



Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych

Dyrektor Generalny

BDG-DGO.053.4.2024

Warszawa, 17-05-2024

Szanowny Panie,

w odpowiedzi na petycję skierowaną do Ministerstwa Zdrowia w dniu 17 kwietnia 2024 r., przekazaną do weryfikacji i dalszego procedowania do Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, zwanego dalej „Urzędem”, w dniu 24 kwietnia 2024 r. w sprawie zatwierdzenia i finansowania badań klinicznych nad lekiem Ravicti (fenylomaślan glicerolu, 4-PB) dla pacjentów z mutacjami SYNGAP1, STXBP1, SLC6A1, TBC1D24, GABA i DNM1, uprzejmie informuję co następuje.

Zgodnie z art. 2 ust. 1 pkt 4 ustawy z dnia 18 marca 2011 r. o Urzędzie Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych Prezes Urzędu jest organem właściwym w sprawach związanych z badaniami klinicznymi produktów leczniczych.

Zgodnie z przepisami zgodę na prowadzenie badania klinicznego wydaje się na wniosek sponsora. Tym samym, Prezes Urzędu proceduje postępowania w zakresie wydania zgody na prowadzenie badania klinicznego, zgodnie z wymaganiami i w terminach narzuconych przez przepisy szczegółowe tj. Rozporządzenie parlamentu europejskiego i rady (UE) NR 536/2014 z dnia 16 kwietnia 2014 r. w sprawie badań klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi oraz uchylecia dyrektywy 2001/20/WE oraz ustawę z dnia 9 marca 2023 r. o badaniach klinicznych produktów leczniczych stosowanych u ludzi (Dz.U. poz. 605).

Ww. procedura każdorazowo rozpoczyna się złożeniem przez sponsora wniosku o pozwolenie na badanie kliniczne. Zarówno wniosek, jak i dołączona do niego dokumentacja, powinny spełniać wymagania określone w przepisach ww. aktów prawnych.

Stwierdzić należy, że w odniesieniu do badania klinicznego nad produktem leczniczym Ravicti (fenylomaślan glicerolu, 4-PB) wniosek, o którym mowa powyżej nie został złożony. W przypadku jego złożenia zostanie on oceniony na podstawie ww. przepisów i w trybie przewidzianym dla postępowania prowadzonego w sprawie wydania pozwolenia na badanie kliniczne. Wskazane regulacje uniemożliwiają Prezesowi Urzędu działanie z urzędu w ww. sprawie, tj. bez stosownego wniosku sponsora.

Pragniemy również poinformować, że kwestie dotyczące zapewnienia refundacji produktu leczniczego Ravicti należą do kompetencji Ministra Zdrowia, przy czym wskazać należy, że kwestie potencjalnej refundacji mogą być rozważane wyłącznie w przypadku produktów zarejestrowanych, dopuszczonych do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej zgodnie z wymaganiami ujętymi w art. 10 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826 z późn. zm.). Tym samym, na dzień dzisiejszy nie ma możliwości podjęcia rozważań nad objęciem refundacją i ustaleniem ceny zbytu netto leku Ravicti we wskazaniu, którego dotyczy przedmiotowa petycja.

Chcieliśmy podkreślić, że Prezes Urzędu rozumie problem opisany w petycji oraz pragnie zapewnić, że dołoży wszelkich starań, w zakresie kompetencji własnych, aby proces wydania zgody na złożone przez sponsora badania kliniczne przebiegał jak najsprawniej.

Jednocześnie chcieliśmy nadmienić, że rolę wiodącą w zakresie wsparcia opisanych w petycji badań mogą mieć instytucje o charakterze wspierającym rozwój nauki w Polsce takie jak Narodowe Centrum Badań i Rozwoju lub Agencja Badań Medycznych.

Z poważaniem

Magdalena Wojciechowicz

Dyrektor Generalny

/dokument podpisany elektronicznie/