



Polskie Towarzystwo Mukowiscydozy

Siedziba Towarzystwa:

Dziekanów Leśny
ul. M. Konopnickiej 65
05-092 Łomianki

e-mail:

ptm@imid.med.pl

Zarząd Towarzystwa:

Prezes

Prof. dr hab. med.
Dorota Sands

Z-ca Prezesa

Dr n. med. Andrzej
Pogorzelski

Sekretarz

Dr n. med. Ewa
Sapiejka

Skarbnik

Dr n. med. Katarzyna
Walicka - Serzysko

Członkowie

Dr n. med. Radosława
Staszak - Kowalska
Dr n. med. Grzegorz
Gąszczyk
Lek. med. Wojciech
Skorupa
Dr n. med. Paweł
Gonerko
Lek. med. Łukasz
Woźniacki

Dziekanów Leśny, dn. 12.11.2024 r.

STANOWISKO POLSKIEGO TOWARZYSTWA MUKOWISCYDOZY W SPRAWIE REFUNDACJI PRODUKTU LECZNICZEGO KAFTRIO (IWAKAFTOR + TEZAKAFTOR + ELEKSAKFTOR) I KALYDECO (IWAKAFTOR)

W odniesieniu do rekomendacji nr 120/2024 z dnia 4 listopada 2024 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie oceny leku Kalydeco (iwakaftor) stosowanego w skojarzeniu z Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + eleksakaftor, ETI) w ramach programu lekowego B.112 „Leczenie chorych na mukowiscydozę (ICD-10: E84)”, Polskie Towarzystwo Mukowiscydozy (PTM) wyraża zadowolenie i aprobatę wobec pozytywnej opinii dotyczącej rozszerzenia przedmiotowego programu lekowego.

Jednocześnie Towarzystwo wskazuje na niezrozumiałe i niezgodne z wiedzą medyczną ograniczenie w zakresie mutacji w genie *CFTR* do pacjentów z genotypem *F508del/F508del*, *F508del/minimal function*, *F508del/residual function* oraz *F508del/gating mutation*.

Obecnie od października 2023 ETI jest zarejestrowany na terenie UE u dzieci od 2 roku życia i dorosłych z przynajmniej jedną mutacją *F508del* (druga mutacja nie ma znaczenia w kwalifikacji do leczenia, oznaczenie *F508del/any*). Jednocześnie dane naukowego wskazują, że lek jest wysoce skuteczny zarówno u homozygot jak i heterozygot *F508del*, niezależnie od mutacji na drugim allelu genu *CFTR*.

Zaproponowane przez Prezesa AOTMIT ograniczenia wprowadzają zamieszanie i niepewność, bowiem nie ma naukowej definicji mutacji typu *minimal function*, *residual function* i *gating mutation*, a użyty podział jest uznaniową propozycją podmiotu odpowiedzialnego. Wobec niemożności obiektywnej weryfikacji typu mutacji, świadczeniodawca nie będzie mógł zweryfikować spełnienia kryteriów włączenia pacjenta do programu lekowego B.112.

PTM stoi na stanowisku, że zaproponowana rekomendacja z ww. ograniczeniem jest nieuzasadniona, a rozszerzenie refundacji ETI w ramach programu lekowego powinno nastąpić zgodnie z rejestracją terapii lekowej (od 2. roku życia u wszystkich chorych z genotypem *F508del / F508del* i *F508del/any*).