniej, **powyższa zmiana w żaden sposób nie przekreśla ani nie tamuje uprawnień Agencji do tego, aby w dalszym ciągu zwracać się o opinie ze strony podmiotów trzecich**. Można wręcz stwierdzić, że pomimo zniknięcia tej podstawy prawnej, Agencja w praktyce zwracała i w dalszym ciągu zwraca się o wyrażenie stanowiska przez różnych interesariuszy.

Jest to o tyle niepokojące, że dotychczas Stowarzyszenie wielokrotnie było zapraszane przez Agencję do podzielenia się swoimi spostrzeżeniami w zakresie obejmowania refundacją poszczególnych produktów leczniczych. Stowarzyszenie zawsze udzielało Agencji szczegółowych informacji zwrotnych

– jako że na pierwszym miejscu jego działalności leży dobro pacjentów oraz możliwość objęcia ich najlepszym dostępnym leczeniem, biorąc pod uwagę aktualny stan wiedzy i badań klinicznych.

Dlatego niezrozumiałe jest dla Stowarzyszenia, całkowite jego pominięcie co do wyrażenia stanowiska w zakresie objęcia refundacją wskazanego wyżej produktu leczniczego. Jako Stowarzyszenie, jesteśmy organizacją pozarządową, która funkcjonuje w określonej formie prawnej, podlegającej rejestracji. Stowarzyszenie działa w sposób w pełni transparentny i przejrzysty. **Stowarzyszenie nie ma żadnego interesu prawnego ani natury finansowej, aby wskazywać na wartość dodaną objęcia refundacją wskazanego wyżej produktu leczniczego. Podobnie, pomiędzy Stowarzyszeniem a producentem tego produktu leczniczego nie istnieją jakiegokolwiek powiązania osobowe bądź kapitałowe, które mogłyby wskazywać na konflikt interesów.**

Dlatego też zasadne jest uwzględnienie głosu i opinii Stowarzyszenia w ramach ostatecznej decyzji, która leży oczywiście w gestii Ministerstwa Zdrowia – co niniejszym pragniemy uczynić.

Walor prawny rekomendacji i przesłanki do objęcia refundacją

Zgodnie z art. 35 ustawy o refundacji, Agencja wydaje rekomendację dla ministra właściwego do spraw zdrowia co do objęcia bądź też nieobjęcia rekomendacją, określonego produktu leczniczego.

Jak wskazuje literalna treść tego przepisu, Agencja wydaje rekomendację. Oznacza to, że Agencja legitymuje się jedynie głosem doradczym i opiniodawczym – lecz w żadnym wypadku nie jest to głos rozstrzygający ani decydujący. Nie jest to tylko różnica semantyczna – w istocie, rekomendacja pełni w obrocie prawnym inną funkcję niż decyzja. Gdyby ustawodawca chciał przyznać Agencji prawo do wydawania wiążących rozstrzygnięć, z pewnością by to wprost w przepisach ustawy o refundacji wskazał.

Co więcej, zgodnie z art. 12 ustawy o refundacji, decyzja o objęciu produktu leczniczego rekomendacją jest wyłączną kompetencją ministra właściwego do spraw zdrowia. Decyzja ta nosi walor decyzji administracyjnej i musi uwzględniać następujące kryteria:

- 1) stanowisko Komisji Ekonomicznej;
- 2) rekomendację Agencji;
- 3) istotność stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją;
- 4) skuteczność kliniczną i praktyczną;
- 5) bezpieczeństwo stosowania;
- 6) relację korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania;
- 7) stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków w porównaniu z wnioskowanym;
- 8) konkurencyjność cenową;
- 9) wpływ na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców;
- 10) istnienie alternatywnej technologii medycznej oraz jej efektywność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania;
- 11) wiarygodność i precyzja oszacowań wcześniej wspomnianych kryteriów;
- 12) mapę potrzeb zdrowotnych;
- 13) wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia;
- 14) zobowiązanie do zapewnienia ciągłości dostaw.

Powyższe potwierdza, że rekomendacja Agencji jest tylko jednym z wielu kryteriów, które należy brać pod uwagę przy wydawaniu decyzji administracyjnej co do refundacji produktu leczniczego. Nie powinna być jedyna i wyłączna podstawa negatywnej decyzji ze strony Ministerstwa Zdrowia.

Skuteczność kliniczna oraz bezpieczeństwo stosowania

W swojej rekomendacji, Agencja oparła się tylko na wybiórczych wynikach badania ADVOCATE fazy III i na ich podstawie, sformułowała jednoznaczne wnioski co do niewielkiego statystycznie efektu klinicznego oraz niejednoznaczności w poprawie jakości życia pacjentów.

 <https://m.facebook.com/vasculitis.polska/>

Dołącz do nas!

Wojskowy Instytut Medyczny w Warszawie
Klinika Chorób Wewnętrznych
Nefrologii i Dializoterapii
ul. Szaserów 128, 04-141 Warszawa



788 744 631



vasculitispoland@gmail.com



www.vasculitis.org.pl



Opieranie swojej rekomendacji tylko i wyłącznie na wybranym wycinku badania jest wysoce nieuzasadnione oraz szkodliwe. Rekomendowanie podjęcia tak daleko idącej w skutkach decyzji zawsze powinno opierać się na szerokim spojrzeniu na daną tematykę, biorąc pod uwagę całokształt badań oraz ich wyników. Pozwalałoby to na zachowanie przez rekomendację Agencji, waloru bezstronności oraz obiektywizmu.

Stowarzyszenie pragnie podzielić się z Ministerstwem Zdrowia dostępnymi wynikami badań oraz rekomendacjami międzynarodowych towarzystw skupiających ekspertów z zakresu diagnostyki i terapii układowych zapaleń naczyń związanych z obecnością przeciwciała ANCA, oraz opiniami samych pacjentów, u których zastosowano leczenie wskazanym wyżej produktem leczniczym.

Wyniki tych badań wskazują jednoznacznie na **wyraźnie pozytywne efekty stosowania leku Tavneos (awakopan) w stosunku do dotychczas stosowanych produktów leczniczych.**

Aktualne rekomendacje EULAR (European Alliance of Associations for Rheumatology, dawniej European League Against Rheumatism) opublikowane w 2024 zalecają awakopan w leczeniu indukcyjnym oraz podtrzymującym. Dzięki zastosowaniu tego leku można ograniczyć stosowanie glikokortykostroidów (GKS) do ich całkowitego odstawienia w 21. tygodniu leczenia, bez ryzyka nawrotu choroby. Dzięki temu można zmniejszyć kumulacyjną dawkę przyjętych GKS oraz uniknąć ich toksyczności.

Toksyczne efekty mierzone za pomocą Glucocorticoid Toxicity Index były znacząco mniejsze w grupie przyjmującej awakopan w porównaniu z grupą przyjmującą jedynie GKS w 26. tygodniu terapii.

Efekty toksyczności GKS generują pojawienie się szeregu działań niepożądanych oraz kolejnych schorzeń współistniejących takich jak:

- cukrzyca;
- nadciśnienie tętnicze;
- zaburzenia lipidowe;
- otyłość;
- osteoporoza;
- jaskra;
- zaćma i inne.

Leczenie tych schorzeń jest również kosztowne, co nie zostało uwzględnione w analizie.

Ponadto w badaniu ADVOCATE wykazano, iż u osób z zajęciem nerek przyjmujących awakopan **czynność nerek wyrażona poprzez GFR uległa istotnie większej poprawie niż u osób otrzymujących jedynie GKS¹.** Efekt ten jest niezmiernie istotny, gdyż istotna poprawa w zakresie GFR pozwala uniknąć leczenia dializami, które są również kosztowne.

Ponadto **skuteczność awakopanu w 52. tygodniu terapii mierzona ilością nawrotów była istotnie większa niż GKS (p=0.007)².**

Efekt ten również przekłada się na kwestie finansowe, gdyż diagnostyka i leczenie nawrotu choroby są bardziej kosztowne niż terapia podtrzymująca.

Nie mniej istotny jest korzystny wpływ stosowania awakopanu na jakość życia, który został wykazany w analizie *post-hoc* badania ADVOCATE³. Zgodnie z przytoczonymi rekomendacjami oraz wynikami badań, **w większości krajów europejskich lek ten jest refundowany.**

¹ Hellmich B, Sanchez-Alamo B, Schirmer JH, et al. EULAR recommendations for the management of ANCA-associated vasculitis: 2022 update. *Ann Rheum Dis.* 2024;83(1):30-47. Published 2024 Jan 2. doi:10.1136/ard-2022-223764

² Jayne DRW, Merkel PA, Schall TJ, Bekker P; ADVOCATE Study Group. Avacopan for the Treatment of ANCA-Associated Vasculitis [published correction appears in *N Engl J Med.* 2024 Jan 25;390(4):388. doi: 10.1056/NEJMx230010.]. *N Engl J Med.* 2021;384(7):599-609. doi:10.1056/NEJMoa2023386

³ Strand V, Jayne DRW, Horomanski A, et al. The impact of treatment with avacopan on health-related quality of life in antineutrophil cytoplasmic antibody-associated vasculitis: a post-hoc analysis of data from the ADVOCATE trial. *Lancet Rheumatol.* 2023;5(8):e451-e460. doi:10.1016/S2665-9913(23)00092-9

Trudno więc zgodzić się z opinią, iż jego stosowanie nie przynosi dodatkowych korzyści w porównaniu do GKS.

Podsumowanie

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty oraz przedstawione wyniki badań, w imieniu Stowarzyszenia zwracam się do Pani Minister, o wzięcie pod uwagę głosu środowiska pacjentów oraz specjalistów z zakresu leczenia chorób układowego zapalenia naczyń, przed wydaniem decyzji co do objęcia refundacją produktu leczniczego Tavneos (awakopan) w programie lekowym B.75 „*Leczenie chorych na aktywną postać ziarniniakowatości z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowe zapalenie naczyń (MPA) (ICD-10: M31.3, M31.8)*”.

Jeżeli uwzględnienie stanowiska Stowarzyszenia wymaga jego przedstawienia w sposób bardziej sformalizowany, to jest z użyciem formularza zgłaszania uwag do analizy weryfikacyjnej Agencji i analiz wnioskodawcy – Stowarzyszenie niezwłocznie dostarczy swoją opinię w takiej właśnie formie.

Na sam koniec warto jest wspomnieć o głosie głównych zainteresowanych refundowaniem tego produktu leczniczego, czyli pacjentów. W załączeniu do niniejszego pisma przekazuję załącznik, zawierający **przykładowe opinie leczonych**, z którymi pozostajemy w stałym kontakcie, a którzy zaczęli stosować awakopan w swojej terapii. Wszyscy oni **potwierdzają bardzo wysoką skuteczność tego produktu leczniczego, poprawienie jakości funkcjonowania codziennego życia**, a także ulgę związaną z odstawieniem leków sterydowych.

Wielu z tych pacjentów, z powodu braku refundacji oraz wystarczających środków finansowych, jest zmuszonych szukać pomocy na własną rękę. W tym celu organizują oni zbiórki publiczne, które pozwolą im na rozpoczęcie bądź kontynuowanie terapii. Takie przykładowe inicjatywy również znajdują się w przekazanym załączniku.

Mam szczerą nadzieję, że nasze stanowisko, a przede wszystkim głos samych pacjentów, skłonią Panią Minister do wydania pozytywnej decyzji w zakresie refundacji.

Z poważaniem,

Izabela Skrzypiec
PREZES
Stowarzyszenia
„Vasculitis”

 <https://m.facebook.com/vasculitis.polska/>

Dołącz do nas!

Wojskowy Instytut Medyczny w Warszawie
Klinika Chorób Wewnętrznych
Nefrologii i Dializoterapii
ul. Szaserów 128, 04-141 Warszawa

 788 744 631

 vasculitispoland@gmail.com

 www.vasculitis.org.pl