



FUNDACJA  
MUKOBOHATEROWIE

Gdańsk, dnia 20 grudnia 2023 r.

Fundacja Mukobohaterowie  
ul. Mariana Seredyńskiego 18/3  
80-753 Gdańsk  
e-mail: [fundacja@mukobohaterowie.org](mailto:fundacja@mukobohaterowie.org)

Sz. P. Izabela Leszczyna  
Minister Zdrowia  
ul. Miodowa 15  
00-952 Warszawa

## Gratulacje i deklaracja chęci współpracy i wsparcia

Szanowna Pani Minister,

przekazujemy szczerze gratulacje z racji powołania Panią na urząd Ministra Zdrowia. Reprezentujemy organizację, która zajmuje się wsparciem osób chorych na mukowiscydozę, czyli najczęstszą z rzadkich chorób (około 2000 polskich pacjentów).

W związku ze sprawowaniem przez Panią urzędu, wiążemy nadzieję na kontynuację zmian, które przyczyniają się do poprawy sytuacji pacjentów chorujących na rzadkie schorzenia. Wiemy, że Pani Minister ma bogate doświadczenie związane z zarządzaniem finansami i nie stroniła w swojej dotychczasowej pracy Posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej od kwestii zdrowotnych m.in. podejmując interpelacje w sprawie Funduszu Medycznego, utworzenia stanowiska konsultanta krajowego w dziedzinie chorób rzadkich, czy dostępności konkretnych świadczeń zdrowotnych.

Życzymy Pani Minister, aby stała się pierwszym decydem, który doprowadzi do **zmian oczekiwanych od lat** przez społeczność przewlekle chorych, jak np. **poprawy dostępu do**

**antybiotykoterapii dożylniej w warunkach domowych.** Kryzys w pielęgniarstwie, będący jedną z najtrudniejszych sytuacji do rozwiązania w obecnym systemie ochrony zdrowia, z pewnością sprzyja szukaniu rozwiązań, które odciążą personel medyczny. Decyzje pozwalające na wykonywanie zabiegu przez osobę przeszkoloną np. opiekuna pacjenta, są światowym standardem leczenia chorych na mukowiscydozę. Według oszacowań generują oszczędności, które pozwoliłyby na przeznaczenie tych środków publicznych na inne wydatki. Podnosiliśmy ten temat w dyskusji z ówczesnym podsekretarzem stanu w Ministerstwie Zdrowia, Maciejem Miłkowskim.

Choroby rzadkie to także specyficzne rozwiązania dotyczące produktów leczniczych. W ocenie leków sierocych pomogłaby realizacja założeń Planu dla Chorób Rzadkich. Doceniamy działania przedstawicieli resortu zdrowia zmierzające do wdrożenia potrzebnych zmian w ramach Dużej Nowelizacji Ustawy Refundacyjnej. Martwi nas jednak to, że nie realizuje ona pierwotnie ustalonego harmonogramu dla wspomnianego planu. Cel określony jako „Przyjęcie definicji chorób rzadkich i definicji leków przeznaczonych do terapii im dedykowanych” miał być zrealizowany do 31 grudnia 2022 r. Także zadania nazwane „Analiza w kierunku wprowadzenia wielokryterialnej analizy decyzyjnej (MCDA) do formalnej oceny HTA leków w chorobach rzadkich”, „Określenie i wprowadzenie do ustawy o refundacji wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość dla leków zarejestrowanych do stosowania w chorobach rzadkich.” oraz „Opracowanie procedury rozszerzenia refundacji leku o dodatkowe pozarejestracyjne wskazanie »choroba rzadka«” miały być zrealizowane do 30 czerwca 2023 r., a określonym sposobem ich wykonania miała być nowelizacja ustawy o refundacji. Wyczekujemy ustalenia nowego harmonogramu Planu dla Chorób Rzadkich przez Radę Ministrów. Wierzymy, że ważne zmiany dla polskich pacjentów będą konsekwentnie realizowane.

Jako organizacja pacjenta ufamy, że mimo wyżej wymienionych braków, wszyscy chorzy na mukowiscydozę, którzy mogą odnieść korzyść zdrowotną, uzyskają refundację na bardzo drogie leki sieroce. Decyzja o ich refundacji od 1 marca 2022 roku dla części chorych to wielki sukces Polski. Minister Maciej Miłkowski, który był odpowiedzialny za politykę lekową, podczas ogłaszania przełomowych decyzji informował opinię publiczną o tym, jak trudne były negocjacje leków kosztujących komercyjnie nawet milion złotych rocznie (a trzeba je przyjmować do końca życia). Mimo pozytywnych doświadczeń z początku ubiegłego roku, z bardzo dużym zaniepokojeniem spoglądamy na możliwość refundacji terapii sierocymi produktami leczniczymi Kaftrio i Kalydeco dla nowych grup odbiorców. Komisja Europejska w kolejnych decyzjach (z 28 kwietnia 2021 roku, 11 stycznia 2022 roku oraz ostatnio także 23 listopada 2023 roku), po stwierdzeniu przez EMA bezpieczeństwa i

skuteczności terapii dla kolejnych chorych, zarejestrowała nowe wskazania. Wprowadzenie leczenia dla kolejnych polskich pacjentów wymaga rozpatrzenia nowego wniosku refundacyjnego. Ten został złożony przez firmę Vertex Pharmaceuticals (Poland) Sp. z o.o. 31 maja 2022 roku, ale po długotrwałych negocjacjach podmiot wycofał go. Chwilę po złożeniu wniosku o umorzenie postępowań przez firmę farmaceutyczną (żądanie podmiotu odpowiedzialnego uwzględnione w dniu 26 października 2023 roku) został ogłoszony Komunikat Ministra Zdrowia w sprawie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych z 10 listopada 2023 roku (znak pisma PLD.4731.5.2023.AK). Wspomniane leki znalazły się na liście leków wykluczonych z finansowania. **W naszej ocenie w tej sprawie doszło do nadinterpretacji art. 47f ust. 3 pkt. 3. Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz innych uchybień. To stanowi wielką krzywdę dla osób, dla których polski ustawodawca przewidział leczenie w ramach Funduszu Medycznego.** Pani Minister doskonale wie, że powstał on, aby ratować życie i zdrowie ciężko chorych pacjentów. Standardowa refundacja dotyczy około 1000 pacjentów. Z ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) w mukowiscydozie skorzystało dotychczas jedynie 12 pacjentów. Ten ekstraordynaryjny tryb leczenia był swego rodzaju „pomostem” do ratowania życia lub zdrowia pacjentów, do momentu aż standardowy dostęp do leczenia zostanie rozszerzony (co jak mamy nadzieję nastąpi za jakiś czas). Nie możemy pogodzić się z faktem władczego i w naszej ocenie niezgodnego z prawem działania resortu zdrowia w tym zakresie. Rzecznik Praw Obywatelskich prowadzi w tej sprawie postępowanie wyjaśniające o sygn. V.7013.115.2023.ETP. Liczymy na to, że nowy komunikat nie powieli sygnalizowanych błędów.

Z pewnością poświęcenie uwagi podnoszonym tematom pozwoliłyby na wsparcie tych, którzy są mniejszością wymagającą szczególnej troski rządzących. Liczymy, że Pani Minister będzie konsekwentnie realizować zalecenia Rzecznika Praw Obywatelskich dotyczące Problemów pacjentów z chorobami rzadkimi, przedstawione w lipcu ubiegłego roku. Deklarujemy gotowość współpracy naszej fundacji z Panią Minister w ramach konsultacji z organizacjami pacjenckimi.

Życzymy Pani Minister wszystkiego dobrego w służbie Rzeczypospolitej! Jednocześnie przekazujemy życzenia Błogosławionych Świąt Bożego Narodzenia, w przeddzień ważnych dla Polaków uroczystości.

Z wyrazami szacunku,

Wojciech Szymański

Prezes Fundacji Mukobohaterowie

Katarzyna Szymańska

Wiceprezes Fundacji Mukobohaterowie

/ podpisano elektronicznie /

/ podpisano elektronicznie /