



SENAT  
RZECZYPOSPOLITEJ  
POLSKIEJ

X kadencja

# Zapis stenograficzny

z posiedzenia  
Komisji Zdrowia (71.)

9 grudnia 2021 r.

Porządek obrad:

1. Opieka nad chorymi na choroby rzadkie wobec uchwalonego planu dla chorób rzadkich na przykładzie mukowiscydozy.

(Początek posiedzenia o godzinie 13 minut 03)

(Posiedzeniu przewodniczy przewodnicząca  
Beata Małecka-Libera)

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Rozpoczynamy kolejne już dzisiaj posiedzenie naszej komisji.

Bardzo serdecznie witam wszystkie osoby, które przybyły dzisiaj na nasze posiedzenie. Widzę, że zainteresowanie tematem jest duże. Kolejny raz witam pana ministra. Kolejny raz, bo pracujemy dzisiaj od rana. Witam panie i panów senatorów. Witam wszystkie osoby, które są z nami zdalnie – posiedzenie komisji odbywa się w trybie hybrydowym – jak również stronę społeczną.

Widzę, że jest duże zainteresowanie tematem. Myślę, że dyskusja będzie bardzo merytoryczna – i o to chodzi.

Szanowni Państwo, tematem dzisiejszego naszego posiedzenia jest opieka nad chorymi na choroby rzadkie wobec uchwalonego planu chorób rzadkich na przykładzie mukowiscydozy. Dokonałam takiego wyboru tematu – „na przykładzie mukowiscydozy” – ponieważ kwestią mukowiscydozy dosyć często miałam okazję się zajmować, będąc jeszcze w Sejmie. Wielokrotnie rozmawialiśmy na temat wyzwań, jakie stoją przed systemem, o tym, jak zorganizować leczenie dla tej grupy chorych, ale i dla wszystkich chorujących na tzw. choroby rzadkie. Tamte dyskusje w trakcie posiedzeń Sejmu, które pamiętam, ewidentnie pokazywały, że wiele w dziedzinie opieki nad chorymi na mukowiscydozę, szczególnie w przypadku dzieci, jest organizowane oddolnie. Brakowało kilku ważnych elementów, które by zamknęły całe to zagadnienie w pewną całość. Niewątpliwie taką nadzieją, według mnie, powinien być ten plan dla chorób rzadkich, który

powinien w sposób systemowy rozwiązywać problemy, które środowiska podnosiły. Sama jestem ciekawa, jak państwo ocenicie ten plan dla chorób rzadkich po tych kilku latach dyskusji, jakie prowadziliśmy na temat potrzeb pacjentów z chorobami rzadkimi. Jaki jest postęp, co się zmieniło i co jeszcze należy zmienić, gdzie są wyzwania? Po to jest to posiedzenie komisji, żeby zdobyć wiedzę, zasięgnąć u źródła, czyli u pana ministra, informacji, czy następuje postęp w leczeniu tychże nieprawdopodobnie trudnych, bardzo trudnych z tego względu, że to są choroby rzadkie, jak sama nazwa mówi... Niestety ci pacjenci gdzieś na brzegu systemu pozostają, a są dla nas równie ważni, bardzo ważni. Chcemy, żeby opieka dla tych osób była opieką zorganizowaną, systemową i żeby w miarę możliwości, w miarę postępu, pojawiania się różnych innowacyjnych leków, te osoby mogły być leczone zgodnie z najnowszymi trendami.

Tak więc otwieram posiedzenie komisji. Najpierw będzie wystąpienie pana ministra, tak aby pan minister nas wdrożył w to wszystko, co plan chorób rzadkich proponuje, opowiedział, jakie są rozwiązania, co państwo dotychczas zrobiliście w tym zakresie i jakie są według pana najpilniejsze potrzeby i wyzwania. Po czym mamy w planie 2 prezentacje... Dobrze mówię? Tak, 2 prezentacje. Jest z nami grupa osób, która pracuje z pacjentami z chorobami rzadkimi, głównie z mukowiscydozą. Podzielił się z nami swoimi doświadczeniami.

Proszę bardzo, Panie Ministrze. Oddaję panu głos.

**PODSEKRETARZ STANU  
W MINISTERSTWIE ZDROWIA  
MACIEJ MIŁKOWSKI**

Dziękuję, Szanowna Pani Przewodnicząca.

Tematem dzisiejszego spotkania jest leczenie pacjentów z chorobami rzadkimi na przykładzie mukowiscydozy. Mamy duże zainteresowanie środowiska, duże zainteresowanie konsultantów krajowych... W tym zakresie, jeśli chodzi o mukowiscydozę, mamy trochę inną sytuację niż w przypadku wielu innych jednostek chorobowych, wielu chorób rzadkich, gdyż od niepamiętnych czasów, od kilkunastu lat – pani profesor pewnie o tym powie – diagnozowanie mukowiscydozy jest realizowane w ramach badań przesiewowych noworodków nadzorowanych przez Instytut Matki i Dziecka. W czasie, kiedy tam pracowałem, trwały prace, żeby ten program uruchomić. To był 2004 r., 2006 r. Razem z panią prof. Sands... Pamiętam, że to była jedna z najbardziej istotnych dziedzin w zakresie poszukiwania nowych technologii lekowych i nielekowych dla tej grupy pacjentów. Jak widać, kilkanaście lat minęło i mamy pierwsze istotne elementy efektów badań klinicznych. Pierwsze istotne sposoby leczenia przyczynowego zostały zatwierdzone przez amerykańską agencję leków i Europejską Agencję Leków. I są już dostępne pierwsze terapie.

W przypadku pacjentów z mukowiscydozą właściwe postawienie diagnozy jest stosunkowo łatwe i szybkie, w przeciwieństwie do bardzo wielu jednostek chorobowych, których rozpoznanie – poza tymi trzydziestoma kilkoma chorobami w przypadku badań przesiewowych – jest bardzo trudne, skomplikowane. Często przez wiele lat może być to rozpoznanie stawiane. Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich obejmuje wiele zadań do realizacji, tak żeby te problemy jak bardziej skanalizować. Chodzi o to, żeby były ośrodki referencyjne, ośrodki, które są w europejskiej sieci chorób rzadkich i zajmują się tymi jednostkami chorobowymi. Chodzi o to, by ustalić, które ośrodki, którzy specjaliści zajmują się poszczególnymi jednostkami chorobowymi, ponieważ diagnozowanie, leczenie i monitorowanie jest bardzo trudne, skomplikowane. Niewielu pacjentów... W przypadku chorób ultrarzadkich doświadczenie jest budowane we współpracy międzynarodowej, rejestry są prowadzone w trybie współpracy międzynarodowej. Tak że to jest bardzo istotny element.

Drugi bardzo istotny element to kwestia rozpoznania. Żeby dokonać rozpoznania, bardzo często potrzebujemy badań genetycznych. Dziedzina badań genetycznych będzie się na pewno

teraz rozwijała. Przygotowywany jest nowy koszyk świadczeń gwarantowanych, tak żeby te zadania były realizowane. Ale w przypadku pacjentów z mukowiscydozą, tak jak powiedziałem, mamy pełną informację na temat liczby tych osób, pełną informację na temat tego, jakie mutacje pacjenci posiadają. Rejestr jest prowadzony... To jest wspólny rejestr, wraz z europejskim rejestrem, tak że tutaj mamy informację, jakich pacjentów w Polsce mamy. Dzięki temu możemy szacować, jak powinni być leczeni, a bardzo różne są wskazania, jak należy leczyć różne grupy chorych – w zależności od posiadanej mutacji. Mamy ośrodki, które się specjalizują w leczeniu pacjentów z mukowiscydozą, w szczególności ośrodki dziecięce. Przykładem bardzo dobrego ośrodka, który merytorycznie uruchomiła pani prof. Sands wraz z dyrektorem Krupą i z marszałkiem województwa mazowieckiego, panem marszałkiem Struzikiem, jest ośrodek w Dziekanowie Leśnym. Tam jest modelowe zarządzanie pacjentami, modelowe leczenie pacjentów, modelowy schemat monitorowania tych pacjentów. Państwo w zasadzie całkowicie przeszli na tryb planowy, tryb jednodniowy – wielu specjalistów monitoruje sytuację pacjenta. Drugim... No, jest pewnie wiele elementów pobocznych, które częściowo jeszcze nie domagają.

Rehabilitacja pacjentów z mukowiscydozą. Mamy leki, które w tym zakresie są stosowane od lat, bardzo wiele terapii jest dedykowane pacjentom z mukowiscydozą. Aktualnie dedykowane tym pacjentom w zakresie leczenia... To są antybiotyki – oczywiście antybiotykoterapia jest bardzo istotna – antybiotyki dostępne w aptekach, azytromycyna czy kolistyna, czy w programie lekowym. Do tej pory był 1 lek, ale kolejna linia leczenia – lewofloksacylna – została zatwierdzona do stosowania. Mamy również kwas ursodeoksycholowy, stosowany w chorobach dróg żółciowych, czy leki mukolityczne, dornaza alfa, wziewne leki antycholinergiczne o krótkim działaniu, fenoterol plus bromek... Enzymy trzustkowe, różne diety w niedożywieniu u niemowląt, u dzieci oraz diety wysokoenergetyczne... W tym zakresie to jest finansowane. W ubiegłym roku uruchomiliśmy pierwszy program lekowy w zakresie mukowiscydozy. To jest program leczenia pacjentów lekiem Kalydeco. Aktualnie są złożone kolejne wnioski, których procedowanie zostało zakończone przez Komisję Ekonomiczną i są na etapie decyzji ministra zdrowia. Na ten temat rozmawiałem z firmą kilkukrotnie, na razie nie ma w tym

zakresie porozumienia. Co istotne, te najnowsze leki zostały umieszczone na liście wskazań przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i ministra zdrowia w zakresie technologii lekowych w ramach Funduszu Medycznego. Chodzi o lek Kaftrio dla pacjentów z mukowiscydozą mających co najmniej 12 lat z konkretnym genem oraz lek Symkevi dla pacjentów pozostałych. Tak że ta lista została opublikowana. W zakresie... Firma na pewno nie złożyła wniosków w zakresie technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej. Pewnie będą od państwa pytania, bo chyba główny temat, aktualny, to jest to, na jakim etapie są negocjacje i dlaczego jeszcze nie ma ostatecznych decyzji.

**PRZEWODNICZĄCY  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo, Panie Ministrze, za wprowadzenie.

Niewątpliwie będziemy pytać. Myślę, że państwo będą pytać o kwestie negocjacji i dopuszczenia leków, tym bardziej że, jak wszyscy pamiętamy, specjalnie stworzony Fundusz Medyczny dawał możliwości, jeżeli chodzi o finansowanie. Myślę, że przeszkody finansowej tutaj nie ma, tylko że jakieś inne względy o tym decydują. Pewnie będziemy o to dopytywać.

W tej chwili bardzo proszę panią profesor, która chyba najwięcej wie na temat mukowiscydozy i całego systemu, panią prof. Dorotę Sands o przedstawienie systemu opieki nad chorymi na mukowiscydozę. Mam nadzieję, Pani Profesor, że będzie pani mogła odnieść się do tych kwestii, które poruszył pan minister. Słuchając pana ministra, możemy odnieść wrażenie, że z wyjątkiem tego jednego wątku związanego z lekami wszystko jest okej, wszystko działa w zakresie leczenia chorób rzadkich. Czy tak jest, Pani Profesor? Czy oprócz kwestii leków są jeszcze jakieś inne elementy, które potrzebują wsparcia i rozwiązań systemowych?

Proszę bardzo.

**KIEROWNIK ZAKŁADU MUKOWISCYDOZY  
W INSTYTUCIE MATKI I DZIECKA  
DOROTA SANDS**

Dzień dobry. Witam wszystkich. Bardzo dziękuję za to, że możemy się z tym tematem dzisiaj zmierzyć.

Ja miałam w króciutki sposób omówić system opieki nad chorymi, sukcesy i wyzwania. Na dobry początek powiem parę słów o sukcesach, jakie byliśmy w stanie uzyskać w leczeniu tej wieloukładowej, trudnej, ogólnoustrojowej choroby uwarunkowanej genetycznie.

To jest duma całego środowiska pracującego z chorymi z mukowiscydozą. Ten schemat... Ja rzeczywiście nie znam żadnej innej choroby, w przypadku której by uzyskano takie wydłużenie długości życia pacjenta w ciągu ostatniego pół wieku. Jesteśmy wszyscy dumni i szczęśliwi, ale oczywiście dla osób, które leczą pacjentów, jak również dla samych chorych i ich rodzin to ciągle jest oczywiście trochę mało. Młody wiek dorosły... Uważamy, że w 2021 r. to jest ciągle mało. Niemniej jednak, tak jak mówię, jest to jedyna znana mi choroba, w przypadku której kolejnymi cegiełkami diagnostyczno-leczniczymi budowano, ulepszano system opieki objawowej i aż tyle udało się uzyskać.

Jedną z podwalin tego sukcesu było wczesne rozpoznanie. Jak już tu wspomniał pan minister, jeszcze wtedy razem pracowaliśmy nad bardzo trudnym pilotażem badań przesiewowych noworodkowych. One już w 2009 r. objęły całą Polskę i rzeczywiście prowadzone są bardzo dobrze, w bardzo nowoczesny sposób. Z tego, jak one są robione, jak są prowadzone, możemy być dumni. Rzeczywiście z całym światem w tym zakresie współpracujemy i prezentujemy wyniki. Tutaj widzicie państwo... To jest ekstrapolowana krzywa przewidywanej długości życia przy wczesnym rozpoznaniu. No, efekty są ewidentne.

Drugi nasz sukces dotyczy tego, że Polska zbiera dane w ramach europejskiego rejestru chorych na mukowiscydozę. Od kilku lat te dane tam wprowadzamy, co w szalenie dobry sposób nam to wszystko systematyzuje, porządkuje. Ten rejestr ma takie bardzo, bardzo ważne narzędzie... Bo jesteśmy w stanie porównywać się z różnymi ośrodkami, widzimy, co robimy dobrze i co można jeszcze polepszyć w poszczególnych ośrodkach. Usystematyzowało to pracę ośrodków zajmujących się leczeniem mukowiscydozy, które już w Polsce istnieją i które sobie radzą w zakresie pediatrycznym. Ale w związku z wydłużeniem długości życia potrzebne nam są nowe ośrodki dla dorosłych, bo te dotychczas istniejące nie są w stanie wszystkich naszych wspaniałych, pięknych 20-letnich obsłużyć.

Mamy modelowy ośrodek, ośrodek, który udało się nam stworzyć przy bardzo dobrej współpracy Instytutu Matki i Dziecka, skąd pochodzi zespół leczący, i szpitala w Dziekanowie Leśnym. Na tamtej bazie, świetnej bazie lokalowej, korzystając z wyszkolonego w instytucie zespołu, udało nam się stworzyć ośrodek, który w zasadzie spełnia absolutnie wszystkie normy międzynarodowe zarówno jeśli chodzi o hospitalizację, jak i leczenie ambulatoryjne oraz dostępność. No, to, co jest najtrudniejsze wszędzie na świecie... Wszyscy wiemy, że meczu w pojedynkę się nie wygra. Wielodyscyplinarny zespół jest konieczny, jest absolutnie konieczny do osiągnięcia sukcesu. Zbudowanie takiego zespołu jest jeszcze trudniejsze niż pozyskanie infrastruktury lokalowej, bo bardzo długo trwa budowanie takiego zespołu, szkolenie. Są też normy międzynarodowe co do tego, jak to powinno wyglądać, ilu specjalistów na ilu pacjentów ma przypadać, tak żeby ten pacjent mógł ze wszystkich najnowszych technik leczenia korzystać.

Jeśli chodzi o zespół, to nie da się dobrze prowadzić pojedynczych pacjentów, bo to jest zbyt małe doświadczenie... No, nie da się takiego zespołu utrzymać. To ma być kompleksowa, scentralizowana opieka w specjalistycznych ośrodkach zatrudniających te zespoły. W tej chwili możliwości telemedycyny i dobra współpraca z podstawową opieką zdrowotną... My jako ośrodek takie szkolenia dla lekarzy prowadzimy. One umożliwiają taką oddolną, jeszcze niesformalizowaną, ale kompleksową, skoordynowaną opiekę prowadzić.

A tu jest pokazana taka przykładowa krzywa życia chorego. Ten kąt się staramy zmienić poprzez te wszystkie nasze działania, które podejmujemy. No, w pewnym momencie dochodzimy do końca tego życia... Sukcesem jest program transplantacji płuc, który w Polsce jest w tej chwili bardzo dobrze zorganizowany. Współpraca między ośrodkami i zespołami przeszczepiającymi płuca układa się w sposób bardzo, bardzo dobry i bardzo efektywny.

Tutaj slajd podsumowujący nasze sukcesy. Tutaj mamy początek i koniec, bardzo dobrze opracowane, czyli wczesną diagnostykę i bardzo dobrą współpracę z ośrodkami transplantacyjnymi. A cały środek tej piramidy – tu są sprawy organizacyjne, odpowiednie warunki infrastruktury itd. – jest, że tak powiem, dobrze rozwiązany w kierunkach pediatrycznych

i tylko w pojedynczych ośrodkach dla dorosłych, których liczba musi ulec zwiększeniu. W przypadku wszystkich pacjentów istnieje potrzeba dostępu do innowacyjnych terapii. Jeśli chodzi o kwestie objawowe, to oczywiście w detalach można dyskutować o ulepszeniach, poszerzeniu dostępu, natomiast dostęp do innowacji bez takiego zdecydowanego postępu dalszego będzie trudno uzyskać.

Najważniejsze wyzwania, po tej serii sukcesów, to poprawa opieki nad pacjentami dorosłymi, czyli wsparcie organizacji ośrodków dla pacjentów dorosłych, a w przypadku wszystkich grup wiekowych możliwość dostępu do innowacyjnych przyczynowych terapii mukowiscydozy. Dlaczego one są tak potrzebne? Tutaj, króciutko, schemat leczenia. Mamy tutaj te 2 filary, filar pulmonologiczny i żywieniowy. A to na zielono... Ta interwencja już na samym początku tego schematu występuje. Ona jest w stanie zahamować zmiany utrwalone, a wręcz nie dopuścić do powstania zmian utrwalonych.

Mamy dostępne zarejestrowane modulatory białka CFTR, które zarówno w badaniach klinicznych, jak i w tzw. real-world – one w wielu krajach są podawane – bardzo wpływają na poprawę funkcji płuc, a pośrednio oczywiście na wydłużenie długości życia i poprawę jakości życia. Tak możemy podsumować to, co się wydarzyło w leczeniu mukowiscydozy. Ta mozolnie budowana piramida, ta wzrastająca krzywa... To jest bardzo znaczne przyspieszenie, to taka przesiadka na bardzo szybki tor.

Część krajów, w których jest dostęp do tych leków, uznaje mukowiscydozę za chorobę przewlekłą. Oczywiście istnienie tych leków jeszcze nie oznacza dostępności i refundacji. Od tego będzie oczywiście zależało, na ile my też będziemy mogli tę chorobę tak określać. A te krzywe na dole pokazują, jaki będzie efekt, w zależności od wieku wprowadzenia... Oczywiście im wyżej, tym gorsze objawy. U dzieci szybciej będziemy mogli objawy zahamować. Zmiany utrwalone zostaną zmianami utrwalonymi u chorych z bardzo zaawansowanym procesem chorobowym, ale będą mogły zostać spowolnione.

Czy to znaczy, że całkowicie rozwiążemy problem mukowiscydozy? Oczywiście nie. Przede wszystkim modulacja. Modulacja jest modulacją, potrzebne nam są świetnie wyszkolone zespoły wielodyscyplinarne, które to leczenie będą prowadziły. Dla naszych młodych doktorantów...

No, wszystkiego nie rozwiążemy. Pozostaje 10% mutacji, na które nie ma jeszcze leków. Tam białko w ogóle nie powstaje... Tu jest pole do popisu dla młodych naukowców, aby do końca, 100-procentowo to rozwiązać.

Mukowiscydoza a plan dla chorób rzadkich. Ja tutaj podam taki górski przykład. Choroby rzadkie to jest taki ogromny worek wielu tysięcy chorób. Mukowiscydoza w obozie bazowym znajdowała się 50 lat temu, teraz jest przed atakiem szczytowym. Atak na szczyt wymaga pewnego wsparcia z góry, byłoby dobrze, gdyby była jakaś lina w postaci terapii i wsparcia sektora ośrodków dla dorosłych. To dobrze, że o chorobach rzadkich się mówi, że one zostały zauważone. Miejmy nadzieję, że to wpłynie na kwestie organizacyjno-finansowe. No, jak się jest przed szczytem, jest obawa, żeby nie zostać wezwanym do bazy wyjściowej. Są setki chorób, w przypadku których nie ma diagnostyki, nie ma rejestru, nie ma niczego... No, żebyśmy nie musieli zaczynać od początku. My bardzo chętnie się podzielimy doświadczeniami. Chcielibyśmy uzyskać wsparcie na etapie, w którym jesteśmy. Myślę, że jesteśmy takim inspirującym przykładem tego, że ta droga jest właściwą drogą, że dobrze wytyczamy szlak. Życzymy wszystkim, którzy są teraz na tym etapie, na którym myśmy byli kiedyś, żeby im się udało. Może nawet zrobią to szybciej przy tym takim globalnym przyspieszeniu.

Bardzo dziękuję za uwagę. Tutaj na zdjęciu cały zespół... To było takie zebranie pandemiczne zespołu wielodyscyplinarnego. A tutaj nasza nowa monografia, w formie e-booka również, w której dzielimy się wszystkim, co nam się udało zrobić, także najnowszymi terapiami. Bardzo dziękuję.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo, Pani Profesor.

Rzeczywiście, tak jak pani powiedziała, przesiedliście się do ekspresu. To jest bardzo dobra wiadomość, choć pewne rzeczy jeszcze nie trybią. Jak sobie tutaj podejrzalam, w Polsce na choroby rzadkie choruje od 2 do 3 milionów osób, a więc mimo nazwy „choroby rzadkie” – jak wiemy, w większości to jest genetyka, one są bardzo zróżnicowane – liczba osób, które wymagają

wsparcia, robi wrażenie. To jest duża grupa osób, którymi należy się zaopiekować.

Pan prof. Marcin Czech przedstawi terapię w przypadku chorób rzadkich w kontekście planu dla chorób rzadkich, a także Funduszu Medycznego.

Proszę bardzo.

**PREZES ZARZĄDU  
POLSKIEGO TOWARZYSTWA  
FARMAKOEKONOMICZNEGO  
MARCIN CZECH**

Pani Przewodnicząca! Panie Ministrze! Szanowni Państwo!

Poproszono mnie o taką krótką prezentację dotyczącą opieki nad chorymi na choroby rzadkie w kontekście planu dla chorób rzadkich, ze szczególnym uwzględnieniem mukowiscydozy. Postaram się zamknąć tę prezentację w 15 minut. To, co państwu powiem, będzie takim spojrzeniem systemowym na regulacje prawne, na to, co w systemie ochrony zdrowia się w tej chwili dzieje.

Zacznę, króciusienko, od dokumentu strategicznego, czyli polityki lekowej państwa, w której choroby rzadkie mają swoje miejsce. Tam opisane są kierunki strategiczne, na których opierane było tworzenie kolejnych dokumentów. I tak m.in. zapisy, które są w polityce lekowej, znajdują się w planie dla chorób rzadkich, bowiem w tej części dotyczącej leków – na niej się skoncentruję – te rozwiązania były jak gdyby pogłębiane. Potem dwa słowa o Funduszu Medycznym i o lekach o wysokim poziomie innowacyjności, wysokiej wartości klinicznej. O tym już mówił pan minister, że leki, o których tutaj rozmawiamy, znalazły się na jednej z tych list. Potem dosłownie słóweczko o nowelizacji ustawy refundacyjnej i tylko 1 slajd na temat ABM w kontekście perspektywy rozwojowej. Pani profesor mówiła, że nadal są tutaj potrzeby, więc być może ABM taką płaszczyznę stworzy.

Proszę państwa, przed tym gremium nie trzeba przypominać definicji chorób rzadkich. Ważne jest to, że dla większości pacjentów chorujących na choroby rzadkie nadal nie mamy efektywnego leczenia. Dlaczego tak jest? Dlatego, że tych chorób jest bardzo dużo, ich obraz jest bardzo złożony i z punktu widzenia biznesowego firmom farmaceutycznym nie bardzo

opłaca się produkować leki dla tak małych populacji chorych. Takie leki mają wyjątkowy status i ich cena jednostkowa jest zwykle bardzo wysoka. Proszę państwa, dlatego ważne jest spojrzenie tam, gdzie mamy efektywne, skuteczne i bezpieczne leczenie. Chodzi o to, by je rozważyć w kontekście systemów refundacji. Sam system refundacji, który działa w Polsce – tu może troszkę odpowiadam na pytanie pani przewodniczącej – jest stworzony dla chorób powszechnych, tych, które występują najczęściej. Leczenie chorób rzadkich, często z zastosowaniem leków, które mają status leków sierocych, natrafia na wiele barier różnego rodzaju. Przykład pierwszy z brzegu to próg opłacalności, który w Polsce jest na poziomie 3% PKB per capita.

Proszę państwa, patrząc od drugiej strony... Rozmawiamy tutaj o mukowiscydozie. No, istnieje wyraźne wskazanie i klinicyści – mówiła o tym pani profesor przed chwilą – i ze strony organizacji pacjentów, że ważnym elementem terapii jest refundacja leków, które działają przyczynowo. Proszę państwa, spróbujmy spojrzeć na to trochę szerzej. Różne kraje w Europie Środkowej – to jest artykuł, który nie tak dawno temu się ukazał, więc zawiera aktualne informacje – mają różne rozwiązania systemowe, podejścia do leczenia chorób rzadkich i refundacji leków sierocych. To może być modyfikowalna wartość wskaźnika efektywności kosztowej, tego progu opłacalności, to mogą być inne rozwiązania systemowe. My w Polsce również mamy takie rozwiązanie – w postaci Funduszu Medycznego. Trzeba powiedzieć o dużej harmonizacji w tym zakresie w Europie, czego dowodem są chociażby sieci referencyjne, ale niestety nie dotyczy to leków, choć rozmowy w Europie na ten temat trwają. Kilka dni temu uczestniczyłem w takiej rozmowie na wielkim kongresie, który podejmował te kwestię, czy w Europie powinniśmy mieć wspólne podejście do refundacji i dostarczania leków sierocych wszystkim mieszkańcom Unii Europejskiej. Ja w tym upatruję bardzo wielkiej szansy również dla polskich pacjentów, natomiast to wymaga zgody na wielu poziomach, w tym politycznej.

Proszę państwa, to pominię ze względu na czas, nie będę opowiadał o dokumencie... W tym dokumencie opisane są populacje szczególnie wrażliwe, zwracamy na nie uwagę, w tym dzieci. Choroby rzadkie i ultraradkie... Postulujemy też w tym dokumencie odstępstwo od ogólnie

przyjętej procedury oceny leków z zachowaniem kosztowej efektywności, a także rozważenie dodatkowych narzędzi takich jak np. analiza wielokryterialna, choć nie jest to oczywiście jedyne podejście, jakie w takim procesie decyzyjnym może być stosowane.

Króciutko o wielokryterialnej analizie decyzyjnej. W największym skrócie, ona bierze pod uwagę dużo szerszy kontekst stosowania leku, wychodzący daleko poza tę klasyczną ocenę technologii medycznej, z którą mamy do czynienia w tej chwili. Takie rozwiązania istnieją w innych krajach. W Polsce to również jest dość zaawansowana metodyka na tej płaszczyźnie naukowej, więc można po nią sięgnąć. Ale, tak jak mówiłem, to jest tylko jedna z propozycji, nie musi być przyjęta.

Inne rozwiązania – mówiłem już o nich – w kwestii dostępności leków w przypadku chorób rzadkich. Opisuje je część lekowa programu dla chorób rzadkich. I tak: wspólne negocjacje ceny; *horizon scanning* – po to, żeby wyłapywać leki bardzo często na wczesnym etapie ich powstawania, żeby dostarczać je szybko pacjentom; stosowanie szerokich instrumentów dzielenia ryzyka – ministerstwo bardzo często do nich sięga, praktycznie zawsze... O progu opłacalności już mówiłem. No i ten pomysł europejski, dyskutowany – myślę, że bardzo dobry dla naszej części Europy – czyli: ceny leków powiązane z siłą nabywczą zależną od PKB. Wtedy grupy krajów Unii Europejskiej mogłyby tworzyć fundusz, z którego będą finansowane te leki. Podobnie było w sprawie szczepionek, aczkolwiek to nie był dokładnie ten mechanizm. No i rejestry, czyli coś, co się określa mianem *real-world evidence*. Pani profesor o tym już mówiła. Jesteśmy w tej szczęśliwej sytuacji, że w przypadku mukowiscydozy taki rejestr istnieje.

Proszę państwa, przejdźmy do planu dla chorób rzadkich. To jest kolejny dokument strategiczny. I bardzo dobrze, że go mamy, czekaliśmy na niego grubo ponad 10 lat. Został uchwalony i przewiduje dużo rozwiązań mogących poprawić dostęp do terapii w chorobach rzadkich. To jest wsparcie rozwoju szerszego wykorzystania instrumentów dzielenia ryzyka... To są praktycznie te same rzeczy, które gdzieś tam w dokumencie strategicznym dotyczącym polityki lekowej się pojawiły. One znajdują się również w planie dla chorób rzadkich.



Ważny element, który chyba w przypadku mukowiscydozy nie jest takim problemem i wyzwaniem, to wprowadzenie zmian w procedurze wnioskowania o refundację dotyczącą technologii o niewielkim wpływie na plan finansowy NFZ. Pamiętam, że jak pracowałem w ministerstwie, to mieliśmy do czynienia z sytuacjami, że były tanie leki, ale to jednak była bariera zakupowa dla rodziców chorych dzieci. My nie za bardzo byliśmy w stanie, że tak powiem, jakąś szybką decyzją tę sytuację poprawić. No, to są przykłady znane doskonale osobom, które, jak tu widzę, są zdalnie z nami połączone.

Proszę państwa, proszę pamiętać, że to jest dokument strategiczny. Wprowadzenie tych rozwiązań będzie wymagało czasu. W mojej ocenie procesy, które są rozpoczęte w ramach ustawy o refundacji, te typowe, powinny być dokończone i w tym trybie powinny być podjęte decyzje – dotyczy to również leków na mukowiscydozę – po to, aby nie mieszać tych różnych ścieżek. Ja przypomnę, że my w refundacji ich mamy już ok. 12 i one zaczynają troszeczkę ze sobą, nazwijmy to, konkurować.

Proszę państwa, Fundusz Medyczny. O tym też obiecałem powiedzieć. Tutaj jest plan dla chorób rzadkich, tu jest Fundusz Medyczny... To jest rozwiązanie, które istnieje w innych krajach, w innych krajach są rozwiązania podobne. Ma on na pewno duży potencjał, aby stać się rozwiązaniem, które wspiera pacjentów cierpiących na choroby rzadkie. Przypominam, że fundusz funkcjonuje od października 2020 r. Fundusz ma w założeniu wesprzeć priorytety ochrony zdrowia w zakresie chorób rzadkich i onkologii. Ustawa wskazuje grupę o wysokim poziomie innowacyjności, a także technologie o wysokiej wartości klinicznej. Tak jak powiedział pan minister, leki na mukowiscydozę znajdują się w tym katalogu, w tej grupie. Prawda jest taka, że przez ponad rok funkcjonowania funduszu w zasadzie nie udało się podjąć decyzji, w ramach której moglibyśmy powiedzieć: lek X jest finansowany w ramach Funduszu Medycznego. Ale wiele terapii w chorobach rzadkich jest na różnych etapach standardowego procesu refundacyjnego. I tak jak mówiłem, pewnie warto by było w tym trybie to dokończyć. Zapowiedziana jest nowelizacja ustawy o Funduszu Medycznym, tak samo jak zapowiedziana jest nowelizacja ustawy refundacyjnej. Chodzi tu o zmiany, które mają ułatwiać jej działanie.

Proszę państwa, leki innowacyjne. Tutaj też bardzo króciutko. Zaczynaliśmy od nadziei związanej z 42 cząsteczkami, potem było to zawężane, niektórzy eksperci mówili, że to powinno być 21... To są kryteria doboru technologii lekowych o wysokim stopniu innowacyjności. One są nieco bardziej ogólne i nieco szersze niż te, które są w HTA, w ocenie technologii medycznej. Fundusz narzuca prowadzenie rejestru, raportowanie, mierzenie wyników, skuteczności i bezpieczeństwa działania tych leków. To ma głęboki sens w moim przekonaniu. W przypadku mukowiscydozy nie mamy tego wyzwania, ponieważ mamy prowadzony rejestr.

To są te leki.

Nowelizacja ustawy refundacyjnej w kontekście mukowiscydozy specjalnie dużo pewnie nie zmieni, a na pewno nie zmieni nic w sensie procesu refundacyjnego, który się toczy.

I, proszę państwa, słowo na sam koniec. Duże nadzieje wiążemy z działaniami Agencji Badań Medycznych – warto o tym wspomnieć – dotyczącymi niekomercyjnych badań klinicznych. Szczególną troską agencji powinny być objęte te małe populacje, czyli pacjenci z chorobami rzadkimi, w tym dzieci, w przypadku których często nie ma dowodów w badaniach klinicznych tych komercyjnych na skuteczność i bezpieczeństwo działania leków. No, zapewniony jest rozwój ośrodków, budowanie wiedzy, współpraca... To są rzeczy jasne.

Proszę państwa, na sam koniec, bo chyba przekroczyłem te 15 minut, ale niedużo... W świecie naukowym trwają dyskusje na temat wartości, jakie niosą terapie i wszystkie oddziaływania w systemie ochrony zdrowia. Oprócz tego klasycznego podejścia HTA, o którym mówiłem – to jest tutaj na fioletowo zaznaczone – mamy kwestie, które mocniej wybrzmiewają, takie jak produktywność, współpraca chorego, adherens, jak to już spolszczamy... Te wszystkie czerwone elementy, które są dookoła tego koła, przez farmakoekonomistów i osoby zajmujące się *evidence-based medicine* są wskazywane jako te, na które powinniśmy zwracać uwagę. I tutaj bezsprzecznie w leczeniu mukowiscydozy te elementy są reprezentowane.

Dziękuję państwu bardzo za uwagę. I oczywiście życzę wszystkim, żeby się w tym górnym lewym kwadracie, jeśli chodzi o swoje poglądy, tylko i wyłącznie mieścili. Dziękuję bardzo.

**PRZEWODNICZĄCA**  
**BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo, Panie Profesorze.

Rzeczywiście przybliżył pan całą politykę lekową i możliwości, różne źródła, z których ewentualnie można czerpać finansowanie leków w przypadku chorób rzadkich. Ja później odniosę się do tej kwestii, parę rzeczy sobie wynotałam i będę pytała o to pana ministra.

Ale mamy jeszcze przed sobą krótkie wystąpienie organizacji pacjenckiej. Bardzo proszę, żeby pani była uprzejma się przedstawić, bo nie mam nazwiska, a to wszystko, jak państwo wiecie, jest nagrywane, protokolowane. Być może kiedyś będzie wykorzystane.

Proszę bardzo.

**CZŁONEK ZARZĄDU FUNDACJI**  
**POMOCY CHORYM NA MUKOWISCYDOZĘ**  
**„MUKOHELP”**  
**IWONA WRONA**

Dzień dobry. Witam wszystkich serdecznie. Ja nazywam się Iwona Wrona, jestem z fundacji „MukoHelp”. Chcielibyśmy przedstawić krótki filmik, który trwa 3 minuty. To jest film, którego tak naprawdę nie trzeba komentować. Tak że, jeżeli możemy, to serdecznie zapraszamy. Prosimy o zaprezentowanie...

**PRZEWODNICZĄCA**  
**BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Mamy nadzieję, że się uda.

(Głos z sali: Nie otwiera się. Tak jakby pusty był ten plik.)

Proszę sprawdzić jeszcze raz.

(Rozmowy na sali)

Nie da się?

(Głos z sali: Proszę spróbować jeszcze raz.)

No, mamy kłopot. Poprosimy informatyka, może nam coś doradzi. Dobrze?

A w międzyczasie rozpoczynamy dyskusję.

Kto z państwa chciałby zabrać głos? Oczywiście za chwilę po kolei będę państwu udzielała głosu.

Ja tylko chciałbym się odnieść, Panie Profesorze, do pana wypowiedzi, do tych wszystkich rzeczy, które tutaj padły. To rzeczywiście bardzo

ciekawe uporządkowanie spraw związanych z refundacją i z leczeniem. Mamy politykę lekową, mamy plan dla chorób rzadkich, mamy Fundusz Medyczny, mamy ABM i jeszcze kwestię refundacji, która rzeczywiście w mniejszym stopniu dotyczy chorób rzadkich. W każdym z tych planów czy z tych funduszy jest możliwość refundacji leczenia chorób rzadkich. Pytanie moje jest takie: czy próbowaliście państwo zaproponować w tym planie dla chorób rzadkich jakąś strategię, w jaki sposób ma przebiegać cały ten plan? Bo ja mam wrażenie, że to się w tych różnych instytucjach w różnych funduszach trochę rozmywa. Jeżeli ja tu słyszę, że są leki przyczynowe... Czymś innym jest leczenie objawowe – jesteśmy lekarzami, wiemy, o czym mówimy – i czymś innym przyczynowe. Prawda? Skoro jest lek na przyczynę tej choroby, skoro ocena kliniczna jest pozytywna, skoro są badania naukowe, skoro jest potwierdzona wartość tego leku i są pieniądze, no bo mamy Fundusz Medyczny, który pieniądze na innowacyjne leki gwarantuje, to gdzie jest problem?

**PREZES ZARZĄDU**  
**POLSKIEGO TOWARZYSTWA**  
**FARMAKOEKONOMICZNEGO**  
**MARCIN CZECH**

Szanowna Pani Przewodnicząca, zwracam uwagę na to, że polityka lekowa i plan dla chorób rzadkich to są dokumenty strategiczne. Tam są opisane rozwiązania systemowe. Niżej są ustawy i rozporządzenia, które jak gdyby w pełni pozwalają na podjęcie decyzji w tej akurat sytuacji. Wyzwaniem dla wszystkich systemów ochrony zdrowia, nie tylko polskiego, ale również europejskich, jest kupowanie leków, tak jak pani przewodnicząca zaznaczyła, które są skuteczne i które są bezpieczne. Mamy niekwestionowane dowody na tę skuteczność i wydaje się, że tutaj mamy do czynienia z taką sytuacją. Co więcej, te leki znalazły się na liście tworzonej przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, która, powiedzmy, Fundusz Medyczny... No ale to nie ma aż takiego znaczenia, bo ta informacja może być użyta do dokończenia procesu refundacyjnego. A drugim elementem, i tutaj nie ma co kryć, są warunki finansowe, na jakich my jesteśmy w stanie za taką terapię zapłacić. Na każdą decyzję ministra zdrowia czy

też wiceministra, który w praktyce podejmuje te decyzje, trzeba patrzeć w kontekście kosztu alternatywnego. Chodzi o to, że jest coś, czego nie sfinansujemy, bo sfinansujemy dany rodzaj terapii. My jesteśmy w Polsce znakomitymi negocjatorami – mówię pewnie najbardziej o poziomie ministra, bo Komisja Ekonomiczna rzadko dochodzi do konsensusu niestety – i my kupujemy te leki najczęściej najtaniej w Europie, również stosując różne instrumenty dzielenia ryzyka. I dzięki temu mamy możliwość finansowania terapii dla większej liczby chorych. Nie jesteśmy krajem, który przeznaczają na to najwięcej PKB i nie mamy najwyższego PKB w Europie. No, tutaj, w tym akurat przypadku, moim zdaniem – myślę, że uzupełni to pan minister, który ma ten proces, że tak powiem, na biurku – główne rozmowy toczą się wokół tego, za jaką cenę, z jakim instrumentem dzielenia ryzyka, co będzie za 2 lata, jak objąć populację najbardziej potrzebującą, tak naprawdę jak objąć całą populację leczeniem itd... No, nie potrafię tego bardziej wytłumaczyć. Wydaje mi się, że to jest główne wyzwanie. To są bardzo trudne decyzje, szczególnie że dotyczą dziesiątek czy albo setek milionów złotych.

**PRZEWODNICZĄCY**  
**BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Jak większość decyzji dotyczących zdrowia i życia.

Panie Ministrze, proszę bardzo. Czy coś w tej kwestii chciałby pan w tym momencie dodać, czy później, po dyskusji?

**PODSEKRETARZ STANU**  
**W MINISTERSTWIE ZDROWIA**  
**MACIEJ MIŁKOWSKI**

Mogę przedstawić parę kwestii finansowych, bo faktycznie finanse są dosyć istotne. Pani przewodnicząca mówiła, że pacjentów z chorobami rzadkimi mamy 2–3 miliony. Szacując, że średnio na taką osobę rocznie to jest ok. 1 milion zł, mamy mniej więcej 2, 3 biliony zł. To jest 15–20% więcej niż produkt krajowy brutto na to właśnie leczenie, leki dla pacjentów z chorobami rzadkimi. No, trzeba powiedzieć, że budżet kraju jest wielokrotnie niższy, wynosi ok. 500 miliardów,

tak że to przekracza wielokrotnie tę kwotę. Tych 3 bilionów zł, takich środków finansowych ani w ABM, ani w Narodowym Funduszu Zdrowia nie zabezpieczyliśmy, no bo trudno jest to zabezpieczyć, skoro to jest wielokrotnie więcej niż budżet państwa naszego, o czym wiemy.

Przechodząc do tej konkretnej jednostki chorobowej, chcę powiedzieć tak. Tak jak pani profesor mówiła, mamy ok. 1 tysiąca 800 pacjentów z mukowiscydozą. W zakresie leków, które są aktualnie dostępne, mamy ok. 1 tysiąca osób. Szacując, że to jest co najmniej 1 milion zł, a to jest powyżej 1 miliona zł na osobę... To wychodzi, założymy ok. 1–1,1 miliarda zł rocznie. To jest dwa razy więcej niż na całą chemioterapię w Polsce i mniej więcej tyle, co na wyroby medyczne na zlecenie. Istotne jest też to, żeby znać umiar co do tego, jakich środków finansowych można oczekiwać od pacjentów. No, to jest istotny marketing. Chodzi o to, ile państwa są w stanie zapłacić, ile maksymalnie można wziąć środków finansowych, żeby właściciele byli zadowoleni... Oczywiście wiemy, że każde środki finansowe są z chęcią przyjmowane, im wyższy zysk, tym lepiej dla firm. Tak że te ceny oczywiście są bardzo wysokie. Staramy się negocjować i w tym przypadku, tak jak minister powiedział, udaje nam się. Oczywiście nie jest prawdą, że w Polsce... Niektóre leki na pewno mamy w cenach najniższych albo w jednych z najniższych, a w przypadku niektórych mamy problemy i ceny są zdecydowanie powyżej średniej w Unii Europejskiej, jest trudno. Trzeba też powiedzieć, że w przypadku wielu leków to są negocjacje jeden do jednego – jest jedna firma produkująca i nie ma możliwości, by z kimkolwiek negocjować, ponieważ w grę wchodzi ochrona patentowa, wyłączność rynkowa. Tu zawsze jest potrzebne podejście 2 stron. No, z naszej strony, Ministerstwa Zdrowia, mogę powiedzieć, że przez ostatnie lata udaje nam się negocjować... Coraz wyższe są środki na leczenie, w związku z czym coraz więcej terapii kupujemy. I w większości przypadków dochodzimy do porozumienia. W tym roku chorób rzadkich dotyczyło 29 substancji, 29 wskazań na 65... Tak że prawie 50% to są choroby rzadkie albo ultraradkie. Tutaj trzeba powiedzieć, że 1 tysiąc 800 osób, pacjentów z mukowiscydozą, chorobą rzadką... Ale ceny są ultrawysokie. W związku z tym to też jest... Trzeba powiedzieć, że mamy zdecydowanie niższe ceny w przypadku chorób

ultrarzadkich niż proponowane w przypadku choroby rzadkiej o najwyższej grupie docelowej, ok. 1 tysiąca osób. Tak jak powiedziałem, według cen rynkowych, które są proponowane, to jest ok. 1 miliard zł. Jak wiemy, o tym też pan profesor powiedział, musimy brać pod uwagę trzeci, czwarty rok. Wiemy, że badania zmierzają ku końcowi i że za około rok firma będzie zgłaszała wniosek o zmianę w charakterystyce produktu leczniczego, tak żeby tę populację poszerzyć. W związku z tym będziemy mieli w przypadku tego najbardziej skutecznego leku 30-procentowy wzrost w trzecim roku na pewno, w trzecim i w czwartym. I musimy to uwzględnić.

Jak wygląda sytuacja? Firma zgłosiła wniosek. Jak tutaj sprawdziłem, przez ostatnie 4 miesiące 11 razy się spotykałem z firmą. No, teoretycznie mam zdecydowaną większość sukcesów, rzadko porażki, ale z tą firmą... Wydawało mi się, że już 2 razy doszedłem z tą firmą do porozumienia. Pierwszy raz, jak mi się wydawało, doszedłem z nimi do porozumienia 2 lata temu, podczas przyjmowania pierwszej terapii przyczynowej w leczeniu mukowiscydozy. Po wstępnych analizach właśnie 2 lata temu stwierdziliśmy wspólnie z firmą, że jesteśmy w stanie objąć pierwszą, bardzo wąską populację... Przeanalizowaliśmy, ile środków finansowych będzie to nas kosztowało za 2 lata i za 4 lata, i stwierdziliśmy, że jesteśmy w stanie to przyjąć w tym okresie. Myśleliśmy zawsze na 2, 4 lata do przodu. A jak przyszło co do czego i zaczęły się negocjacje, no to firma powiedziała, że nie myśleli, że ja poważnie to traktuję. No, być może nie myśleli, że będą jeszcze w ministerstwie pracował, i sądzili, że ktoś inny nie będzie pamiętał, że były jakieś uzgodnienia. No, tak sytuacja wyglądała. Ostatnio też wydawało nam się, że już mamy uzgodnienia, że przynajmniej ustnie wszystko zatwierdziliśmy, ale po ofercie pisemnej okazało się, że to jest zupełnie co innego, niż uzgadnialiśmy. W związku z tym ja czuję się trochę nieswojo. Bo zawsze umowy ustne obowiązują. W pierwszej pracy, jak zacząłem pracować w bankowości inwestycyjnej, zawsze uczyli mnie, że jak się powie słowo, to trzeba go dotrzymać. Bo zawsze wtedy były negocjacje oparte na słowie, dopiero później się potwierdzało wszystkie transakcje.

Tak że ponieważ na razie nie udało się dojść do porozumienia... Myślałem, że od 1 stycznia będzie możliwość refundacji. Jeszcze próbowałem to uzgodnić przed końcem listopada, ale nie

udało się uzyskać tego porozumienia. Oczywiście, firma zgłosiła wniosek normalnie, w systemie refundacji. I też powiem, że w normalnym systemie refundacji środków finansowych ja nie widzę tak dużych pieniędzy, żeby... Jedynie z Funduszu Medycznego konkretne środki... Rozmawialiśmy na ostatnim posiedzeniu Rady Funduszu Medycznego na ten temat, żeby ułatwić sytuację w przypadku leków, które zostały przedstawione na liście technologii o istotnej wartości klinicznej, tak żeby te firmy nie musiały znowu zgłaszać wniosku, ale żeby potraktować ten proces, który już przeszły, jako etap już zamknięty. Żeby te środki wykorzystać. Oczywiście, w ustawie o Funduszu Medycznym jest napisane, że żeby kontynuować terapię, żeby kontynuować finansowanie, lek musi być skuteczny, musi odpowiadać wartości klinicznej tego leku. I jeśli nie odpowiada, to wówczas firma powinna tym pacjentom, którzy odpowiedzieli na leczenie, finansować ten lek później. W związku z tym na pewno firma nie akceptuje tych warunków, że lek musi być oceniony jako lek skuteczny. I w tym zakresie tego nie akceptuje. Ale ja myślę, że to też... Zresztą rozmawialiśmy o tym, że ponieważ wspomniane zapisy jeszcze nie zostały przekazane do Sejmu, to te zapisy byśmy odpowiednio dostosowali. No, ale ponieważ nie ma propozycji, znaczy rozwiązania w ogóle, to...

Jeszcze ważna kwestia. Jak negocjujemy w przypadku chorób rzadkich, chorób ultra rzadkich, to negocjujemy zawsze kilka elementów. Zawsze staramy się negocjować odnośnie do całej populacji, zgodnie ze wskazaniem, nawet poszerzonymi wskazaniem medycznymi, powyżej wskazań charakterystyki produktu leczniczego. Staramy się negocjować w imieniu kraju, dla wszystkich osób, które tutaj, w Polsce przebywają, które tutaj są, żeby miały zapewnione leczenie. W przypadku mukowiscydozy rozpoczęliśmy rozmowy od przyjęcia całego portfolio firmy, 3 leków, z czego 2 zostały już wcześniej dużo wprowadzone, a trzeci lek to ten najbardziej innowacyjny. I rozmawialiśmy właśnie o całej populacji, wiedząc, że w przyszłym roku będzie w przypadku tego najbardziej innowacyjnego leku wniosek o poszerzenie... Jeśli nie uda się w tym kierunku pójść, to jest jeszcze inne rozwiązanie, które ostatnio zaproponowałem: żeby firma przemyślała ewentualnie ograniczenie populacji do populacji najbardziej istotnej klinicznie, żeby to było według cen, jakich firma

sobie życzy, ale żeby chociaż część populacji już rozpoczęła leczenie. Nie wiem, jak na dzień dzisiejszy wygląda sytuacja, czy firma coś proponuje. Oczywiście, dla nas najważniejsze jest, żeby kupić najlepiej wszystkie leki. I oczywiście wiemy też, że 4 lata firma ma pełne gwarancje leczenia, ponieważ, jak wiemy, żaden lek nie jest na tak zaawansowanym etapie badań klinicznych, żeby można było wcześniej wnioskować o refundację. Oczywiście, wiemy, że jak jest konkurencja, to wówczas ceny spadają 5-krotnie, różne są ceny. Tak że najważniejsze są te 4 lata teraz. I właściwie my jesteśmy chętni, żeby niezwłocznie do tego doprowadzić. Są jednak problemy. Dziękuję bardzo.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo, Panie Ministrze, za te wyjaśnienia.

Mam 3 zgłoszenia: pani senator Gorgoń-Komor, później pan Wojciech Skorupa z Instytutu Gruźlicy i Chorób Płuc w Warszawie i kolejna osoba, pan prezes Paweł Śliwiński, Polskie Towarzystwo Chorób Płuc. Ja bardzo proszę o takie zwięzłe wypowiedzi.

Proszę, pani senator Gorgoń-Komor.

**SENATOR  
AGNIESZKA GORGOŃ-KOMOR**

Dziękuję, Pani Przewodnicząca.

Ja mam tylko takie krótkie pytanie, bo już wszystko zostało powiedziane. Pan prof. Czech powiedział też o lekach sierocych, które jednak są kierowane do wąskiej grupy chorych z chorobami rzadkimi, dlatego koncernom farmaceutycznym być może nie opłaca się ich produkcja. Ale niestety, choroby rzadkie są. I, tak jak pani mówiła, jest to duży odsetek, prawie 2 czy 3 miliony w Polsce. Też na podstawie doniesień medycznych z 2019 r. wiemy, że tylko 5% osób z chorobami rzadkimi otrzymało prawidłowe leczenie. Chciałabym skierować pytanie do pana ministra. Jak w związku z utworzeniem Funduszu Medycznego w październiku 2020 r. wzrósł odsetek chorych na choroby rzadkie, którzy otrzymali prawidłowe leczenie, zgodne z rekomendacjami? Czy tych 5% to dalej jest 5%, czy to

już jest np. 10%? I ile środków zostało przeznaczonych w tym czasie na leczenie wspomnianych chorób? Ja nie mówię tylko o mukowiscydozie, lecz także o chorobie syropu klonowego, chorobie Fabry'ego, mukopolisacharydozie – o takich chorobach. Jeżeli pan dysponuje takimi danymi, to bardzo proszę. Dziękuję ślicznie.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo, Pani Senator.

Pan Wojciech Skorupa, Instytut Gruźlicy i Chorób Płuc.

**ZASTĘPCA DYREKTORA DS. LECZNICTWA  
W INSTYTUCIE GRUŹLICY I CHORÓB PŁUC  
WOJCIECH SKORUPA**

Dzień dobry.

Dziękuję bardzo za udzielenie głosu.

Powiem zwięzle. Przede wszystkim cieszę się, że nie zastanawiamy się nad tym, czy te leki przy czynowe dla chorych na mukowiscydozę zapewnić, tylko jak to zrobić. Bo teraz widzimy, że te leki działają, jest tylko kwestia, w jaki sposób dojść do tego, żeby chorzy mieli zapewnione te leki.

Niemniej jednak chciałbym jeszcze poruszyć taką inną sprawę. Tu pan prof. Czech powiedział o takim innym sposobie refundowania leków, które nie stanowi nadmiernego obciążenia dla funduszu. I tutaj takim przykładem w pewnym sensie, jeżeli chodzi o chorych na mukowiscydozę, jest tobramycyna w nebulizacji, która jest w programie lekowym. Ona w momencie, kiedy wchodziła do programu lekowego, była bardzo droga. W tej chwili ona jest praktycznie w cenie kolistyny, która jest refundowana. A program lekowy dla tobramycyny jest skonstruowany tak, że uniemożliwia nam równoległe, naprzemienne stosowanie kolistyny i tobramycyny. I wprowadzenie tej nowej ścieżki refundacji może mogłoby doprowadzić do tego, żeby tobramycyna wyszła z programu lekowego i była dostępna zgodnie z zasadami, tak jak to się stosuje na świecie. Dziękuję bardzo.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo.

Pan prezes Paweł Śliwiński. Proszę.

**PREZES ZARZĄDU GŁÓWNEGO POLSKIEGO  
TOWARZYSTWA CHORÓB PŁUC  
PAWEŁ ŚLIWIŃSKI**

Dzień dobry państwu.

Pani Przewodnicząca! Panie Ministrze! Szanowni Państwo!

Wydaje mi się, że to posiedzenie komisji jest poświęcone chorobom rzadkim. A jeśli państwo zwróci baczniejszą uwagę na to, o czym mówimy, to okaże się, że nasza debata została w zasadzie zdominowana przez problem mukowiscydozy. Mnie na razie tutaj jedno zdanie, że tak powiem, się bardzo podobało: ktoś wspomniał, że choroby rzadkie są oczywiście rzadkie bądź ultrarządki, ale w sumie pacjentów z tymi chorobami jest 2 do 3 milionów w Polsce. I chciałbym zwrócić uwagę, że wszystkie dyskusje na temat chorób rzadkich toczą się wokół mukowiscydozy albo chorób metabolicznych, które dotyczą wieku dziecięcego. A ja chciałbym przypomnieć, jako przedstawiciel Towarzystwa Chorób Płuc, że są takie choroby, które nazywamy chorobami śródmiąższowymi płuc, które są rzadkie. I samych chorób śródmiąższowych płuc, które dotyczą osób dorosłych, jest ponad 200. I chciałbym, żeby ta debata nie ogniskowała się tylko i wyłącznie wokół mukowiscydozy, tylko faktycznie dotyczyła wszystkich problemów, wszystkich chorych z chorobami rzadkimi. Jedną z takich chorób jest samoistne włóknienie płuc, które szczęśliwie doczekało się terapii objętych programem lekowym. Ale w tym programie lekowym próbowaliśmy, jako towarzystwo, w tym roku troszkę zmienić zapisy, aby rozszerzyć pulę chorych, którzy spełniają kryteria do takiego leczenia, i, niestety, nie spotkało się to z uznaniem komisji kwalifikacyjnej. A dodam, że są to leki o niebo tańsze niż np. te leki, o których tutaj szeroko mówimy, które są stosowane czy są planowane do wdrożenia u chorych na mukowiscydozę. Tak więc bardzo gorąco bym prosił, żeby spojrzeć szerzej na ten problem, a nie tylko przez pryzmat mukowiscydozy, i to – odnoszę takie wrażenie – przez pryzmat mukowiscydozy w wieku dziecięcym. Przypominam, że coraz więcej chorych dożywa wieku dorosłego. I te osoby chorujące na mukowiscydozę spotykają się z zupełnie innymi problemami niż dzieci z tą chorobą. Dziękuję bardzo za uwagę.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo.

Ja tylko powiem, że my dzisiaj rozmawiamy o planie dla chorób rzadkich na przykładzie mukowiscydozy, to prawda, ale jednak nasze dzisiejsze posiedzenie komisji dotyczy planu dla chorób rzadkich. Tak więc wszystkie uwagi i wszystkie państwa bardzo cenne wskazówki jak najbardziej są tutaj, na forum rozważane. Po to się ta komisja dzisiaj spotkała.

Pani senator Alicja Chybicka.

**SENATOR  
ALICJA CHYBICKA**

Pani Przewodnicząca! Panowie Ministrowie! Szanowni Państwo!

Ja mam pytanie do obu panów ministrów, bo nie wiem, kto mi odpowie. Trochę tak w nawiązaniu – chociaż od początku miałam tę myśl – do tego, co usłyszeliśmy przed chwilą. Mukowiscydoza jest bardzo ładnie, powiedziałabym, rozwiązana. Jest prawidłowa diagnostyka, leczenie. Są kłopoty z pewnymi jeszcze kosztownymi lekami. Panie Ministrze, a właściwie Panowie Ministrowie, jakie inne choroby z chorób rzadkich – wykluczając onkohematologię dziecięcą, gdzie wszystkie choroby są z grupy rzadkich i one są dopracowane przez onkohematologów – ma pan na liście, może pan powiedzieć, że jest wcześniej u dziecka postawione rozpoznanie... Mam na myśli tutaj choroby rzadkie wrodzone, bo one mają największą szansę na wyleczenie. Powiem, dlaczego pytam. Do nas trafiło 3 braci z zespołem niedoboru odporności wrodzonej, to jest taki HIV, takie AIDS, ale wrodzone. I, żeby skrócić, powiem, że przeżyło dziecko zupełnie bez objawów, które miało zrobiony przeszczep przed trzecim miesiącem życia. To, które miało kilka lat, już miało zniszczone wszystkie narządy i to bardzo ciężko. Najstarsze dziecko zginęło jeszcze w domu, przed przeszczepem, a to kilkuletnie nie przeżyło przeszczepu. Zmierzam do tego, że... Bo tutaj strasznie zdominowała tę dyskusję, poza tym momentem, którego nie słyszałam, jak wyszłam, sprawa finansowania drogiego leczenia. Rzeczywiście, to są bająnskie sumy, bo firmy, żeby zrekompensować liczbę chorych, dają...

Produkcja tych leków wcale tyle nie kosztuje, tylko ponieważ odbiorców jest mało, to one kosztują ciężkie miliony złotych. Ale, Panie Ministrze, tak jakby clou sprawy byłoby to, aby w przypadku każdej z tych chorób rzadkich mieć zrobione to, co jest zrobione w przypadku mukowiscydozy, czyli diagnostyka i miejsce tej diagnostyki, ośrodek, który takich chorych prowadzi, przygotowany standard leczenia od A do Z, czyli zarówno leczenia przyczynowego, jeśli takowe jest... A coraz więcej jest stosowanych terapii genowych, w ramach których można poprawić popsuty gen. I proszę mi wymienić, jeśli panowie ministrowie są w stanie, listę chorób, które w ten sposób w Polsce przez długi okres... Bo to już nie jest krótki czas, odkąd sięgam pamięcią, w ministerstwie wałkowało się sprawy chorób rzadkich. No, a ja dzisiaj miałam odczucie, że ostała się tylko mukowiscydoza. Dziękuję bardzo.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo.  
I jeszcze do głosu zapisał się pan Stanisław Maćkowiak, który reprezentuje forum na rzecz terapii chorób rzadkich. Proszę.

**WICEPREZES ZARZĄDU KRAJOWEGO  
FORUM NA RZECZ TERAPII CHORÓB  
RZADKICH „ORPHAN”  
STANISŁAW MAĆKOWIAK**

Dziękuję bardzo.  
Pani Przewodnicząca! Panie Ministrze!  
Dzisiejsza debata jest na temat narodowego planu dla chorób rzadkich. I, tak jak pani profesor powiedziała, dużo czasu poświęciliśmy jednemu z elementów tego planu, a mianowicie dostępności do leków i dostępności do terapii. Ale, tak jak państwo wiecie, dostęp do leków na choroby rzadkie ma ok. 5% chorych na te choroby, takie są szacunki. 95% to są chorzy, którzy nie mają dostępu do takich leków, bo po prostu nie ma leków na te inne jednostki chorobowe. I w narodowym planie dla chorób rzadkich opisane są działania w wielu wymiarach, w zakresie medycznym – bo działania socjalne i na polu nauki nie były brane,

pod uwagę, tylko te na polu medycznym – ale tam jest mnóstwo kwestii, które należałoby zrealizować. I tam są zapisane jasne działania i zadania dla poszczególnych jednostek państwa, które powinny te działania realizować. Tam są środki eksperckie, jest temat diagnostyki, rejestrów, paszportu pacjenta, platformy informatycznej. I te elementy należałoby już zaczynać realizować. I chciałbym do pana ministra wystąpić z takim apelem. Czy w tym momencie są prowadzone w Ministerstwie Zdrowia prace, w ramach których by wyznaczono konkretne departamenty czy konkretne osoby odpowiedzialne za realizację tego planu dla chorób rzadkich? Chciałbym wspomnieć o tym, że w tym dokumencie przyjętym przez rząd jest wyznaczony harmonogram. I wiele rzeczy, które powinny się już wydarzyć, nie wydarzyły się. I mam nadzieję, że przyspieszenie dotyczące realizacji tego planu, skoro już go mamy, nastąpi w najbliższym czasie. I stąd moja prośba i apel w tym zakresie. Bardzo dziękuję.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo.  
Ja jeszcze raz powtarzam, że dzisiejsze posiedzenie komisji ma na celu ocenę czy rozmowę na temat planu chorób rzadkich...

*(Wiceprezes Zarządu Krajowego Forum na rzecz Terapii Chorób Rzadkich „Orphan” Stanisław Maćkowiak: Tak jest.)*

...na przykładzie mukowiscydozy. Niemniej jednak rozmawiamy oczywiście o planie, o jego przyszłości, o jego realizacji. Plan jest tylko planem. Aby on stał się skutecznym narzędziem, musi być realizowany. Tak więc nasze dzisiejsze posiedzenie ma na celu rozpoznanie tematu, rozpoznanie, w jakim miejscu jesteśmy. Być może za rok spotkamy się ponownie i dokonamy konkretnej dalszej oceny tego, co przez ten czas się wydarzyło.

Czy jeszcze ktoś z państwa? Proszę, 2 osoby, tak?

*(Wypowiedź poza mikrofonem)*

3 osoby. Bardzo bym prosiła o takie zwarte wypowiedzi, dobrze?

Proszę bardzo. Proszę, po kolei.

Proszę się przedstawić.

**PRZEDSTAWICIEL FUNDACJI POMOCY  
RODZINOM I CHORYM  
NA MUKOWISCYDOZĘ „MATIO”  
PRZEMYSŁAW MARSZAŁEK**

Dzień dobry państwu.

Przemysław Marszałek. Ja jestem ojcem chorego dziecka, a także działam w fundacji „Matio” oraz w porozumieniu MukoKoalicja.

Pani Przewodnicząca! Panowie Ministrowie!

Dziękuję bardzo za możliwość zabrania głosu i za udział w tym spotkaniu. Dziękuję też, że mówimy o planie dla chorób rzadkich na przykładzie mukowiscydozy. Ale to właśnie ta dyskusja, która się pojawia, i te pytania, te wątpliwości, dlaczego ciągle mówimy o mukowiscydozie, właśnie nam pokazują, że warto było takie spotkanie zrobić i takim tematem się zająć, ponieważ w przypadku mukowiscydozy pewne rzeczy są zrobione, że tak powiem, do przodu i lepiej, a inne rzeczy jeszcze nie. Niemniej jednak są choroby, w przypadku których rzeczywiście brakuje nawet tego, co my mamy. Ale do konkretów.

Pragnę podziękować panu ministrowi Miłkowskiemu, ponieważ on jest ministrem, który de facto przeprowadził wielką rewolucję odnośnie do mukowiscydozy i 2 lata temu podjął tę decyzję, dzięki której pierwsze leki stały się dostępne dla chorych. No, niestety w związku z mutacjami w mukowiscydozie to jest grupa tylko 4 osób, pozostałe osoby nadal czekają na swoją szansę. Liczę na to, i zebrałem tutaj informacje... My również zwrócimy się z silną presją do firmy, aby odpowiedziała na te wątpliwości, aby się ustosunkowała. I chcemy tak naprawę, żeby zmusić ją do tego, aby ta refundacja się odbyła. Ponieważ, proszę państwa, na chwilę obecną – ja mam córkę 10-letnią – decyzja, co dalej zrobić, jest następująca: albo wyjeżdżamy z naszego kraju, wyjeżdżamy do Niemiec, na Słowację, na Węgry albo do Czech, gdzie te leki są refundowane... I kilkadziesiąt, o ile nie kilka setek rodzin z Polski już wyjechało, żeby otrzymać leczenie. Albo drugą możliwością, drugim, co rodzina może zrobić, jest zebranie w internecie. Jest kilkadziesiąt zbiórek, które są otwarte w sieci, i ludzie zbierają po tym 1 milionie zł. Wiele osób już zebrało na pierwsze dawki i te leki przyjmuje. I wyniki są rewelacyjne, osoby, które miały kwalifikację do przeszczepu, z 15-procentową pojemnością płuc, wróciły po 2 miesiącach do pracy. Tak więc wyniki są rewolucyjne.

Tutaj mówiliśmy o tym, że Polacy potrafią negocjować. I liczę na to, że ten 1 miliard zł to jest tylko punkt wyjścia i de facto suma wyjściowa będzie na pewno dużo niższa. I na pewno firma będzie musiała pod presją środowisk pacjenckich zejść z tej ceny.

Tak więc ja bardzo dziękuję za to, że mogliśmy się tutaj spotkać, bardzo dziękuję za to, że... Ja 10 lat temu, gdy moja córka przychodziła na świat, nie miałem żadnej nadziei. Pani doktor, prof. Sands stawiała tę diagnozę i mówiła, żeby wziąć się w garść i działać jak robot, ponieważ kiedyś nadejdą leki przyczynowe, nadejdzie rewolucja. Ta rewolucja już jest, brakuje nam małego kroku, małego kroku do tego, żeby ta rewolucja u nas nastąpiła, żebyśmy dołączyli do innych krajów w Europie, w których dostęp do tych leków jest. I tego sobie i wszystkim tutaj obecnym na sali życzę. Dziękuję bardzo.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Mam nadzieję, że to posiedzenie, to spotkanie jest też jednym z takich kroków właśnie do przybliżenia państwa... i rzeczywiście wspólnego działania. Ja bardzo wierzę w siłę organizacji pacjenckich, bardzo często pracuję i spotykam się z organizacjami, nie wstydę się tego powiedzieć, wysłuchuję tych wszystkich tematów, które pacjenci znają po prostu, że tak się wyrażę, sami na sobie, przeżywają to wszystko. I dlatego to jest wszystko takie bardzo, bardzo wiarygodne i ważne. Dlatego mam nadzieję, że... Właśnie dzisiejsze spotkanie ma m.in. też to na celu, żeby powiedzieć o problemie, pokazać, gdzie jest problem. Ja rozumiem również pana ministra. No, staramy się tutaj wysłuchiwać wszystkich argumentów za i przeciw, wyważyć te kwestie. No, ale jednak zadaniem także Komisji Zdrowia jest parcie do przodu i rozwiązywanie pewnych kwestii.

Pan się jeszcze zgłaszał. Proszę bardzo.

**PRZEWODNICZĄCY  
STOWARZYSZENIA NBIA POLSKA  
MACIEJ CWYL**

Dziękuję, Pani Przewodnicząca.  
Ja tak w nawiązaniu do pani słów...



(Przewodnicząca Beata Małecka-Libera: Proszę się przedstawić.)

Maciej Cwył, stowarzyszenie NBIA Polska, stowarzyszenie pacjentów z neurodegeneracją związaną z akumulacją żelaza w mózgu. Jestem też ojcem córki, która miała postawioną diagnozę 5 lat temu, w wieku 9 lat, i dawano jej 3 lata do ciężkiej niepełnosprawności i śmierci. W tej chwili, po 5 latach, jeszcze do końca nie wie o swojej chorobie, funkcjonuje w miarę normalnie, siłą kilkorga... właściwie 2 pań profesor, które w tej chwili nas słuchają, i siłą stowarzyszenia. Nawiązuję do tych słów, które pani przewodnicząca powiedziała, że kupiliśmy prawie wszystko, a wciąż nie mamy nic. Bo mamy sporo agencji, mamy sporo instytucji, a wszystkie te badania, które robiliśmy, robiliśmy siłą stowarzyszenia, wysyłaliśmy komórki do Monachium, gdzie były robione fibroblasty i badania nad tą chorobą. Zbieramy pacjentów. Jak się okazuje, teraz w Polsce mamy populację, która stanowi mniej więcej 50% populacji światowej. Mamy polskie podstawowe geny, które za wspomnianą chorobę odpowiadają. I mamy w tej chwili program terapii eksperymentalnej oparty na krótkołańcuchowych kwasach tłuszczowych, prowadzony w Instytucie Psychiatrii i Neurologii w Warszawie – prof. Marta Skowrońska przysłuchuje się rozmowie – i w Lublinie, w szpitalu uniwersyteckim, tam zajmuje się tym prof. Magda Chrościńska-Krawczyk. I tutaj zapytuję o dostęp, faktyczny dostęp do terapii, nie leków, ale terapii, powiązanych z oceną kliniczną, badaniami klinicznymi i badaniami podstawowymi. W tej chwili złożyliśmy kolejny wniosek, wspólnie z instytutem im. Nenckiego Polskiej Akademii Nauk w Warszawie, z Instytutem Psychiatrii i Neurologii w Warszawie, drugi wniosek złożyli prof. Magda Chrościńska i prof. Węgrzyn z Gdańska, a wszystkie wcześniejsze wnioski o wprowadzenie terapii nie zostały przez Agencję Badań Medycznych przyjęte. I nasze interpelacje też nie zostały przyjęte. I tutaj też nieprawda, że to wymaga nie wiadomo jakich środków, bo to były wnioski na poziomie 1 miliona 400 tysięcy zł na wprowadzenie tego leczenia dla dzieci, dla pacjentów. Dziękuję.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję. Bardzo ważny głos.

Jeszcze pan, pani... Ale będziemy naprawdę zmierzać do końca, dlatego że mamy salę do godziny 15.00, a chciałabym, żebyśmy jeszcze zobaczyli film, który pani tutaj... Tak więc proszę krótkie wypowiedzi.

Proszę bardzo.

(Konsultant Krajowy w Dziedzinie Chorób Płuc Halina Batura-Gabryel: Halina Batura-Gabryel, konsultant krajowy w dziedzinie...)

Przepraszam, ja pani za chwilę udzielię głosu, dobrze? Za chwilę pani udzielię.

(Konsultant Krajowy w Dziedzinie Chorób Płuc Halina Batura-Gabryel: Dobrze, dobrze.)

**PRZEDSTAWICIELKA RUCHU  
„2000 POWODÓW”  
MAŁGORZATA ŁABUŚ**

Małgorzata Łabuś. Ja reprezentuję ruch „2000 Powodów”. Jest to nieformalna organizacja, która zrzesza rodziców dzieci chorych na mukowiscydozę oraz chorych dorosłych. Prywatnie jestem lekarzem. Mam również 14-letnią córkę, Wandę, z którą przez tyle lat mierzyliśmy się z chorobą, która miała mieć swój koniec. Z uwagi na to, że stan Wandy bardzo się pogorszył, musiałyśmy, tak jak tutaj kolega wspomniał, zacząć ściągać w internecie. Wanda jest jednym z tych dzieci, które miały szczęście skosztować tych leków, o których była mowa. Zmiana w jej funkcjonowaniu jest diametralna, z dziecka zahukanego, zamkniętego w domu, pałającego się tylko po szpitalnych oddziałach stała się pełnowartościową nastolatką. Ona się jeszcze uczy tego nowego życia. Bo to też nie jest, proszę państwa, takie proste. I trudno mi wyobrazić sobie, że mam jej powiedzieć, że pieniędzy, funduszy ze zbiórki zabraknie. Trudno mi sobie wyobrazić tę rozmowę z nią. Tak więc gorąco, serdecznie, bardzo proszę was wszystkich tutaj, niezależnie od barwy politycznej, o to, żeby wspólnie, wspólnymi siłami pozytywnie zakończyć sprawę refundacji, żeby ona stała się faktem.

Chciałabym jeszcze nadmienić, że zgodnie z art. 68 polskiej konstytucji każdy obywatel naszego kraju ma prawo do ochrony zdrowia. Obywatelom, niezależnie od ich sytuacji materialnej, władze publiczne zapewniają równy dostęp do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanej ze środków publicznych. Władze publiczne są obowiązane do zapewnienia szczególnej opieki

zdrowotnej dzieciom, kobietom ciężarnym, osobom niepełnosprawnym i osobom w podeszłym wieku. Bardzo chcemy, by prawa chorych były realizowane zgodnie z tym zapisem. Tym bardziej że akurat w przypadku choroby, o której tu mowa, mamy leki, które ją odwracają i pozwalają chorym funkcjonować w społeczeństwie normalnie, tak jak funkcjonują inni ludzie. Mam nadzieję, że to się uda.

Chciałabym jeszcze nadmienić, że bardzo istotne jest to, żeby te decyzje były podjęte jak najszybciej. Nasze dzieci generalnie nie mogą czekać, niektóre naprawdę nie mogą czekać. I szybka decyzja wiązałaby się również z tym, że zmniejszymy liczbę zaostrzeń wśród tych pacjentów, zmniejszymy liczbę hospitalizacji i antybiotykoterapii, ale również przeszczepów płuc, które gdzieś tam ciąży nad każdym pacjentem. Jest to ogromne obciążenie finansowe, dla państwa również. I musimy pamiętać, że w kolejce do przeszczepów są nie tylko dzieci z mukowiscydozą, lecz także coraz więcej pacjentów po COVID-19. Tak więc tutaj dajemy nam szansę na życie również im. Będę wdzięczna za to wszystko i za pozytywny koniec.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję pani.

Tak, to są właśnie te emocje. Bo tu mówimy o pieniądzach, o potrzebach, o wyzwaniach, a pani tutaj mówi o życiu i o konkretnym przypadku. Tak więc rzeczywiście doskonale rozumiem pani sytuację, to, w jakiej sytuacji znajduje się pani dziecko. I dla mnie osobiście te wszystkie zbiórki, które są w internecie, no, są ciemną stroną naszego systemu, one nie powinny się zdarzać, powinniśmy jednak mieć pieniądze i mieć możliwość finansowania tych wszystkich działań, których potrzebę tutaj widzimy i które dają szansę przede wszystkim na dalsze życie, w miarę komfortowe. I rzeczywiście, te leki przyczynowe dają tę szansę i gwarancję.

Mam na liście jeszcze 2 osoby i na tym będzie koniec. Pan... I jeszcze są 2 osoby zdalnie. Może jeszcze na razie panu oddam głos, a później 2 panie zdalnie i będę zamykała dyskusję.

Proszę bardzo. Proszę się przedstawić.

**PRZEDSTAWICIEL FUNDACJI  
„ODDECH ŻYCIA”  
ANDRZEJ OPOLSKI**

Witam serdecznie. Nazywam się ks. Andrzej Opolski. Jestem prawosławnym kapłanem, jedynym w Polsce, który ma dziecko chore na mukowiscydozę. Większość z tego grona zna mnie bardzo dobrze. Reprezentuję dzisiaj Fundację „Oddech Życia”.

Bardzo dużo zostało powiedziane. Tylko jeden prelegent dziś powiedział bardzo ważną rzecz, którą niby wszyscy wiemy, a która ucieka. Tak jak tu pan profesor powiedział, to jest czas. Nie mamy tego czasu. Absolutnie tego czasu nie mamy. Wiemy dobrze, że chociaż jesteśmy zdrowi, to jutro możemy się przewrócić i każdemu z nas jutro mogą kopać grób.

To wszystko, te rozwiązania, które do dzisiaj się pojawiły, są genialne. Bo kiedy moja Zuzia przyszła na świat 14 lat temu, to, tak jak Przemek powiedział, nie było absolutnie żadnej nadziei. Nam w klinice, w Białymstoku powiedziano, w przenośni: jedźcie do domu, kupcie trumnę i czekajcie na to, na co czekacie. Książd sobie sam pochowa córkę. Dosłownie. Ja w pewnym momencie patrzyłem w stronę cmentarza... Ale przyjechaliśmy do Warszawy, do centrum zdrowia, gdzie spotkaliśmy pięknych, mądrych ludzi. Później byliśmy w Rabce, trafiliśmy na końcu pod skrzydła pani prof. Sands, tutaj obecnej. Absolutnie, na podstawie swojej praktyki mogę potwierdzić i powiedzieć, że jest to najlepsza klinika w Polsce, o największym zasięgu i jakości w ogóle. Cały zespół wielodyscyplinarny itd. Ale o tym już było dzisiaj mówione.

Czyli czas. Moja Zuzia ma 14 lat. W skali mediana wieku osób chorych na mukowiscydozę w Polsce to jest pół życia. Albo ponad. I mamy naprzeciwko siebie 2 przeciwników: mamy mukowiscydozę, która jest krok przed nami, i mamy, nie wstydzę się tego powiedzieć, bardzo oportunistyczną firmę, polski oddział producenta. Niestety, jest to – ja mówię na podstawie swego doświadczenia, wielu rozmów, na wielu płaszczyznach – firma bardzo oportunistyczna. I ja upatruję w tej kwestii tylko pomocy Boskiej i działania ministerstwa. Ja wiem i wierzę, i modlę się codziennie... Pan minister o tym wie, i ja wiem, że pan minister jest w stanie tego dokonać. I należy, w moim mniemaniu, zacząć inny taniec z tymi państwem, dlatego że pomimo

dobra, jakie mają, czyli leku przyczynowego, który zmienił wszystko w życiu naszej Zuzi, bo dzisiaj, gdyby nie zostało... Zuzia jest dzieckiem, które najdłużej w Polsce bierze ten lek, dzieckiem, które najwcześniej zaczęło go brać. Pani profesor zna stan kliniczny Zuzi. Do dnia dzisiejszego na pewno bylibyśmy w dużo, dużo gorszym stanie. Dzisiaj nie mamy czasu. Ja mówię o sobie, o mukowiscydozie, ale również o innych przypadkach innych chorób rzadkich. Dzisiaj – wróć do mukowiscydozy – oglądam film mamy, która ma 28 lat, nie pamiętam, jak się nazywa, urodziła dziecko, ono ma kilka lat i ona mówi, że chce żyć, nie dla siebie, dla dziecka chce żyć. I dzisiaj my mamy to na wyciągnięcie ręki, mamy genialny produkt, który się nazywa Fundusz Medyczny, mamy cudownych ludzi... Wtedy, gdy się Zuzia urodziła, nie było z kim rozmawiać, to jest moje zdanie, nie było z kim rozmawiać. Kiedy szedłem do ministerstwa na rozmowy, to się we mnie pojawiały takie myśli: Boże, ale jak tu rozmawiać z tym człowiekiem, z tym ministrem czy z tym jakimś urzędnikiem? A dzisiaj po drugiej stronie stołu siedzi minister, który absolutnie jest partnerem. Byliśmy na posiedzeniu komisji Sejmu kilka miesięcy temu, ciepło nas objęła pani poseł Dziuk czy inni, mogę wymienić z nazwiska wielu ludzi. I dzisiaj mamy 2 przeciwników. Nawet nie system. Mamy przeciwnika w postaci choroby, a drugim przeciwnikiem jest oportunistyczna firma, którą należy absolutnie złamać. I narzędzia do tego są po waszej stronie. My oczywiście uczynimy absolutnie wszystko, ponieważ polityka firmy jest... Dobrze, ona ratuje życie i zdrowie, ale polityka firmy to jest przede wszystkim niestety... Wiadomo, o co chodzi. Jak nie wiadomo, o co chodzi, to chodzi o pieniądze.

Od walki z pierwszym przeciwnikiem są lekarze, są kliniki, są wszystkie ośrodki, można by dużo na ten temat mówić. Ale właśnie zaznaczono, że nie mamy tyle czasu. Tak więc podkreśliłam ten czas, czas życia i czas, jaki mamy na walkę. I dzisiaj, jeżeli my słyszymy, że odwleka się ta refundacja, to... Mili Państwo, do marca, do kwietnia, czy do kiedyś umrze ileś osób chorych na mukowiscydozę. Za chwilę to zobaczymy. Umrze ileś osób chorych na mukowiscydozę.

Ja mógłbym mówić jeszcze naprawdę wiele godzin, mam taki dar i też zawodowo to robię. Tak więc naprawdę niski ukłon mój, rodzica,

kapłana i człowieka dla pracy lekarzy, dla pracy ministerstwa, szczególnie dla pracy pana ministra Miłkowskiego. Dlatego że absolutnie, tak jak pan Przemek powiedział, żaden inny wcześniej nie dokonał tyle i nie wprowadził tylu refundacji co pan minister Miłkowski. I dlatego... Czas, Mili Państwo.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo.

Zdalnie prosiła o głos pani Janiszewska-Kajka z Ministerstwa Zdrowia.

Proszę.

**ZASTĘPCA DYREKTORA  
DEPARTAMENTU LECZNICTWA  
W MINISTERSTWIE ZDROWIA  
DOMINIKA JANISZEWSKA-KAJKA**

Dzień dobry państwu.

Szanowni Państwo, ja chciałabym się odnieść tutaj do państwa stwierdzeń i apelu pana prezesa o szybszą realizację planu dla chorób rzadkich, który to przypadnie nam w udziale procedować. Powiem państwu tak: plan rzeczywiście został zaprojektowany w ten sposób, żeby ułożyć opiekę nad pacjentem na przestrzeni tych 2 najbliższych lat, ponieważ mamy już koniec 2021 r. I plan rzeczywiście ma charakter bardzo operacyjny. Pewne rzeczy już się zadziały, dzięki panu ministrowi zmienione zostało rozporządzenie w sprawie priorytetów, choroby rzadkie zostały uznane za priorytet pana ministra. To jest pierwsza kwestia. Jesteśmy w trakcie powoływania 3 zespołów, które będą składały się głównie z ekspertów, którzy opracowywali plan dla chorób rzadkich, i to te osoby będą uczestniczyły w określaniu regulacji dotyczących właśnie tych kluczowych 6 obszarów, o których również pan minister wspominał. Rozpoczęliśmy również prace z Centrum e-Zdrowia odnoszące się do działania dotyczącego powołania rejestru chorób rzadkich, który by właśnie identyfikował wszystkie te choroby, które są powszechnie uznane za choroby rzadkie. To jest zadanie bardzo trudne, pod względem infrastrukturalnym, ale również pod względem pewnych założeń. I te zadania zostały już zainicjowane 2 miesiące

temu. Rozpoczęliśmy również prace nad dodaniem do wykazu świadczeń gwarantowanych nowych procedur diagnostycznych, o które środowisko postulowało.

*(Zakłócenia w trakcie wypowiedzi)*

...współpracujemy, wspólnie z konsultantem krajowym do spraw genetyki, który również był członkiem zespołu do spraw chorób rzadkich, aby jak najszybciej te nowoczesne badania diagnostyczne znalazły się w koszyku świadczeń. Przed nami również decyzje dotyczące taryfikacji tych świadczeń, bo, jak wiemy, to są badania bardzo kosztochłonne. To też jest na dalszym etapie realizacji planu.

I tak podsumowując, bo wiem, że jest mało czasu: 38 zadań jest podzielonych na poszczególne poddziałania. I tutaj są przypisane jednostki, na czele z Ministerstwem Zdrowia. Jednostki podległe, które współpracują z nami, są przypisane do realizacji poszczególnych zadań. Tak że plan został rozłożony na w sumie 2 lata i 3 miesiące, czyli krócej, niż zakładaliśmy. Bo zakładaliśmy jednak przynajmniej 2,5 roku na realizację tych zadań. Ale jeszcze, jak myślę, wychodząc tutaj naprzeciw żądaniom, głównie środowiska pacjentów, niebawem przyspieszymy prace dotyczące paszportu i platformy. A są już takie plany, aby po 2023 r. działania nie dotyczyły tylko i wyłącznie świadczeń, czy to diagnostycznych, czy tej ścieżki klinicznej pacjenta, ale będziemy starali się zaopiekować pacjentem również w kontekście jego społecznej obecności, obecności i funkcjonowania pacjenta, który jest pacjentem pracującym, uczącym się. Myślimy również o rodzinie takiego pacjenta. Myślę, że pewnym rozwiązaniem, dobrym rozwiązaniem będzie tutaj właśnie platforma, która będzie dla takiej społeczności miejscem wymiany informacji, międzynarodowej informacji, identyfikowania, liczenia się pacjentów, którzy się mierzą z tymi chorobami. I, jak myślę, jak na razie realizacja tego planu przebiega bez większych zakłóceń. Mieliśmy pewien problem, który był spowodowany opóźnieniem publikacji tego planu, ale z uwagi na obszerność tego dokumentu, niestety, publikacja samej uchwały zajęła troszkę czasu Rządowemu Centrum Legislacji. Niemniej jednak bardzo się cieszymy, że to idzie w sumie zgodnie z harmonogramem. I czekamy też na pewne rozwiązania i decyzje pana ministra odnośnie do zakwalifikowania ośrodków eksperckich. Bo to też jest jeden z najistotniejszych

czynników tego naszego narodowego planu dla chorób rzadkich. Dziękuję bardzo.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo.

I ostatnia osoba w dyskusji, pani Halina Batura-Gabryel. Proszę się przedstawić.

**KONSULTANT KRAJOWY  
W DZIEDZINIE CHORÓB PŁUC  
HALINA BATURA-GABRYEL**

Dzień dobry państwu.

Jestem konsultantem krajowym w dziedzinie chorób płuc i chciałabym, abyśmy nie zapominali przy tych wszystkich działaniach... Tu, w ramach tej wielkiej dyskusji troszkę mało było informacji i dyskusji na temat dorosłych chorych z mukowiscydozą. Jest to wielki problem, bo o ile ośrodki dla dzieci są, jest ich dużo i są dobrze zorganizowane, o tyle ośrodków dla osób dorosłych jest za mało. I wtedy narasta problem mukowiscydozy, po ukończeniu przez dzieci osiemnastego roku życia. Tak że ja bym tak bardzo prosiła, żeby większą uwagę zwrócić na osoby dorosłe, czyli te dzieci, które dorosły, dożyły, dzięki staraniom pediatrów, wieku dorosłego. Żebyśmy też o tych dzieciach pamiętali. Dziękuję bardzo.

**PRZEWODNICZĄCA  
BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Dziękuję bardzo.

Szanowni Państwo, po tej dyskusji chcę jasno powiedzieć, że stanowisko nasze, Komisji Zdrowia, będzie takie oto, że, po pierwsze, będziemy bardzo wnikliwie przyglądać się realizacji tego planu. Pani reprezentująca Ministerstwo Zdrowia mówiła, że on przebiega bez zakłóceń, że zaczyna nabierać tempa. I oby tak było. Będziemy pewnie sukcesywnie pytać pana ministra o realizację poszczególnych etapów.

Po drugie, kwestia dotycząca także organizacji... To, co padło na końcu: że rzeczywiście skupiliśmy się tutaj głównie na dzieciach, a problem dotyczący organizacji opieki dla pacjentów dorosłych również jest wyzwaniem. I jestem przekonana, mam nadzieję, że tak jest, że ten plan dla

chorób rzadkich będzie swoim zasięgiem obejmował także wspomnianą grupę.

Po trzecie... Jasne, ja bardzo rozumiem te wszystkie państwa emocje, sama też jestem lekarzem i myślę, że po to właśnie robimy tego typu posiedzenia informacyjne, gdzie dyskutujemy o różnych kwestiach, aby łączyć siły. Wiemy, że tego czasu rzeczywiście z państwa punktu widzenia nie ma. Z drugiej strony, jak rozumiem, pan minister stanął przed ścianą. Jest kwestia popychania sprawy do przodu jak najszybciej. Jednym z takich elementów, o których jeszcze nie mówiliśmy, są media. To także jest duża siła nacisku. I mam nadzieję – a wiem, że dzisiaj również media są z nami – że będziemy wspólnie podejmować ten wysiłek, aby rozwiązywać kwestie nie tylko organizacyjne, lecz także refundacyjne, o których tutaj mówiliśmy.

Na zakończenie proszę o ten film, który pani chciała nam przedstawić.

I bardzo dziękuję państwu za obecność, za wszystkie uwagi, także panu ministrowi za przedstawienie tego planu, za szczere wypowiedzi, w których pan powiedział, jak wygląda kwestia refundacji i rozmów z firmą.

Jutro jest kolejne posiedzenie Komisji Zdrowia, gdzie będziemy mówić na temat realizacji Funduszu Medycznego. Myślę, że m.in. dzisiejszy temat, czyli kwestia refundacji tych innowacyjnych leków, po raz kolejny wypłynie, tym bardziej że za Fundusz Medyczny odpowiada inny minister. Będzie on jutro opowiadał o realizacji tego funduszu. Tak więc zachęcam państwa do śledzenia także tego wydarzenia w dniu jutrzejszym.

Bardzo wszystkim państwu dziękuję za obecność.

Proszę bardzo.

*(Projekcja filmu)*

PRZEWODNICZĄCA

**BEATA MAŁECKA-LIBERA**

Po tym filmie, jak myślę, każde słowo jest zbędne.

Bardzo dziękuję państwu za przyjazd, za przedstawienie tych wszystkich kwestii. Bardzo dziękuję.

Zamykam posiedzenie komisji.

*(Koniec posiedzenia o godzinie 14 minut 53)*

**Kancelaria Senatu**

Opracowanie:

Biuro Prac Senackich, Dział Stenogramów

Druk i łamanie:

Centrum Informacyjne Senatu, Dział Wydawniczy