

Warszawa, 18 czerwca 2019

## **Pacjenci z chorobą Fabry'ego pozostawieni bez pomocy Państwa pomimo licznych apeli całego środowiska i korzystnej oferty ze strony producenta**

Z przykrością informujemy, że pomimo złożenia oferty, dzięki której Ministerstwo Zdrowia zabezpieczyłoby potrzeby pacjentów z chorobą Fabry'ego bez poniesienia jakichkolwiek dodatkowych kosztów, nasza propozycja została odrzucona. W dniu 17 czerwca br. Komisja Ekonomiczna, skierowała nas na ponowne, szóste już negocjacje dla produktu Fabrazyme®. Wczorajsze spotkanie było piątym, podczas którego, tak jak na każdym dotychczasowym spotkaniu, staraliśmy się sprostać oczekiwaniom Komisji Ekonomicznej i przedłożyliśmy ofertę portfelową, która zapewnia pacjentom dostęp do leczenia i zabezpiecza budżet płatnika publicznego.

**W ramach tej oferty zaproponowaliśmy obniżenie ceny terapii w chorobie Gauchera tak, aby wygenerować środki finansowe umożliwiające otwarcie nowego programu w chorobie Fabry'ego oczekiwanego od ponad 18 lat. Kolejny raz nasza pogłębiona oferta nie spotkała się z zainteresowaniem ze strony Komisji Ekonomicznej.** Komisja wybiórczo potraktowała ofertę portfelową skupiając się wyłącznie na obniżeniu kosztów terapii, bez zapewnienia w ramach oszczędności dostępu pacjentów do nowych, długo oczekiwanych leków w chorobach rzadkich (Fabrazyme® i Cerdelga®) zawartych w ofercie łączonej.

Niezrozumiałym jest takie stanowisko ponieważ:

- oferta jest korzystna zarówno dla pacjentów z chorobą Gauchera (dodanie tańszej terapii doustnej w postaci preparatu Cerdelga®), jak i dla pacjentów w chorobie Fabry'ego (utworzenie nowego programu),
- obniżenie kosztu terapii Cerezyme® w chorobie Gauchera uwalnia istotne środki finansowe, które pozwalają na pokrycie całości kosztów leczenia preparatem Fabrazyme® w chorobie Fabry'ego,
- oferta jest neutralna kosztowo i bezpieczna dla NFZ, bowiem zawiera mechanizm podziału ryzyka, który gwarantuje utrzymanie łącznych wydatków na wszystkie trzy leki na poziomie dotychczas ponoszonym na refundację tylko jednego,

- jako wnioskodawca w ramach własnego portfela leków w chorobach rzadkich wygenerowaliśmy oszczędności by umożliwić sfinansowanie dwóch nowych leków w chorobach rzadkich.
- zapraszanie Spółki na kolejne spotkanie negocjacyjne, na którym zostanie zaproponowana ta sama oferta, co na poprzednich pięciu spotkaniach jest działaniem, które nie prowadzi do zapewnienie dostępu do nowych terapii, a jedynie odracza w czasie moment podjęcia pozytywnej decyzji.

Komisja, jako ciało doradcze przy Ministrze Zdrowia, ma obowiązek dbać o budżet płatnika publicznego, jednak oferowanie producentom leków cen na poziomie 80% poniżej najniższych cen europejskich wydaje się być nie taktyką negocjacyjną, a **działaniem pokazującym na niezrozumienie potrzeb pacjentów.**

**Żądanie takiego poziomu cen jest nie tylko niemożliwe do spełnienia przez producenta, ale również nieracjonalne przy zaproponowanym mechanizmie dzielenia ryzyka z postaci maksymalnego progu wydatków, powyżej którego producent pokryje wszystkie koszty związane z przekroczeniem budżetu.**

Firma Genzyme Europe B.V. będąca podmiotem odpowiedzialnym w sprawie o objęcie refundacją produktów Fabrazyme® **od kilkunastu lat charytatywnie dostarcza lek dla części pacjentów ratując w ten sposób ich zdrowie i życie oraz zastępując w tym zakresie obowiązki państwa polskiego.** Trudno nam jest się zgodzić z przedstawianym wielokrotnie stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, że **państwo polskie nie powinno wziąć odpowiedzialności za los pacjentów z chorobą Fabry'ego.**

**Panie Ministrze** zwracamy się do Pana z prośbą zakończenie procesu negocjacji z komisją oraz wydanie pozytywnej decyzji w tej sprawie z dniem 1 lipca br. Liczymy na to, że dla Pana Ministra los pacjentów z chorobą Fabry'ego nie pozostanie obojętny.

Sanofi Polska