



STOWARZYSZENIE KOLEGIUM LEKARZY RODZINNYCH W POLSCE

Kraków, 11.09.2019 r.

**Szanowny Pan
Łukasz Szumowski
Minister Zdrowia
ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa**

Szanowny Panie Ministrze,

W nawiązaniu do inicjatywy podjętej przez Polskie Towarzystwo Lipidologiczne oraz w uzgodnieniu z Prezesem Towarzystwa, Prof. dr hab. med. Maciejem Banachem, chciałbym poprzeć zmiany dotyczące programu lekowego przeznaczonego dla chorych z hipercholesterolemią rodzinną oraz podkreślić postulaty zgłoszone także przez inne stowarzyszenia naukowe.

Pomimo wielkiego postępu w zakresie możliwości prowadzenia skutecznej terapii pacjentów z hipercholesterolemią rodzinną (ang. familial hypercholesterolemia, FH), jakim było objęcie refundacją pierwszego inhibitora PCSK9 w listopadzie 2018 r. – za co bardzo dziękujemy Panu Ministrowi, chcieliśmy zwrócić uwagę Pana Ministra na pilne potrzeby tej szczególnej grupy chorych.

Program lekowy: „Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej (ICD-10 E78.01)” w obecnym kształcie zapewnia dostęp do jednego z dwóch zarejestrowanych inhibitorów PCSK9 – alirokumabu. Drugi dostępny lek należący do tej samej klasy – ewolokumab – charakteryzuje się analogiczną skutecznością terapeutyczną i profilem bezpieczeństwa (=efekt klasy) co obecnie wskazany alirokumab.

Zgodnie z obowiązującymi kryteriami kwalifikacji, refundowany inhibitor może dziś zostać zastosowany u pacjentów z FH, którzy w skali Dutch Lipid Clinic Network (DLCN) osiągają więcej niż 8 pkt (=pewne rozpoznanie FH), oraz u których stężenie cholesterolu LDL przekracza 160 mg/dl pomimo diety oraz leczenia maksymalnymi dawkami statyn co najmniej przez sześć miesięcy, w tym przez jeden miesiąc w skojarzeniu z ezetymibem. Szacowaliśmy, zakładając skuteczne rozpoznanie FH w Polsce (nawet 140 tys. chorych), że przy uwzględnieniu powyższych kryteriów do przedmiotowego programu powinno kwalifikować się od 3 do 4 tys. chorych. Niestety, na podstawie naszego dotychczasowego doświadczenia z włączaniem pacjentów do przedmiotowego programu lekowego, widzimy, iż przy obecnie obowiązujących kryteriach jesteśmy w stanie zakwalifikować do programu jedynie 3-4 proc. pacjentów. Oznacza to, że maksymalnie do programu lekowego zostanie

włączonych nie więcej niż 160 chorych. Widzimy, iż na skutek optymalizacji terapii hipolipemizującej z zastosowaniem statyn i ezetymibu część pacjentów z FH osiąga poziomy cholesterolu LDL poniżej ustalonego progu, mieszczące się w zakresie od 70-160 mg/dl. Oznacza to, że nie mogą oni zostać włączeni do przedmiotowego programu, pomimo tego, że nadal pozostają pacjentami bardzo wysokiego ryzyka wystąpienia kolejnych zdarzeń sercowo-naczyniowych, gdyż proces miażdżycy dalej u nich postępuje (co ma przede wszystkim miejsce u pacjentów ze stężeniem LDL-C ponad 100 mg/dl). Dlatego też, dbając o zapewnienie realnego dostępu do jedynej dostępnej terapii, umożliwiającej osiągnięcie celu terapeutycznego przez pacjentów z FH, wskazujemy, iż merytorycznie oraz etycznie uzasadnione byłoby wprowadzenie następujących zmian w obowiązującym programie lekowym:

- Obniżenie wskazanego w programie granicznego poziomu LDL-C do wartości 130 mg/dl lub niżej, co będzie niejako kompromisem pomiędzy obecnym progami, a rekomendacjami Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego, jak i ekspertów Polskiego Towarzystwa Lipidologicznego, Kolegium Lekarzy Rodzinnych w Polsce oraz Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego, które wskazują, że stosowanie inhibitorów PCSK9 należy rozważyć u chorych z poziomem LDL-C powyżej 100 mg/dl (u osób z grupy dużego ryzyka) lub nawet powyżej 70 mg/dl w grupie pacjentów bardzo wysokiego ryzyka, do którego należą pacjenci z FH, pomimo stosowania u nich skojarzonego leczenia farmakologicznego przy pomocy statyny i ezetymibu. Jest to także wartość znajdująca odzwierciedlenie w dostępnych badaniach epidemiologicznych, jako ta, powyżej której istotnie wzrasta ryzyko sercowo-naczyniowe u pacjentów z zaburzeniami lipidowymi.

- Skrócenie wskazanego w programie czasu trwania optymalizacji terapii statynami i ezetymibem z 6 do 3 miesięcy (w schemacie 2 + 1) oraz jednoznacznego wskazania w programie możliwości włączania pacjentów z całkowitą nietolerancją statyn. Biorąc pod uwagę, że pacjent z FH przy braku skutecznej terapii pozostaje w bardzo wysokim ryzyku sercowo-naczyniowym, a ocena skuteczności statyn jest możliwa już po 8-12 tygodniach i ezetymibu po miesiącu stosowania, nieetycznym jest utrzymywanie tych chorych przez aż 6 miesięcy na niewystarczająco skutecznej terapii, bez możliwości zainicjowania leczenia inhibitorem PCSK9. Również pacjenci zgłaszający całkowitą nietolerancję statyn powinni móc zostać jak najszybciej włączeni do programu lekowego, gdyż jedynie zastosowanie inhibitorów PCSK9 pozwoli u nich na istotne obniżenie poziomu LDL-C, a tym samym umożliwi u dużej części z nich osiągnięcie celu terapeutycznego. Wyniki badań wskazują na redukcję poziomu LDL-C o ok. 55% w tej grupie chorych .

- Dołączenie do refundacji w ramach przedmiotowego programu lekowego drugiego z dostępnych inhibitorów PCSK9 – ewolokumabu. Mając na uwadze wszystkie obowiązujące wytyczne i dostępne dowody naukowe wskazujące na efekt klasy, a więc na taką samą skuteczność i profil bezpieczeństwa obu leków, zasadnym jest włączenie do programu lekowego drugiego inhibitora PCSK9. Pozwoli to na pełne zabezpieczenie naszych pacjentów w zakresie dostępności do refundowanej terapii oraz na prowadzenie tak samo skutecznej terapii tańszym lekiem, co przełoży się na możliwość leczenia większej liczby pacjentów w ramach przeznaczanej przez NFZ kwoty na realizację przedmiotowego

programu lekowego.

Mając na uwadze bardzo pozytywną rekomendację Prezesa AOTMiT z dnia 7 maja 2019 r., w której rekomendował on bezwarunkowo objęcie refundacją ewelokumabu w ramach programu lekowego: „Leczenie hipercholesterolemii rodzinnej (ICD-10 E78.01)” jesteśmy bardzo zaniepokojeni przedłużającym się procesem negocjacji, a tym samym brakiem tego produktu w refundacji. Liczyliśmy, iż może zostać on dołączony do refundacji już od lipca br. Biorąc powyższe pod uwagę oczekivalibyśmy pojawienia się go na liście leków refundowanych obowiązującej od 1 września br., co jest szczególnie istotne w kontekście wskazanej powyżej możliwości uzyskania większej dostępności do skutecznej terapii inhibitorami PCSK9 przy jednoczesnych oszczędnościach wynikających z deklarowanych przez producenta lepszych warunkach refundacji.

Mając na względzie powyższe oraz możliwość zoptymalizowania wydatkowania środków publicznych w przedmiotowym programie lekowym w sposób adresujący rzeczywiste potrzeby polskich pacjentów z FH liczymy, iż Pan Minister przychyli się do naszych postulatów i zdecyduje się zrewidować obecnie obowiązujący program lekowy, zarówno w kontekście dopuszczenia drugiego inhibitora PCSK9 do refundacji od 1 września br., a także koniecznych i oczekiwanych modyfikacji jego zapisów, tak aby zapewnić skuteczny dostęp do tej innowacyjnej terapii dla tej niewielkiej grupy pacjentów najwyższego ryzyka sercowo-naczyniowego, pozostających obecnie bez możliwości otrzymania refundowanego leczenia.

Z poważaniem,



Dr hab. med. Tomasz Tomasik
Prezes KLRwP

Kopia:

Prof. dr hab. med. Maciej Banach – Prezes Polskiego Towarzystwa Lipidologicznego