



Warszawa, 10 czerwca 2019 r.

Stanowisko dotyczące procesu refundacyjnego produktu Fabrazyme (agalzydaza beta) w leczeniu choroby Fabry'ego.

Firma Sanofi-Aventis sp. z o.o., mając w szczególnej uwadze pacjentów z chorobami rzadkimi i odpowiadając na zapytania środowiska pacjenckiego oraz profesjonalistów branży medycznej, przekazuje stanowisko dotyczące trwającego procesu refundacyjnego produktu Fabrazyme (agalzydaza beta) w leczeniu choroby Fabry'ego.

Choroba Fabry'ego to wrodzona wada genetyczna, którą powoduje niedobór enzymu o nazwie alfa-galaktozydaza A. Brak tego enzymu powoduje gromadzenie się w komórkach, głównie naczyń krwionośnych, dużych ilości substancji nazywanych sfingolipidami, co prowadzi do uszkodzenia naczyń krwionośnych i zaburzeń wielu narządów, zwłaszcza mózgu, nerek i serca. Choroba Fabry'ego jest jedną z niewielu chorób rzadkich, którą można leczyć poprzez dostarczenie do organizmu chorego brakującego enzymu. Firma Sanofi od lata wspiera pacjentów z chorobami rzadkimi, w tym chorujących na chorobę Fabry'ego, poprzez nieustające prace badawczo – rozwojowe nad innowacyjnymi i skutecznymi terapiami, które ratują życie. Dzięki tej pracy, prawie dwie dekady temu, firma zarejestrowała enzymatyczną terapię zastępczą w leczeniu choroby Fabry'ego. Firma dodatkowo od wielu lat wspiera pacjentów dostarczając lek bezpłatnie chorym na chorobę Fabry'ego w ramach programu charytatywnego. Obecnie leczenie tej choroby enzymatyczną terapią zastępczą jest refundowane we wszystkich krajach Unii Europejskiej, oprócz Polski.

Firma Sanofi, wychodząc naprzeciw oczekiwaniom środowiska pacjentów chorych na chorobę Fabry'ego i lekarzy w Polsce, od wielu lat stara się zapewnić dostęp do terapii, w ramach rozwiązania systemowego, jakim jest objęcie pacjentów programem lekowym. Wcześniejsze postępowania kończyły się niepowodzeniami, natomiast w grudniu 2018 r. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji wydała pozytywną rekomendację w zakresie refundacji leku Fabrazyme.

Mając na względzie ograniczenia budżetowe polskiego płatnika Genzyme Europe b.v. - spółka z grupy Sanofi i podmiot odpowiedzialny czyli podmiot, na którego rzecz zarejestrowany jest produkt leczniczy Fabrazyme - złożyła Ministerstwu Zdrowia ofertę, w ramach której przy osiągnięciu oszczędności z aktualnych wydatków na leczenie pacjentów z inną chorobą rzadką - chorobą Gauchera możliwe jest utworzenie nowego programu lekowego dedykowanego leczeniu choroby Fabry'ego. Co więcej, dzięki tej ofercie możliwa do wygenerowania przestrzeń finansowa pozwoliłaby na rozszerzenie możliwości terapeutycznych w chorobie Gauchera o terapię doustną. Dodatkowo, zaproponowany Ministerstwu Zdrowia mechanizm dzielenia ryzyka pozwoli ograniczyć maksymalne wydatki płatnika na trzy terapie (lekiem Fabrazyme w chorobie Fabry'ego oraz lekami Cerezyme i Cerdelga w chorobie Gauchera) do poziomu obecnie ponoszonych wydatków wyłącznie na lek Cerezyme. Z przykrością informujemy, że w chwili obecnej Komisja Ekonomiczna przy Ministrze Zdrowia nie jest zainteresowana przedstawioną ofertą, a tym samym udostępnieniem leczenia polskim pacjentom z chorobą Fabry'ego i poszerzeniem możliwości terapeutycznych w chorobie Gauchera.

Z uwagi na fakt iż, program lekowy w leczeniu choroby Gauchera, powinien być przedłużony od 1 lipca br., firma podejmuje usilne starania, aby spotkać się z Komisją Ekonomiczną i Ministrem Zdrowia w celu sfinalizowania przedłożonej oferty, która jest odpowiedzią na potrzeby pacjentów i środowiska medycznego.

Głęboko wierzymy, że pacjenci w Polsce z chorobą Fabry'ego będą mieć dostęp do leczenia w ramach programu lekowego od 1 lipca 2019 roku.

Sanofi Polska