

X kadencja



KANCELARIA SEJMU

Biuro Komisji Sejmowych

PEŁNY ZAPIS PRZEBIEGU POSIEDZENIA

■ **PODKOMISJI STAŁEJ**
DO SPRAW ONKOLOGII
(NR 22)
z dnia 26 lutego 2026 r.

Komisja
Zdrowia

Pełny zapis przebiegu posiedzenia Komisji Zdrowia – podkomisji stałej do spraw onkologii (nr 22)

26 lutego 2026 r.

Podkomisja stała do spraw onkologii, obradująca pod przewodnictwem posła **Marka Tomasza Hoka (KO)**, przewodniczącego podkomisji, rozpatrzyła:

- **informację na temat dostępności technologii zaawansowanych oraz rozwoju technologii CAR-T w ramach projektów finansowanych przez Agencję Badań Medycznych.**

W posiedzeniu udział wzięli: **Katarzyna Galas** zastępca dyrektora Departamentu Nadzoru i Kontroli Ministerstwa Zdrowia oraz **Martyna Kosmał** zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji MZ ze współpracownikami, **Marzanna Bieńkowska** zastępca dyrektora Departamentu Współpracy Biura Rzecznika Praw Pacjenta, **Ireneusz Staroń** zastępca prezesa ds. finansowania badań Agencji Badań Medycznych ze współpracownikiem, **Justyna Marynowska** kierownik Zakładu Medycyny Regeneracyjnej Narodowego Instytutu Onkologii – Państwowego Instytutu Badawczego im. Marii Skłodowskiej-Curie oraz **Joanna Romejko-Jarosińska** kierownik Kliniki Nowotworów Układu Chłonnego NIO – PIB im. Marii Skłodowskiej-Curie, **Artur Kowalik** kierownik Zakładu Diagnostyki Molekularnej Świętokrzyskiego Centrum Onkologii, **Dorota Korycińska** prezes zarządu Ogólnopolskiej Federacji Onkologicznej, **Anna Jasińska** rzecznik Medycznej Racji Stanu, **Aleksandra Rudnicka** rzecznik Stowarzyszenia Onkologicznego SANITAS, **Katarzyna Lisowska** liderka Stowarzyszenia Chorych na Nowotwory Krwi i Ich Bliskich Hematoonkologiczni, **Krzysztof Brzózka** ekspert Mazowieckiego Związku Stowarzyszeń Abstynenckich, **Marek Wleklik** ekspert Izby Gospodarczej „Farmacja Polska” oraz **Tomasz Tykocki** neurochirurg w Oddziale Neurochirurgii Dziecięcej Instytutu Psychiatrii i Neurologii.

W posiedzeniu udział wzięli pracownicy Kancelarii Sejmu: **Julia Rychter** oraz **Małgorzata Siedlecka-Nowak** – z sekretariatu Komisji w Biurze Komisji Sejmowych.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Szanowni państwo, otwieram posiedzenie podkomisji stałej do spraw onkologii.

Witam członków podkomisji i zaproszonych gości.

Stwierdzam kworum.

Porządek dzisiejszego posiedzenia przewiduje rozpatrzenie informacji na temat dostępności technologii zaawansowanych oraz rozwoju technologii CAR-T w ramach projektów finansowanych przez Agencję Badań Medycznych. Ten materiał będą prezentować przedstawiciele Ministerstwa Zdrowia oraz prezes Agencji Badań Medycznych.

Szanowni państwo, terapia CAR-T to bardzo nowoczesna metoda leczenia nowotworów, zwłaszcza w hematoonkologii, z wykorzystaniem oczywiście układu odpornościowego jako narzędzia do diagnostyki i do leczenia przy pomocy komórek odpornościowych limfocytów typu T, które pobierane są wraz z krwią. Później są modyfikowane genetycznie, namnażane, ponownie wprowadzone do organizmu. To jest terapia, która od 30 lat jest budowana. Ostatnie lata to coraz bardziej efektywne wyniki stosowania tego.

Wiem, że materiały są dla państwa dostępne na iPadach oraz w druku. Jeżeli państwo na sali chciałoby również skorzystać, to są u pani z sekretariatu naszej podkomisji.

Proszę państwa, powoli zaczniemy realizację porządku dziennego. Jeszcze raz informuję, że materiały zostały wysłane do wszystkich państwa posłów. Informuję jednocześnie, że minister zdrowia upoważniła do reprezentowania stanowiska ministra panią Katarzynę Galas, zastępcę dyrektora Departamentu Nadzoru i Kontroli w Ministerstwie Zdrowia, oraz panią Martynę Kosmał, zastępcę dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji w Ministerstwie Zdrowia. Agencję Badań Medycznych reprezentuje pan Ireneusz Staroń, zastępca prezesa do spraw finansowania badań w ABM.

Tak więc przystępujemy do realizacji porządku dziennego.

Bardzo proszę przedstawiciela Ministerstwa Zdrowia o przedstawienie informacji.

Zastępca dyrektora Departamentu Nadzoru i Kontroli Ministerstwa Zdrowia Katarzyna Galas:

Dziękuję bardzo.

Szanowny panie przewodniczący, szanowni państwo, materiały dla Komisji Zdrowia, to znaczny informację na temat dostępności technologii zaawansowanych oraz rozwoju technologii CAR-T w ramach projektów finansowanych przez ABM, wysłaliśmy mailowo do państwa 6 lutego tego roku, w związku z tym nie będę tutaj odczytywała całego tego materiału. Przedstawię jedynie podsumowanie najważniejszych informacji zawartych w tych materiałach.

Terapie zaawansowane, znane jako produkty lecznicze terapii zaawansowanej, to innowacyjne leki oparte na genach, komórkach lub tkankach. Terapie te stanowią odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby medyczne, między innymi w obszarze onkologii oraz chorób rzadkich.

W tym miejscu wtrącenia wymaga, że choroba rzadka to choroba, która występuje z częstością niższą niż 1 na 2 tys. osób i chociaż każda z chorób rzadkich występuje naprawdę rzadko, to jednak relatywnie duża liczba sprawia, że dotyczą one 6–8% populacji. Według bardzo szacunkowych danych w Polsce są około 2–3 mln osób chorujących na te choroby.

Agencja Badań Medycznych, śledząc globalne trendy w tym zakresie, ogłosiła konkursy zarówno na niekomercyjne, jak i komercyjne badania kliniczne dedykowane rozwojowi terapii zaawansowanych. W ramach niekomercyjnych badań klinicznych nakierowanych na rozwój produktów leczniczych terapii zaawansowanej, ABM finansuje projekty ukierunkowane na opracowanie nowych terapii, takich jak terapie komórkowe – komórki CAR-T – wykorzystywane w leczeniu onkologicznym.

Realizowane przez beneficjentów projekty dotyczą wykorzystania tych zaawansowanych technologii zarówno w onkologii, jak i we wskazaniach innych niż onkologiczne. Wśród wskazań onkologicznych szczególnego podkreślenia wymaga badanie CARMEN. Chciałabym wskazać, że celem tego badania jest ocena wykonalności oraz użyteczności klinicznej limfocytów CAR-T anty-CD19 dostępnych jako produkt wytwarzany lokalnie w Regionalnym Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa w Poznaniu. Badanie jest prowadzone u dorosłych chorych z nawrotowymi/opornymi chłoniakami nieziarniczymi z limfocytów B.

Projekt obejmuje populację o najwyższych niezaspokojonych potrzebach klinicznych, a jednocześnie opiera się na metodzie leczenia, która, zgodnie z danymi literaturowymi, zapewnia najwyższe odsetki odpowiedzi w tej grupie chorych. Projekt z perspektywy naukowej, klinicznej, a także systemowej, charakteryzuje się wysoką innowacyjnością. Należy w tym miejscu podkreślić, że w projekcie podano pierwsze w Polsce wytworzone niekomercyjnie komórki CAR-T w terapii chłoniaka, co zostało odnotowane jako wydarzenie przełomowe dla całego systemu ochrony zdrowia. Produkcja komórek trwa 14 dni, a cała procedura od pobrania komórek od pacjenta do ich ponownego podania 21 dni.

Badania niekomercyjne zakładające podanie produktów leczniczych terapii zaawansowanych we wskazaniach innych niż onkologiczne, które również są prowadzone – konkursy zostały ogłoszone przez ABM – to między innymi: badanie FootCell dotyczące leczenia przewlekłych ran w zespole stopy cukrzycowej; badanie dotyczące oceny wpływu komórek MSC, to znaczny komórek znajdujących się w pępowinie, w leczeniu zwłókniających śródmiąższowych chorób płuc, a także projekt porównujący skuteczność auto- i allogenicznym mezenchymalnych komórek stromalnych w gojeniu przetok odbytu powstałych w przebiegu choroby Leśniowskiego i Crohna.

Należy w tym miejscu podkreślić, że w celu poprawy bezpieczeństwa biotechnologicznego ABM wsparła również przedsiębiorców działających na terenie kraju. Wsparła ich w rozwoju ich działalności w kontekście opracowania innowacyjnych rozwiązań opartych na nowych cząsteczkach. Wyłonione do dofinansowania projekty komercyjne dotyczą między innymi terapii zaawansowanych i leków biologicznych, a ich celem jest zwiększenie dostępności innowacyjnych terapii dla pacjentów onkologicznych. W tym zakresie można wymienić projekty, takie jak opracowanie produktu leczniczego dla terapii nawrotowych i opornych postaci szpiczaka plazmocytozy, a także opracowanie terapii celowanej genowej *ex-vivo* allogenicznym limfocytów efektorowych z krwi pępowinowej w leczeniu chorób nowotworowych układu krwiotwórczego. We wskazaniach innych niż onkologiczne należy przytoczyć projekt dotyczący przełomowej terapii składającej się między innymi z namnożonych limfocytów regulatorowych, stosowanej u dzieci z rozpoznaniem cukrzycy przedobjawowej, która będzie mogła prowadzić nie tylko do spowolnienia, lecz nawet do zatrzymania procesu zaburzenia układu immunologicznego.

Ponadto Agencja Badań Medycznych finansuje projekty skupiające się na rozwoju leków biologicznych, czyli produktów leczniczych wytwarzanych metodami biotechnologicznymi z żywych organizmów, komórek, bakterii lub drożdży, zawierających substancje czynne. W tym miejscu chciałabym wskazać między innymi: projekty dotyczące opracowania innowacyjnego celowanego produktu leczniczego, który ma służyć do celowanej terapii genowej dla pacjentów z guzami litymi; badanie kliniczne pierwszej fazy funkcyjnego białka o dualnym mechanizmie przeciwnowotworowym, który mógłby potencjalnie być wykorzystywany w szczególności w leczeniu guzów układu pokarmowego; projekt, którego celem jest rozwój nowej strategii leczenia ostrej białaczki szpikowej u pacjentów z nawrotową/oporną na leczenie ostrą białaczką szpikową, a także projekt, w ramach którego rozwijane jest przeciwciało anti-CD89 w leczeniu choroby rzadkiej linijnej IgA dermatozy pęcherzowej. Przeciwciało to potencjalnie mogłoby być stosowane także u pacjentów z wieloma innymi chorobami autoimmunologicznymi, m.in. reumatoidalnym zapaleniem stawów, chorobą Crohna, a także łuszczycą. Dziękuję bardzo.

Oddaję głos panu przewodniczącemu i ewentualnie, jeżeli pan przewodniczący by się zgodził, to również panu Ireneuszowi Staronowi pełniącemu obowiązki prezesa Agencji Badań Medycznych.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo pani dyrektor. Oczywiście, pana prezesa zaprosiliśmy, żeby przedstawił informację. Panie prezesie, bardzo proszę.

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań Agencji Badań Medycznych Ireneusz Staron:

Dzień dobry państwu. Bardzo dziękuję za zaproszenie.

Ministerstwo Zdrowia przedstawiło bardzo szczegółową informację na temat projektów finansowanych przez Agencję Badań Medycznych. To co ja mogę dodać, to trochę liczb, dlatego że tych projektów rozwijających technologie CAR-T mamy sześć, w tym dwa realizowane są ze środków Krajowego Planu Odbudowy. Łączna wartość tego wsparcia w ramach zakontraktowanych umów to jest 276 mln zł. Cztery projekty obejmują badania kliniczne z udziałem pacjentów. Łącznie planowane jest objęcie nimi 104 osób. Ze względu na pewien porządek i na to, że jest transkrypcja tego spotkania, to może przytoczę te projekty, które są finansowane i podam też kwoty, jakimi te projekty są objęte.

Pierwszy projekt to jest „Opracowanie produktu leczniczego opartego o modyfikowane genetycznie limfocyty T dla terapii nawrotowych i opornych postaci szpiczaka plazmocytozy: od produkcji wektora DNA z receptorem CAR po badania I/II fazy”. Tutaj beneficjentem jest Centrum Transferu Technologii Meditransfer, ale w konsorcjum z Dolnośląskim Centrum Onkologii, Pulmonologii i Hematologii we Wrocławiu oraz Instytutem Immunologii i Terapii Doświadczalnej PAN – kwota wsparcia ponad 51 mln. Planowana liczba uczestników to 40. Tutaj planujemy badanie kliniczne fazy I/II.

Drugi projekt. To jest projekt Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego. Mamy tutaj „Zastosowanie limfocytów CAR-T antiCD19 w leczeniu dorosłych chorych na nawrotową i oporną ostrą białaczkę limfoblastyczną”. Tutaj też mamy „Badanie kliniczne fazy I/II”. Kwota ponad 17 mln. Planowana liczba uczestników 20.

Kolejny projekt, to jest „Opracowanie celowanej terapii genowej *ex-vivo* allogenicznych limfocytów efektorowych z krwi pępowinowej w leczeniu chorób nowotworowych układu krwiotwórczego dla populacji Polski”. Kwota wsparcia to 20 mln, 14 uczestników – 14 pacjentów planowanych do włączenia.

Kolejny projekt to jest projekt Uniwersytetu Medycznego im. Piastów Śląskich we Wrocławiu. Tutaj mamy tytuł angielskojęzyczny „*Development of an optimal strategy for the production and administration of CAR-T lymphocytes in adults and children with B-cell non-Hodgkin lymphomas and acute lymphoblastic leukemia*”. Tak więc dwa wskazania. Kwota 15 mln, 30 uczestników.

I dwa projekty z KPO – zeszłoroczne rozdanie Krajowego Planu Odbudowy – „Immunoterapia adoptywna CAR-T w leczeniu przewodowego raka trzustki: przeprowadzenie fazy rozwojowej badanego produktu leczniczego terapii zaawansowanej”. Uniwersytet Jagielloński, Collegium Medicum. Kwota 11 mln. Tutaj mamy badania przedkliniczne.

Drugi projekt, „TACTIC – Terapie komórkowe TCR-T i TCR based CAR-T: nowe możliwości w leczeniu ostrej białaczki szpikowej”. Tutaj mamy Instytut Immunologii i Terapii Doświadczalnej PAN. Kwota 15 mln. Myślę, że na tym skończę.

Natomiast chciałbym podkreślić jeszcze jedną rzecz, którą zauważyliśmy podczas realizacji projektów. Pacjenci, którzy biorą udział w tych eksperymentalnych, innowacyjnych terapiach, w przypadku wykazania braku ich efektywności – wiemy, to jest cały czas eksperyment – nie mogą wrócić do programu lekowego i kontynuować leczenia w ramach programu lekowego. Być może to też jest temat do dyskusji, czy w przyszłości to nie będzie powodowało, że chęć wzięcia udziału w eksperymentalnej terapii będzie mniejsza. Bardzo dziękuję i jestem do państwa dyspozycji.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo, panie prezesie.

Otwieram dyskusję. Porządek przewiduje, że pierwszy głos mają parlamentarzyści, później oczywiście strona społeczna i eksperci.

Prosiła o głos pani profesor, pani poseł Chybička. Bardzo proszę, pani poseł.

Poseł Alicja Chybička (KO):

Dziękuję, panie przewodniczący.

Szanowni państwo, miło było słuchać tego, ile grantów opartych na terapii genowej, immunoterapii w Polsce w tej chwili się robi. Tak więc gratulacje dla Agencji Badań Medycznych, bo to jest na pewno bardzo potrzebne.

My byliśmy w Polsce pionierami jako klinika Przylądek Nadziei w terapii genowej CAR-T cells, która początkowo była robiona z pieniędzy zbieranych na ulicy. To znaczy, cała procedura była robiona w klinice, ale komórki pobrane od dziecka leciały do Ameryki, za co Stany Zjednoczone sobie życzyły 1,2 do 1,3 mln od każdego dziecka. Tak poszła dziesiątka dzieci, a teraz jest procedura. I to mnie właśnie zmroziło. Co to znaczy? Czy jeśli któreś z dzieci pójdzie pana grantem z Agencji Badań Medycznych i coś się nie uda, to już nie może mieć refundacji? Nie zrozumiałam zupełnie tego, co pan powiedział.

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań ABM Ireneusz Staroń:

Tak. Dokładnie tak jest.

Poseł Alicja Chybička (KO):

Naprawdę? Czyli, krótko mówiąc, sprawa jest do przemyślenia dla pana profesora Krzysztofa Kałwaka, który na pewno wie, co powinien robić, bo niestety u niektórych dzieci on powtarzał tę terapię, bo tak było trzeba. Pewnie państwo to wiedzą, bo ja już to mówiłam, że efektem zastosowania CAR-T cells jest to – jest refundacja dla tej procedury u dzieci w ostrej białaczce limfoblastycznej – że w roku 2023 Polska była w Europie pierwsza w *event-free survival*, czyli czasie przeżycia wolnym od zdarzeń. Tak się porównuje wyniki w poszczególnych krajach. A w roku 2024 była na miejscu pierwszym na świecie. To jest na pewno efekt tego, że właśnie Wrocław się podjął, na początku sam, bo teraz robi dla dzieci jeszcze Poznań i może jeszcze się dołączył któryś z ośrodków przeszczepowych dziecięcych, tego nie wiem, ale chodzi o to, że wszystkie 20 ośrodków na tyle współpracuje, że każdy, kto miał takie dziecko, to je przysłał i profesor Kałwak tę terapię genową zrobił. Dlatego te wyniki z takich, które już były wysokie, podniosły się o te dzieci, które były skazane na śmierć. Tak więc ja gratuluję i mam nadzieję, że to nie będzie tak...

Ja powiem państwu, że terapia genowa, która jest w SMA, jest terapią opartą na antysensach. Autorem antysensów jest między innymi, bo miał jeszcze współpracownika za granicą, profesor Stec z Łodzi, którego ja znam. Wyobraźcie sobie, nikt nie wdrożył tej procedury, żadna firma w Polsce. Jak pan widzi – to jest właśnie pytanie, które miałam na początku, bo to drugie to po państwa wypowiedzi mi się nasunęło – wdrożenie potem tego do życia, jeśli wyniki wyjdą pozytywnie, tak jak u profesora, który wymyślił te antysensy i prosił, błagał, latał... To było dawno i pamiętam, jak musiałam w Niemczech kupować antysensy dla jednego z dzieci, nie z SMA, tylko z inną chorobą, gdzie były wskazania do terapii. Też terapii genowej, tylko hamującej dany, niedobry gen.

Jak pan to widzi? Czy w ogóle myślicie o tym, żeby to znalazło implikację praktyczną? Teraz pan profesor Wróbel sam wyprodukował – to pan pewnie lepiej ode mnie wie – CAR-T cellsy dla dorosłego siedemdziesięcioparolatka, ale gdy skończy się ten grant, to co dalej.

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań ABM Ireneusz Staroń:

To ja powiem tak. Jeżeli już udało się doprowadzić do badania...

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Panie prezesie, ja pozwolę sobie mimo wszystko prowadzić to nasze spotkanie...

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań ABM Ireneusz Staroń:

Bardzo przepraszam, oczywiście. Myślałem, że to jest pytanie do mnie.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Bardzo proszę, głos ma pan prezes.

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań ABM Ireneusz Staroń:

Przepraszam jeszcze raz. Już odpowiadam.

Jeżeli udało się przygotować w ramach standardu dobrej praktyki wytwarzania (GMP) produkty lecznicze terapii zaawansowanej i podać pacjentom i pacjenci mają z tego korzyść, jest określona skuteczność, jest potwierdzone bezpieczeństwo, to od tego momentu do komercjalizacji, czyli do wprowadzenia tego w postaci produktu leczniczego na rynek, jest już naprawdę blisko. Myślę, że sukces chociażby CARMEN pokazuje, że ta komercjalizacja jest naprawdę bardzo na wyciągnięcie ręki, natomiast beneficjentem oczywiście jest jednostka, która prowadzi to badanie, a więc nie Agencja Badań Medycznych. My będziemy oczywiście wspierać jednostkę w kontekście dalszej komercjalizacji, rozwoju danej technologii i wydaje się nam, że to jest realne i oczywiście możliwe.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Pan poseł, pan doktor Czesław Hoc.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Dziękuję bardzo.

Oczywiście z wielką uwagą słuchaliśmy państwa i można odnieść wrażenie, że jest dobrze w tej naszej przełomowej, rewolucyjnej terapii, immunoterapii czy też tej technologii CAR-T cells. Natomiast jeżeli się orientuję – albo proszę mnie sprostować – w Polsce będzie około 16 ośrodków, które prowadzą tę terapię, między innymi nasz ośrodek Pomorskiego Uniwersytetu Medycznego, Klinika Hematologii i Transplantologii Szpiku w Szczecinie.

Ta terapia jest na świecie już od 2012 r. Po raz pierwszy została zrealizowana z wielkim powodzeniem u dziewczynki chorującej na ostrą białaczkę limfoblastyczną. W Polsce dopiero niedawno...

Właśnie, w 2020, i pani profesor mówi, że jesteśmy pierwsi w Europie w aspekcie tej terapii i technologii CAR-T. To byłoby świetnie, ale czy pan to potwierdza?

Po drugie, pamiętam, że jeszcze niedawno, żeby dokonać transformacji tych limfocytów, to wysyłano albo do Holandii, albo do Stanów Zjednoczonych. Cały koszt tej operacji, jak pani profesor wspomniała, to jest 1,3–1,5 mln zł i to jest refundowane w Polsce. Jednak dzieci z ostrą białaczką limfoblastyczną jest o wiele więcej, niż państwo podajecie, tym bardziej że jeszcze chłoniaki wchodzi w grę. Chłoniaki z dużych komórek, na przykład B, też są w tej terapii. Natomiast dotychczas szpiczak plazmocytowy chyba nie był w tej terapii, a państwo mówicie, że jest. Jeśli tak jest, to proszę mi to powiedzieć, bo wiem, że jeszcze kilka miesięcy temu kliniki albo eksperci upominali się o terapię CAR-T właśnie w szpinaku mnogim, w szpiczaku plazmocytowym. Jeśli tak jest, to fajnie. Natomiast jeśli chodzi o tak zwane pancerne CAR-T, które dotychczas często nie były stosowane w guzach litych, czy w Polsce ta innowacyjna terapia też już jest rozwijana albo może stosowana, bo odniosłem wrażenie, że naprawdę tutaj dużo się robi, ale czy w praktyce tak jest, jak państwo tutaj mówicie?

Co tu sobie zapisałam jeszcze? Aha, zrozumiałem, że już chyba nie wysyłacie do Stanów Zjednoczonych ani do Holandii, ani do Niemiec, bo produkt jest już lokalnie w Poznaniu i Wrocławiu. Czy to jest prawda? Czyli w takim razie obniżyliście koszty tej refundacji... To znaczy, refundacji może nie, ale czy obniżył się w takim razie koszt, jeśli robimy to w Polsce, a nie wysyłamy już za granicę? To jest bardzo istotna informacja. Proszę to potwierdzić, bo byłoby to bardzo pozytywnie odebrane przez nas i myślę, że przez cały świat naukowy. Chodzi o ekspertów i całą medycynę. Dziękuję na razie.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo. Według mojej wiedzy, w Polsce pacjentowi po raz pierwszy tę terapię CAR-T opracowano i wyprodukowano w Poznaniu chyba w 2025 r.

Czy ktoś z państwa mógłby panu posłowi odpowiedzieć na pytania? To bardzo proszę.

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań ABM Ireneusz Staroń:

W związku z tym, że pan poseł kierował do mnie te pytania, jak rozumiem, to ja tylko potwierdzę, że Agencja Badań Medycznych finansuje eksperymenty medyczne, niekomercyjne badania kliniczne i komercyjne badania kliniczne, więc my nie finansujemy, nie zajmujemy się refundacją produktów leczniczych. Mamy informacje, że kilka produktów leczniczych jest w refundacji w programach lekowych, natomiast tutaj kieruję swoją uwagę do reprezentantek Ministerstwa Zdrowia.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Bardzo proszę przedstawić się do mikrofonu do protokołu. Dobrze?

Zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji Ministerstwa Zdrowia Martyna Kosmal:

Panie przewodniczący, szanowni państwo, Martyna Kosmal, zastępca dyrektora Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji. Z uwagi na to, że my jesteśmy odpowiedzialni za refundację systemową, zarówno za ratunkowy dostęp do technologii lekowej (RDTL), jak i to, że powstaje nowy subfundusz, który miałby finansować u dzieci terapię zaawansowaną, to może pokrótce, tytułem uzupełnienia wiedzy, przekazać jeszcze kilka informacji w tym zakresie.

Jeżeli chodzi o ratunkowy dostęp do technologii lekowej, to oczywiście możliwe jest takie finansowanie leków niepodlegających finansowaniu ze środków publicznych w danym wskazaniu na potrzeby pacjentów, u których w toku dotychczasowego leczenia zostały wyczerpane już wszystkie metody lecznicze. Ta terapia również musi być dopuszczona do obrotu na terytorium Polski lub pozostawać w obrocie. Ten produkt musi być dostępny na rynku, jak również musi się nie znajdować na liście niepodlegających terapii finansowanych w ramach RDTL, która jest publikowana przez ministra zdrowia.

Możliwość ubiegania się o finansowanie leków w ramach RDTL dotyczy obecnie szpitali trzeciego stopnia oraz szpitali ogólnopolskich onkologicznych, pulmonologicznych oraz dziecięcych. Oczywiście warunkiem uzyskania zgody na finansowanie leku w ramach RDTL jest uzyskanie przez świadczeniodawcę opinii konsultanta wojewódzkiego lub konsultanta krajowego w dziedzinie medycyny właściwej ze względu na chorobę pacjenta. Tutaj podkreślenia wymaga fakt, że w ramach RDTL nie są finansowane żadne produkty lecznicze wykorzystujące technologie CAR-T. Brak zgód w latach od 2021 r. do 2025.

Przechodząc natomiast do refundacji systemowej, czyli nie tej indywidualnej na pacjenta, tylko dotyczącej wszystkich pacjentów leczonych w Polsce, to terapia CAR-T została objęta refundacją po raz pierwszy od 1 września 2021 r. w ramach programu B.65. To jest leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną.

Aktualnie w ramach refundacji systemowej w katalogu programów lekowych objęte refundacją są trzy produkty lecznicze CAR-T. Jest to produkt. Jest CAR-T w dwóch wskazaniach w ramach programu lekowego B.12 – leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe oraz terapię Kymriah i Tecartus, zarówno w tym programie lekowym B.12, jak i B.65 leczenia chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną. Refundowane terapie CAR-T muszą być podawane w wykwalifikowanym ośrodku posiadającym certyfikację podmiotu odpowiedzialnego, zgodnie z wymogami Europejskiej Agencji Leków (EMA) oraz akceptacją Ministerstwa Zdrowia po pozytywnej opinii Krajowej Rady Transplantacyjnej odnośnie do pobierania i wykorzystania autologicznych limfocytów.

Szanowni państwo, odnosząc się jeszcze do leczenia chorych na szpiczaka plazmocytowego – bo tutaj też padało to wskazanie – niedawno został złożony wniosek o objęcie refundacją terapii Carvykti i jest on w ramach procedowania. To jest program lekowy właśnie B.54. Tak więc ta terapia jest w procesie. Decyzja zostanie wydana przez ministra zdrowia po przejściu całej procedury refundacyjnej.

Tutaj też warto dodać, że aktualnie liczba pacjentów korzystających z tych refundowanych terapii CAR-T z roku na rok się zwiększa. W 2023 r. było 91 pacjentów objętych refundacją tych trzech terapii. W 2024 liczba pacjentów wzrosła o ponad 50% – to było 138 pacjentów. Obecnie leczonych jest 155 pacjentów, to znaczy miało podaną jednorazowo terapię CAR-T. Mamy już dane z Narodowego Funduszu Zdrowia za niepełny rok 2025. Od stycznia do października wydatkowano na tę refundację 200 mln zł.

Odniosę się jeszcze do podania CAR-T pacjentom w ramach refundacji. Po terapii CAR-T, która była podana w ramach finansowania ABM – tutaj pytali państwo o to – to aktualnie taka

możliwość by była, w pierwszym przypadku, w ramach refundacji systemowej, jeżeli podmiot odpowiedzialny, wnioskodawca by złożył taki wniosek o refundację. Czyli to by musiał być wniosek, gdy terapia ta jest zarejestrowana i umieszczona w charakterystyce produktu leczniczego, do podania ponownie CAR-T po nieskuteczności CAR-T, co jak wiemy jest bardzo mało prawdopodobne w przyszłości.

Drugą możliwością jest art. 40 ustawy o refundacji, który mówi o objęciu refundacją terapii we wskazaniach pozarejestacyjnych, czyli *off-label*. Natomiast, żeby te terapie mogły być finansowane poza wskazaniami rejestracyjnymi, konsultant krajowy musiałby przedłożyć do Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji wniosek o leczenie takich pacjentów. Następnie ten wniosek byłby przekazany do zaopiniowania Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT), potem zostałaby wydana decyzja przez ministra zdrowia, natomiast to jest poza wskazaniami rejestracyjnymi. Wtedy, jeżeli taka decyzja by była wydana, to taka terapia mogłaby *off-label* znaleźć się w programie lekowym, czyli ponowne podanie CAR-T dla tych pacjentów.

Myślę, że jeszcze warto powiedzieć o nowym subfunduszu. W ramach nowelizacji ustawy o Funduszu Medycznym został utworzony nowy subfundusz dotyczący właśnie leczenia chorób rzadkich u dzieci. Zapewnia on dzieciom do ukończenia 18. roku życia, cierpiącym na choroby rzadkie, dostęp do finansowania produktów leczniczych terapii zaawansowanych ze środków publicznych, które dotychczas nie były finansowane. Będą podane jednorazowo w leczeniu szpitalnym.

To leczenie możliwe jest w przypadku spełnienia łącznie następujących trzech warunków: uzyskania przez świadczeniodawcę pozytywnej opinii konsultanta wojewódzkiego lub konsultanta krajowego, wyczerpania u danej osoby wszystkich możliwości do zastosowania w danej jednostce chorobowej możliwości leczniczych finansowanych ze środków publicznych i trzeci, to jest dopuszczenie produktu do obrotu tej terapii zaawansowanej. W tym subfunduszu łączna wysokość dotacji w danym roku nie może przekraczać kwoty 250 mln. Tam jeszcze wartość kwoty będzie podlegała corocznej waloryzacji o średnioroczny wskaźnik cen towarów i usług konsumpcyjnych. Myślę, że to są najważniejsze informacje.

Są jeszcze wyszczególnione dostępne w Polsce produkty z tej grupy terapii zaawansowanej. To są właśnie terapie CAR-T, MSC, czyli mezenchymalne komórki macierzyste, mogą być limfocyty cytotoksyczne przeciwwirusowe i produkty do terapii genowej CTL, które rozpoznają antygeny na powierzchni komórek nowotworowych. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Pani chciałaby uzupełnić. Bardzo proszę.

Zastępca dyrektora departamentu MZ Katarzyna Galas:

Dokładnie. Ja bym chciała jeszcze uzupełnić odpowiedź odnośnie do pierwszej części pytania pana posła Hoca. To znaczy pan pytał o badania dotyczące i szpiczaka, i guzów litych, więc chciałabym jeszcze uzupełnić swoją wcześniejszą wypowiedź o to, na jakim etapie są te badania.

Otóż pierwsze badanie to jest badanie komercyjne, projekt dofinansowany przez Agencję Badań Medycznych. Projekt dotyczy opracowania produktu leczniczego opartego na modyfikowanych genetycznie limfocytach T dla terapii nawrotowych i opornych postaci szpiczaka plazmocytowego: od produkcji wektora DNA z receptorem CAR po badania I i II fazy. Pan prezes też o tym badaniu wspominał.

Ja chciałabym jeszcze dodać, że ten projekt, który zakłada stworzenie odmiennej od dostępnych obecnie konstrukcji CAR-T, jest aktualnie na etapie prac przygotowawczych. To znaczy, badanie kliniczne ma się dopiero rozpocząć. Natomiast zastosowanie tych konstrukcji CAR-T jest przewidziane także w innych typach nowotworów, w tym właśnie w guzach litych.

Jeszcze jedno badanie. To jest projekt dofinansowany w ramach leków biologicznych. Celem tego projektu jest opracowanie innowacyjnego celowanego produktu leczniczego stosowanego w leczeniu raka na bazie kwasów nukleinowych i doprowadzenie go do badań klinicznych pierwszej fazy typu *first-in-human*, czyli pierwsze zastosowanie u człowieka. Ten produkt ma służyć do celowanej terapii genowej dla pacjentów z guzami litymi – właśnie to jest to, o co pytał pan poseł – natomiast aktualnie beneficjent kontynuuje realizację badań przedklinicznych zgodnie z harmonogramem projektu. Czyli w uzupełnieniu tego, co powiedziałam na wstępie, te badania są na razie w początkowej fazie. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Swoje wątpliwości chciałby jeszcze wyrazić pan poseł Hoc. Proszę.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Dziękuję bardzo za odpowiedź. Pierwsza taka konstatacja, że w takim razie szpiczak plazmocytowy jeszcze nie jest w terapii CAR-T cells. Wydawało się na podstawie państwa wypowiedzi, że tak jest, a to dopiero są badania. Oczywiście te badania są bardzo potrzebne i wręcz innowacyjne, ale to cały czas tylko badania i przyszłościowe kwestie.

Druga moja konstatacja, czy też wątpliwość. Mówiłem, że jeśli produkt jest już dostępny lokalnie, te modyfikowane genetycznie limfocyty, to czy dalej wysyłamy za granicę limfocyty T do tej genetycznej modyfikacji, czy już robimy to w Polsce? Nie wyjaśniliście albo nie odpowiedzieliście państwo na to.

Jeszcze trzecia wątpliwość albo może pytanie, kwestia działań niepożądanych, neurotoksyczności, kardiotoxyczności czy też wylewu cytokin itd. Czy obserwujecie państwo coś takiego, czy nie?

Następna sprawa albo następna kwestia. Jeśli rzeczywiście jest 15 czy 16 ośrodków w Polsce, które stosują technologię CAR-T cells, a jest praktycznie tylko 155 pacjentów chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną dzieci, na chłoniaki, te dwa rodzaje chłoniaków – na pewno jest więcej takich pacjentów w Polsce – czy macie ograniczenia albo czy są poważne ograniczenia, czy też każdy ośrodek, który zgłosi zapotrzebowanie na technologię CAR-T ma zapewnioną realizację? Myślę, że tyle na razie. Jeszcze raz dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Czy ktoś z państwa mógłby...

Poseł Czesław Hoc (PiS):

A, jeszcze – nie ma tutaj potrzeby omówienia RDTL, dlatego że RDTL nie wchodzi w aspekty technologii CAR-T cells.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Czy pan prezes chciałby odpowiedzieć?

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań ABM Ireneusz Staroń:

Potwierdzam, że cały proces wytwórczy jest zorganizowany na terenie naszego kraju, więc nie wysyłamy niczego za granicę. Chyba w jednym przypadku mamy wytwarzanie na podstawie licencji zagranicznej, ale cały czas mówimy tutaj o akademickich projektach.

Natomiast jeżeli chodzi o profil bezpieczeństwa, to z informacji, które dostajemy od beneficjentów – proszę pamiętać, że to badanie trwa, więc pełny profil bezpieczeństwa będzie znany na zakończenie badań – ten profil bezpieczeństwa jest bardzo dobry.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Pani profesor Chybicka, bardzo proszę.

Poseł Alicja Chybicka (KO):

Dziękuję bardzo.

Ja chciałabym dopytać, bo chyba nie zrozumiałam dobrze. Czy ten subfundusz medyczny na wysokość 250 mln dla chorób rzadkich oznacza, że jeśli w Stanach Zjednoczonych jest jakiś lek, na przykład terapii genowej dla polskiego dziecka chorego na chorobę rzadką i jest zatwierdzony na przykład już przez EMA, albo nie jest, to można się zwrócić do tego subfunduszu o finansowanie czy nie? Czy to dotyczy tylko tych badań, które są robione? Wszystkie te produkty, które pani wymieniła, są w tych badaniach tutaj zawartych, a mnóstwo dzieci w Polsce krąży po całej Polsce z chorobami rzadkimi, podczas gdy są nowe terapie dostępne w różnych krajach, w Chinach, ale trzeba za to zapłacić, i to niemałe pieniądze. To są koszty w milionach złotych i nie takie małe jak w CAR-T cellsach, czyli 1,2 mln, tylko to jest 10, 15, 18 mln, różnie. Czy to jest możliwe, czy nie?

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Bardzo proszę.

Zastępca dyrektora departamentu MZ Martyna Kosmał:

Już odpowiadam, dziękuję.

Tak, to jest niezależna ścieżka dodatkowych środków, niezależna od badań. Tylko ta terapia musi być dopuszczona do obrotu – tak jak powiedziałam, jako terapia zaawansowana – przez Unię Europejską albo centralnie w Polsce. Wtedy taki podmiot odpowiedzialny może ubiegać się o refundację dla danego pacjenta. To jest maksymalnie 250 mln na rok na wszystkie terapie. Dodatkowo musi być ta opinia konsultanta wojewódzkiego lub krajowego, jak powiedziałam, i muszą zostać dotychczas wyczerpane wszystkie możliwości terapeutyczne. Wtedy to jest właśnie taki subfundusz dla dzieci z chorobami rzadkimi, tylko do podania terapii zaawansowanych jednorazowo w warunkach szpitalnych. Dla tych, które nie miały wcześniej podanej tej terapii. To jest niezależne od tych badań klinicznych, które są teraz prowadzone.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo. Czy to znaczy, że ten fundusz już funkcjonuje, czy on dopiero będzie... Mówię o subfunduszu.

Zastępca dyrektora departamentu MZ Martyna Kosmał:

Dopiero od 1 stycznia br. zostało to zatwierdzone, natomiast on jeszcze nie funkcjonuje.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Jeszcze nieustępliwy pan poseł Hoc.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Jedno pytanie, jakby poszerzając pytanie pani profesor. To w takim razie, jeśli to subfundusz chorób rzadkich, czy państwo będziecie realizować terapię w zakresie dystrofii mięśniowej Duchenne'a, bo praktycznie prawie cała Polska zbiera się na terapię najdroższego teraz leku świata. Kiedyś to była Zolgensma w SMA – 9,5 mln – a teraz praktycznie 16,5 mln kosztuje ten następny lek w terapii genowej. Jeśli tak, to proszę powiedzieć.

Natomiast czy znane są państwu najnowsze doniesienia o bezpieczeństwie tego leku w Ameryce? Agencja Żywności i Leków (FDA) ponoć to zawiesiła, ale myślę, że państwo chyba wiecie o tym, jaki jest teraz status tego leku i czy rzeczywiście opracowujecie taką myśl, żeby leczenie dystrofii mięśniowej Duchenne'a refundować w aspekcie pomocy w SMA, gdzie praktycznie opanowaliśmy całkowicie tę chorobę zapewniając wszystkie trzy leki, które są dostępne, a więc Zolgensmę, Risdiplam i Nusinersen. Tutaj mamy braki totalne. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Czy ktoś z państwa?

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Jeszcze powiem o subfunduszu chorób rzadkich, że jego stworzenie było zainspirowane przez pana prezydenta Karola Nawrockiego...

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Panie pośle, jesteśmy na posiedzeniu podkomisji do spraw onkologii.

Pani poseł, pani profesor Chybicka chciałaby odpowiedzieć na te wątpliwości pana doktora Hoca. Bardzo proszę. A później przejdziemy do strony społecznej.

Poseł Alicja Chybicka (KO):

Ja mogę powiedzieć tak, że jeśli chodzi o chorobę Duchenne'a, to ona dzieli się na chorych, którzy dopiero zachorowali i jeśli zastosuje się terapię... Jest takie jedno ramię w Stanach Zjednoczonych, ja nie umiem go nazwać, które ma pozytywne wyniki. Nie miało powikłań i te dzieci przez okres czterech lat, bo tyle trwa do tej pory to badanie, mają się dobrze, nie siadają na wózek i wszystko jest OK. To też jest koszt 18 mln. Takich dzieci w Polsce pewnie trochę mamy.

Jednak większość naszych polskich dzieci to niestety są dzieci, które już siedzą na wózku. Niestety w przypadku tej grupy dzieci, krótko mówiąc, amerykańska FDA zdjęła rekomendację, z tego, co ja wiem, z tych ostatnich badań roku 2025. Czyli nie można zrefundować niestety wszystkim, którzy się zwrócą, ale być może w innych chorobach jest inaczej – w chorobie Retta.

Dla mnie jest to informacja świeża, muszę powiedzieć. Rzeczywiście jest to od 1 stycznia. Do tej pory nie było jeszcze posiedzenia Rady ds. Chorób Rzadkich, więc myślę, że wszyscy,

którzy tymi chorobami się zajmują, nie wiedzą tego, że można wystąpić o tę refundację, a ludzie biegają po Polsce i błagają o pomoc. Wielokrotnie byłam w różnych programach, żeby im pomóc, bo kwota 18 mln dla każdego Polaka jest nie do przeskoczenia, naprawdę...

Posel Czesław Hoc (PiS):

A czy jest Givinostat, pani profesor, który można stosować od 6. roku życia dla dzieci, które jeszcze chodzą, i też nie wiem, dlaczego Ministerstwo Zdrowia nie realizuje tego...

Posel Alicja Chylicka (KO):

Nie umiem odpowiedzieć...

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Panie pośle, wydawało mi się, że ja prowadzę te spotkanie, ale to się wymyka spod kontroli. Pan poseł Hoc już więcej głosu nie zabierze, bo zdominował...

Strona społeczna, bardzo proszę.

Kierownik Zakładu Diagnostyki Molekularnej Świętokrzyskiego Centrum Onkologii w Kielcach Artur Kowalik:

Dzień dobry, witam państwa. Artur Kowalik, Świętokrzyskie Centrum Onkologii.

Chyba trzeba niektóre rzeczy wyjaśnić, bo mówimy o dwóch światach. Jeżeli chodzi o modyfikowanie komórek i produkty komercyjne, które subsyduje polskie państwo dla pacjentów polskich, to one są modyfikowane przez firmę farmaceutyczną, która ten produkt sprzedaje. To w tej chwili leci do Holandii czy do Niemiec. Do Stanów chyba już nie lata. Tak więc tego nie może modyfikować w Polsce polskie laboratorium, bo to jest produkt totalnie przez nich robiony.

Natomiast to, co prezes Staron przedstawiał, to są badania naukowe, w przypadku których my musimy odrobić lekcje, modyfikować i prowadzić. Pierwszy pacjent włączony we Wrocławiu jest również leczony w ramach badania naukowego. Tak więc to są rzeczy, które trzeba robić.

Druga sprawa jest taka, że my, uczestnicząc w jednym z projektów ABM, kontynuujemy go własnymi siłami i w ciągu prawdopodobnie kilku miesięcy będziemy w końcu w stanie robić wektory w standardzie GMP. Pokłosiem jednego z projektów ABM jest również to, że pozyskałiśmy środki z regionalnego funduszu europejskiego i będziemy budowali, jak można powiedzieć, mini fabrykę farmaceutyczną. Mam nadzieję, że będziemy wbijali łopatę w końcu tego roku, żeby mieć całą linię produkcyjną.

Sprawa wygląda tak, że trzeba wiedzieć jeszcze jedną rzecz, że patentowość i wyścig o CAR-T jest ogromny i patenty niektóre rzeczy bardzo blokują. My staramy się skrócić czas dzięki Agencji Badań Medycznych. Mamy takie możliwości, żeby nadrobić 30 lat tego, co się w Stanach dzieje. Ta wiedza jest opatentowana. Ja śledzę Carla June'a, wszystkich bogów tej terapii i oni przynajmniej raz na dwa tygodnie puszczają jakiś patent. To jest po prostu fabryka patentów. Naukowcy dochodzą do tych samych wniosków, ale jest bardzo ciasno, jest to patentowane. Tak więc trzeba przyznać, że dzięki agencji jak gdyby to doganiamy. Trzeba przyznać, że dzięki agencji mamy możliwości leczenia, terapii CAR-T.

Jeśli chodzi o nowotwory hematologiczne, akurat B limfocyty są na tyle wdzięcznym celem, że można je zniszczyć i podawać przeciwciała, natomiast w przypadku nowotworów litych nie ma jeszcze takiej standardowej terapii. Ciągłe prowadzi się badania. Amerykanie mają fantastyczne wyniki w guzach mózgu, które znikają w ciągu 64 godzin. Zmniejszały się o 70% – glioblastoma itd. – ale nawracały po sześćdziesięciu kilku dniach ze zdwojoną mocą, ponieważ są poliklonalne, czyli genetycznie zróżnicowane. Zatem prawdopodobnie trzeba będzie podawać serię CAR-T, ale cały czas walczyć. Trzeba zwalczyć mikrośrodowisko guza. Tak więc, jeśli chodzi o terapię w nowotworach litych, to jeszcze musimy trochę poczekać, aczkolwiek nikt do końca nie wie, co się dzieje w Chinach, na jakim to jest etapie, bo oni tam rządzą się trochę innymi prawami.

Trzeba dodać jeszcze jedno – to, co zrobili Hiszpanie. Dlaczego Hiszpanie leczą? Jest jedna furtka – *ATMP Hospital Exemption*, czyli wyjątek szpitalny.

Trzeba jeszcze jedną rzecz powiedzieć, że uniwersytet, jakkolwiek w Polsce, we Wrocławiu chociażby, nie udźwignie III fazy badania klinicznego takiego potężnego. Nawet Stanford licencjonuje produkty. I, II faza, ładunek komercyjny, wzrasta cena takiego produktu 10 000% i oni subsydują to na przykład do firmy Roche czy jakiegokolwiek. Ona przyjeżdża do Polski i rekrutuje pacjentów na III fazę. Tak wyglądają badania.

Ja przez ostatnie dwa lata kilka razy przebywałem w Stanach Zjednoczonych. Widziałem, jak to jest w Bethesda, w jednym z najlepszych ośrodków. To nie jest zatłoczony instytut, tylko tam

przyjeżdżają ludzie, którzy są na tyle fit i są w stanie znieść eksperymentalną terapię. Rzeczywiście widziałem tam Łazarzy bez mała. Nawet dr Witek był u doktora Rosenberga, który jest pionierem TILSów przez 50 lat. Miałem możliwość odwiedzić jego królestwo. Ten człowiek, to jest praktycznie chodząca legenda i tak jakby powoli, kawałek po kawałku, wydzierają sobie pole.

Jednak kwestia jest taka – wracając do przypadku hiszpańskiego – że oni nie musieli przeprowadzać tego potężnego badania. Udowodnili we wczesnych fazach, że to działa. Uczyli się też u Carla June'a – Manel Juan pojechał do Ameryki. Oni mieli już trochę lekcję odrobioną i oni, proszą państwa, dali 500 podań jako szpital. To jest 10% tego, co Gilead podał u dorosłych, żeby właśnie skorzystać z wyjątku szpitalnego.

Co to jest wyjątek szpitalny? Wyjątek szpitalny – jest terapia, pasuje, jest zaaprobowana przez wszystkie agencje, ale w tej terapii większość odpowiedzialności bierze na siebie lekarz, który podaje tę terapię. To nie jest to coś, co jest po badaniu klinicznym. Trzeba więc się zastanowić nad tym i zbudować do tego klimat taki, że rzeczywiście pacjenci są chorzy, ale trzeba zwiększyć bezpieczeństwo mimo wszystko, bo to jest przeprowadzenie eksperymentów naukowych z udziałem chorych. To się robi w Stanach.

W Stanach wygląda to tak, że jest wymyślona terapia. Ona – przynajmniej w Bethesdzie – idzie do kliniki hematologii. Nawet w limfocytach B tam eksperymentują. Jeżeli to nie zadziała, to wraca do laboratorium i znowu coś poprawiają, bo nie było skutecznego działania. Znowu rekrutują mini grupę i tak w kółko. Jeżeli to zadziała, to jest II faza i później jest licencja.

Ja widziałem – oni mieli tam taki *whiteboard* – terapia w litych nowotworach rozwiniętych na bazie infekcji wirusem HPV u ludzi w przebiegu HIV i AIDS. Stworzyli CAR-T anty-HPV, żeby leczyć ludzi, którzy mają nowotwór HPV-zależny w przebiegu HIV i AIDS i mieli znakomite rezultaty, ale oczywiście wszystko to się opiera na badaniach. My też, proszę państwa, musimy odrobić lekcje i zmienić troszeczkę sposób myślenia, również otworzyć się na eksperymenty z udziałem chorych, bo pacjenci szukają tego.

Tak jak mówię, my prawdopodobnie zakończymy całą procedurę produkcji wektora GMP – to jest jakby najdroższa część terapii. Jedna z porcji kosztuje chyba kilkadziesiąt tysięcy euro. Taki jest klimat. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Jeszcze pani profesor Chybička.

Poseł Alicja Chybička (KO):

Muszę to powiedzieć dlatego, że ja niedawno prowadziłam posiedzenie parlamentarnego zespołu do spraw chorób rzadkich – nie ostatnio tylko przedostatnio. Na spotkaniu tego zespołu siedzieli rodzice dziecka chorego na chorobę rzadką i w trakcie dyskusji padło to, co pan powiedział, że jest jeszcze coś takiego w rezerwie jak eksperyment medyczny, tyle tylko, że lekarz musi to wziąć... Na co ja powiedziałam, że ja wielokrotnie to robiłam – ja już jestem wiekowa, więc teraz już nie mogę tego zrobić. Na to poprosił o głos siedzący tam ojciec i zapytał siedzących na sali profesorów, których było dosyć dużo z całej Polski, czy ktoś by się tego podjął i zapadła martwa cisza. Ja mało pod ten stół nie wpadłam, bo nikt nie odpowiedział, że tego by się podjął, a byli też pacjenci właśnie z chorobą Duchenne'a, oczywiście na pewno na różnym etapie.

Nie mają państwo pojęcia, ile jest takich osób w Polsce, które marzą o takiej terapii. Ja je znam, bo – jak mówię – prowadzę ten zespół od początku tej kadencji. Jest ich mnóstwo i dla nich już taki fundusz, te 250 mln, to będzie zbawienie, jeśli będą mogli się zakwalifikować i będą w tej grupie, która ma pozytywną rejestrację, bo rozumiem, że trudno jest, ale zawsze... Ten ojciec zapytał, czy jeśli on będzie miał pieniądze, to ktoś w Polsce to poda i przywiezie ten lek i zapadła martwa cisza. Można to sobie odsłuchać – zapadła martwa cisza. Nikt nic nie powiedział. Muszę powiedzieć, że to było dla mnie bardzo smutne, bo czasem można kogoś uratować, uratować mu życie po prostu taką terapią i taką decyzją.

Kierownik zakładu ŚCO w Kielcach Artur Kowalik:

Chciałbym jeszcze dodać, że to jest to, co mówiłem, że musi być klimat, zmiana sposobu myślenia, żeby również ten lekarz się czuł bezpiecznie. Być może jest to odium drugiej wojny – eksperymenty medyczne źle się tu kojarzą itd., ale trzeba o tym pamiętać, że pacjenci chcą tego, że chcą się czuć bezpiecznie.

Ja się zastanawiałem, że mamy zdolnych ludzi – jak siedziałem w tej Ameryce – pewnie i zdolniejszych. Oni tam drenują ludzi z całego świata. Oni przyjeżdżają się uczyć. Nie jesteśmy już biednym krajem, ale tak naprawdę potrzeba zmiany sposobu myślenia.

Trzeba też jedną rzecz pamiętać, że to dzięki agencji pojawiają się takie możliwości, że można robić badania i trzeba ryzykować, bo, proszę państwa, to nie jest tak... Tutaj na samym początku była chyba mikstura pewnej dyskusji. To nie jest tak, że ABM ma odpowiadać i leczyć tysiące chorych. Ma tylko prowadzić do tego, umożliwiać warunki, że narasta wiedza i jesteśmy w stanie wyprodukować produkt.

Proszę zwrócić uwagę na to, że bez własnych patentów nie obniżymy kosztów. Patent na binder, który jest stosowany w trzech terapiach CAR-T, który zrekonstruowałem w komputerze – mam ten plazmid – kosztuje 1, 8 mln. Mogłbym w domu go zrobić, mówiąc w cudzysłowie, i podawać. To nie jest trudne, ale patent jest cały czas ważny do 2034 r. Jest opłacony, ciągle jest przedłużany. Dlatego się płaci. Jeżeli więc aspirujemy do bycia państwem, które oszczędza pieniądze, to musimy w te ryzykowne badania inwestować potężne środki – mówię ryzykowne, bo niekończące się publikacją, że to może mieć *huge potential in the patient's treatment*, bo ja mam takich publikacji już dość – i przejść do badania klinicznego. Pokaż I, II fazę i z tym skończyć, i wtedy zrobić licencję, bo o to chodzi. Tak naprawdę mamy wszystkie elementy układanki, tylko brakuje zmiany sposobu myślenia i klimatu. Tak więc skoro pacjenci są, rodzice chcą, to też trzeba zabezpieczyć lekarza, który bierze na siebie odpowiedzialność.

Proszę zwrócić uwagę na to – w hiszpańskim szpitalu leczący tam lekarze wzięli odpowiedzialność 500 razy i podali 10% tego, co podał Gilead, globalny gracz, na zasadzie wyjątku szpitalnego. Tylko że wszystko trzeba przejść z głównym inspektorem farmaceutycznym (GIF). My to wszystko mamy od pięciu lat na bieżąco. Nie jest to proste i kosztuje masę pieniędzy. W tej chwili my działamy dzięki finansom ŚCO, jakieś bardzo drobne rzeczy... Zwykły odczynnik kosztuje 1 tys. zł, a w GMP 10 tys. Takie są koszty. To, co wraca do chorego, proszę państwa. Jeżeli chcemy mieć taniej coś później, nie płacić 1,8 mln – to chodzi o te leki w chorobach rzadkich... Tak, to prawda, bo ktoś robi model biznesowy – to nic prostszego. Wiele laboratoriów w Polsce może zrobić ten lek za 15 mln, tylko to jest patent, za którym stoi 30 lat badań.

Bethesda ma 500 mln dolarów podstawowego finansowania, nie licząc grantów. Oni nie zajmują się masowym leczeniem, tylko po prostu w *high risk* inwestują w rzeczy i dlatego mają dużą stopę zwrotu. Tam wszystko, co się pojawia, patentują. Zmodyfikowanie limfocytów, hodowla jakaś – od razu, co tydzień jest patent. Tak wygląda gra. Jest po prostu ciasno i tyle. Tak więc bez takich podstaw niestety nie zajdziemy daleko i będziemy musieli kupować terapię, zamiast... W Polsce terapia CAR-T – szacuję – nie powinna być droższa niż 300 tys. na chorego, a przy zrobieniu jej tak jak tu państwo wskazywali i masowej produkcji, wydaje mi się, że terapia CAR-T zejdzie do kwoty kilkudziesięciu tysięcy złotych. Wydaje mi się, że są już takie plany, żeby decentralizować to. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję panie profesorze.

Bardzo proszę, pani.

Kierownik Zakładu Medycyny Regeneracyjnej Narodowego Instytutu Onkologii – Państwowego Instytutu Badawczego im. Marii Skłodowskiej-Curie Justyna Marynowska:

Bardzo dziękuję. Justyna Marynowska, Narodowy Instytut Onkologii. Bardzo dziękuję za głos i chciałabym państwu parę rzeczy przybliżyć. Mam przyjemność kierowania laboratorium GMP, w którym wytwarzamy terapie komórkowe, więc generalnie trochę mam wiedzy z innej strony.

Przede wszystkim bardzo dziękuję Agencji Badań Medycznych za to, że po pierwsze, z grantów była możliwość zbudowana cała infrastruktura, doposażenia i uruchomienia. Mamy dodatkowe projekty naukowe, dzięki którym opracowaliśmy całą technologię wytwarzania w różnych systemach terapii komórkowej dla guzów litych. Mamy opracowane produkty TILs. Mamy również kolejny grant, który oparty jest na badaniu klinicznym pierwszej fazy z zastosowaniem u pacjentek z rakiem jajnika i przygotowujemy się do kolejnego grantu, również do badania pierwszej fazy u pacjentów z czerniakiem.

Są trzy możliwości zastosowania terapii komórkowych i tak samo CAR-T. Technologie, które są dostępne w laboratoriach, i infrastruktura pozwalają nam wytworzyć każdy rodzaj terapii modyfikowanej genetycznie, czy też nie. Te urządzenia, które są dostępne, na których pracuje cały świat – i Izrael, i Hiszpania, i Dania, i Stany Zjednoczone – mają w portfolio szereg

tych terapii. Problem polega na tym – nie został on tutaj uwzględniony – że utrzymanie takiej infrastruktury jest szalenie drogie, więc tym bardziej inwestycja w system krajowy, a nie tylko w produkty komercyjne, które są wysyłane zwłaszcza do Stanów Zjednoczonych lub do innych krajów Europy i są bardzo drogie. Wytworzenie takiej terapii dla pacjenta w Polsce jest od 5 do 10 razy tańsze niż pojedynczy produkt komercyjny, taki sam, który dla pacjenta kupowany jest w ramach programu lekowego.

Rzeczywiście ta ścieżka dostępu na wyjątek szpitalny jest ścieżką jedną z bardziej optymalnych, dlatego że to nie jest lek jak tabletki, który jest produkowany masowo dla wszystkich pacjentów w tym samym wskazaniu. Terapię komórkową jest wykonywana z komórek od danego pacjenta – albo pobierana jest krew, albo jest wykonywana resekcja guza i z własnych komórek danego pacjenta wykonuje się to dla niego. Zatem nie jest to ani produkt masowy, ani produkt, który możemy komercjalizować. Możemy skomercjalizować swój patent. To są już dostępne w tym momencie procedury wytwarzania i konkretne protokoły, dzięki którym nie musimy wyważać otwartych drzwi.

Mamy dostępne odczynniki, dzięki którym w ramach własnych laboratoriów możemy takie preparaty wykonywać, ale nie ma możliwości podania tego poza szpitalem. Pacjent i tak jest hospitalizowany. Główny badacz i lekarz zawsze biorą odpowiedzialność na siebie, oczywiście w ramach eksperymentu, w ramach tego leczenia szpitalnego, ale proszę państwa, w większości nowotworów ci ludzie nie mają innego wyjścia, to jest ich ostatnia szansa. To jest tak naprawdę ostatnia szansa i powinniśmy mieć więcej odwagi do tego i więcej determinacji, jeśli chodzi o ten budżet lekowy – który jest jakby skomasowany na leki komercyjne, które są dziesięciokrotnie droższe – żeby te preparaty komórkowe były również dostępne w ramach wytwarzania własnego i wzmocnienia sektora publicznego.

Gdyby nie Agencja Badań Medycznych, to nie miałoby w ogóle szansy w Polsce powstać. I rzeczywiście – zgadzam się z panem profesorem, również byłam na kilku stażach w Stanach Zjednoczonych – my w 2 lata nadrobiliśmy 20–30 lat, w zależności, gdzie jesteśmy.

To nie jest tak, że w Polsce nie ma zasobów kadrowych, że nie ma w Polsce zasobów infrastrukturalnych, bo dzięki poprzednim projektom i tym, które trwają dzięki finansowaniu wyłącznie z Agencji Badań Medycznych, zostało to dla nas udostępnione. Musimy też mieć tę świadomość, że są to terapie, które są skuteczne. Oczywiście, że mają działania niepożądane. Każda chemioterapia ma działania niepożądane. Nie ma leków w onkologii, który nie miałby działań niepożądanych. Tak więc są możliwości, są te terapie dostępne, jesteśmy w stanie to wytwarzać. Potrzebny jest szeroki program wsparcia sektora publicznego i publicznych ośrodków, centrów onkologii, które wytwarzają, mają możliwości i już to robią, żeby zwiększyć skalę, zwiększyć dostępność dla pacjentów.

To, czego nam też brakuje, to ustalenie takiej ciągłości, kiedy mamy badanie naukowe. Mamy badanie kliniczne I fazy, powinniśmy też mieć następne fazy badania albo następne możliwości współpracy lub projektów zarówno z Ministerstwem Zdrowia, jak i z Agencją Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, aby tego typu eksperymenty tak zwane – bo tu też zgadzam się z panem profesorem, że semantyka jest bardzo mocno stosowna, generalnie są to produkty wytwarzane z własnych komórek dla pacjenta, podawane w warunkach szpitalnych – miały też swoje miejsce w tym systemie.

Powinniśmy też jako kraj, który nie ma nadwyżki na ochronę zdrowia, wspierać ten sektor. To dzięki ABM udało się nam to wytworzyć i to nad czym pracujemy. Mamy zapewnione finansowanie w badaniu klinicznym na pięć lat. Co będzie później? Nie wiemy. Oczywiście będziemy startować w następnych... I też warto by było – to taka prośba – aby również przewidywać w planie rozwoju danych instytucji te konkursy, które są związane z produktami ATMP. To są konkursy dedykowane, które są bardzo potrzebne.

Nam też jest trudno startować w konkursach, gdzie są leki biologiczne albo jakiegokolwiek inne interwencje, a do jednego konkursu staje ogromna liczba beneficjentów i również każdy ma w danym wskazaniu naprawdę dobre rozwiązania dla pacjenta, aczkolwiek jest to – przepraszam za kolokwializm – jeden wielki bigos. Potrzebne by było również większe rozróżnienie i ścieżki do tego, żeby tego typu leki i tego typu skuteczne leczenie dla pacjentów – ponieważ wyniki są bardzo dobre na świecie, więc skoro są na świecie, w Polsce też będą, bo polski pacjent nie różni się niczym od pacjenta amerykańskiego – było po prostu zwyczajnie dostępne, bo mamy możliwości, mamy technologie, mamy wiedzę i potrafimy to robić. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo pani doktor.

Czy pan prezes miałby coś do powiedzenia na temat najbliższej przyszłości? Bardzo proszę.

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań ABM Ireneusz Staroń:

Tak, ja myślę, że my mamy duże możliwości jako Agencja Badań Medycznych. Jeżeli zostanie nam to umożliwione, to jesteśmy w stanie finansować tego typu terapie w różnych formułach. Oczywiście w formule konkursów na niekomercyjne badania kliniczne. Mamy też taki konkurs zaplanowany na koniec tego roku, TRANSMED, gdzie finansujemy początkowe etapy rozwoju danej technologii i on będzie kontynuowany w ramach TRANSMED II, w drugiej części, już w kontekście samych badań klinicznych. Tak więc celowo dzielimy tę formułę, ten instrument wsparcia na dwie części, żeby można było ewentualnie w tym międzyczasie przeformułować swój produkt i potem przejść do kolejnej fazy badawczej.

Zatem jak najbardziej jesteśmy chętni. Nawet jeżeli widzimy bardzo duże zapotrzebowanie, to jesteśmy w stanie tak skonstruować kryteria, żeby wspierać bezpośrednio samo ATMP. Chyba jeszcze takiego konkursu nie było. Był konkurs na technologie oparte na kwasach nukleinowych, ale wydaje mi się, że też jesteśmy w stanie w przyszłości tego typu formułę konkursową zaproponować i też przeprowadzić odpowiednie konsultacje, tak żeby eksperci – i dziękuję za te słowa wspierające działalność Agencji Badań Medycznych – też współuczestniczyli przy tworzeniu formuły konkursowej dla tego typu technologii. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo. Tak trochę optymizmem powiało.

Teraz pani, bardzo proszę.

Prezes zarządu Ogólnopolskiej Federacji Onkologicznej Dorota Korycińska:

Dzień dobry. Dorota Korycińska, Ogólnopolska Federacja Onkologiczna.

Bardzo mocno wybrzmiał głos pani doktor Marynowskiej i pana profesora Kowalika, nie ukrywam, a szczególnie te informacje, że w zasadzie jest bardzo dużo w naszych polskich możliwościach, tylko jest lęk, bo ten apel o więcej odwagi jest związany z tym, że jest też lęk. Mam więc do państwa pytanie o to – jeżeli mogę mieć do państwa, panie przewodniczący – czy ten lęk wynika na przykład ze zbyt ostrych przepisów prawa czy z mentalności, czy na przykład tego typu eksperymenty... Rozumiem, że tu chodzi o semantykę, chociaż nie powinniśmy się bać, moim zdaniem. Powinniśmy przestać się bać pewnych słów, które są po prostu słowami i one weszły jako coś bardzo negatywnego do obiegu, ale może warto odczarować i przywrócić właściwą pozycję niektórym słowom.

Czy to z państwa perspektywy – właśnie ta odwaga – wymagałoby zmiany przepisów prawnych, jakiejś odrębnej ścieżki prawnej, która zabezpieczałaby lekarzy? Czy na przykład obecne przepisy, które powodują ten lęk, są zbyt restrykcyjne i stąd są te obawy działania na rzecz tego, żeby przestać się bać niektórych słów? Wydaje mi się, że to jest kwestia bardziej społeczna. Tak więc, co jeszcze powinno tutaj zająć formalnego, żeby tego rodzaju eksperymenty – ja nie boję się używać tego słowa – miały miejsce. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję.

Pan prosił o głos. Bardzo proszę.

Neurochirurg w Oddziale Neurochirurgii Dziecięcej Instytutu Psychiatrii i Neurologii Tomasz Tykocki:

Dzień dobry, Tomasz Tykocki. Ja jestem neurochirurgiem.

Mam pytanie do pana prezesa w związku z rozwojem terapii CAR-T w guzach litych, które stają się coraz bardziej obiecujące. Moje pytanie dotyczy tego, że jest gotowy projekt takiego badania w guzach mózgu w kontekście podania bezpośrednio domózgowo CAR-T i jesteśmy na etapie poszukiwania finansowania. Pytanie jest takie, czy ABM w tym roku planuje ogłoszenie tego konkursu, który by celował konkretnie w badania na guzach litych z zastosowaniem CAR-T, i czy to w ogóle jest obecnie priorytet, jeżeli chodzi o wspieranie badań I i II fazy w ramach finansowania konkursów przez ABM. Bardzo dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Pan prezes, bardzo proszę.

Zastępca prezesa do spraw finansowania badań ABM Ireneusz Staroń:

Już odpowiadam. Agencja Badań Medycznych ogłosi konkurs na eksperymenty badawcze na niekomercyjne badania kliniczne oraz TRANSMED dla nowych technologii również dla terapii zaawansowanych. Agencja Badań Medycznych podlega ustawie. W ustawie są zdefiniowane kryteria, które służą ewaluacji danych projektów i selekcji projektów do finansowania. W szczególności w przypadkach, gdzie nie ma terapii albo gdzie terapia daje bardzo dużą nadzieję dla pacjentów, taki projekt ma ogromną szansę na najwyższą punktację ze strony ekspertów. Oczywiście tam jest wiele elementów, wiele kryteriów, które się ocenia, natomiast wydaje mi się, że szansa jest bardzo duża. Trzeba złożyć wnioski w tym roku, zaprojektować rozwój tej technologii, zobaczyć, które wsparcie będzie najbliższe państwa potrzebom, i wydaje mi się, że jest na pewno duża szansa na finansowanie.

My sprawdziliśmy, że u nas jest dosyć duża frakcja sukcesu. To jest około 20–25%. Wiem, że koledzy z bliźniaczych instytucji mają dużo niższą tę frakcję sukcesu, więc po prostu warto spróbować przelać wszystko na papier w postaci wniosku o dofinansowanie. Wydaje mi się, że jest duża szansa na to, że tego typu projekty będą finansowane. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Obiecałem, że już pana posła Hoca nie dopuszczę do głosu, ale cały czas mnie tu atakuje. Po raz ostatni, na króciutko, w imieniu środowiska lekarskiego.

Poseł Czesław Hoc (PiS):

Dziękuję bardzo.

Ja w aspekcie tego lęku będę prosił pana profesora, żeby to potwierdził albo wykluczył, bo my stworzyliśmy taki Fundusz Kompensacyjny Zdarzeń Medycznych, gdzie jest tak zwane *no-fault* – bez winy. Czy to jest jakieś dobro w aspekcie eksperymentu medycznego, czy to się nie kwalifikuje do eksperymentu medycznego? Jeśli rzeczywiście mamy taki Fundusz Kompensacyjny Zdarzeń Medycznych i tam jest główna zasada *no-fault*, to myślę, że ci lekarze nie powinni mieć już aż tak strasznego lęku, żeby te eksperymenty medyczne... Chyba że to nie wchodzi w zakres.

Druga sprawa. Jeśli już mówimy o tych eksperymentach medycznych, to myślę, że odpowiednie gremia Ministerstwa Zdrowia czy nawet AOTMiT, ABM, która to agencja teraz jest cały czas chwalona przez każdego z państwa, nie są za bardzo zainteresowane eksperymentami terapeutycznymi. Na przykład mam kontakt ze stowarzyszeniem nadmiernego patologicznego odkładania żelaza w mózgu – w Polsce jest 150 takich pacjentów. Tymi eksperymentalnymi terapiami, które właśnie to stowarzyszenie z całego świata sprowadza, praktycznie nikt nie jest zainteresowany, a pana profesora Maciejewskiego, wiceministra, proszę o spotkanie z tym stowarzyszeniem już cztery miesiące i nawet nie chcą się spotkać. Tak więc nie jest tak, że te eksperymenty medyczne są jakby zaniechane albo bojaźliwe, lękowe, tylko po prostu nikt za bardzo tym się nie interesuje. Może w ten sposób byśmy powiedzieli. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

To naprawdę było po raz ostatni.

Pan profesor Kowalik.

Kierownik zakładu ŚCO w Kielcach Artur Kowalik:

Ja dokładnie nie znam zapisów tego *no-fault*, ale wydaje mi się, że głównie chodzi o to, że po prostu należy podjąć szeroką publiczną dyskusję. Tu zresztą pani to podnosiła. Chodzi głównie o to, jak mi się wydaje, że u nas nie ma takiego zwyczaju, żeby eksperymentować medycznie, tak bym to ujął. To jest jak gdyby problem. Ludzie mają wiedzę, mają prerogatywy, a sprawa jest taka, że rolą regulatora jest to, że ta terapia... Bo mamy ciała jak GIF itd. itd. Bo wyjątek szpitalny – *ATMP Hospital Exemption* – polega na tym, że najpierw ta terapia musi być zgodnie ze sztuką farmaceutyczną wyprodukowana, spełniać wszystkie normy tak zwanego żywego leku i to dopiero daje podstawę, żeby taki lek zastosować. Oczywiście jeżeli jest uzasadnienie, były bowiem tego typu terapie komórkowe – już nie będę przytaczał – cudowne odciąganie czegoś, wstrzykiwanie gdzieś tam i nadużywanie wyjątku szpitalnego. To było też robione.

W mojej opinii jest tak, że my potrzebujemy tak naprawdę takiej szerokiej dyskusji, również społecznej i tak naprawdę wśród środowiska medycznego, że osoby, które będą leczyły chorych, którzy chcą. Jeżeli będą spełnione te podstawowe warunki produkcji, prowadzenia i wy tłumaczenia komisji bioetycznej, to trzeba po prostu powiedzieć: „Tak, jest terapia. Decyduje się pani?”.

Amerykanie też mają. Większość z tych beznadziejnie chorych ludzi umiera, ale na przykład u kilkunastu do kilkudziesięciu – jak mówię, jak Łazarze – zadziało. Pchają tak powoli naukę, patentują. Taki jest świat.

Proszę państwa, bez eksperymentów medycznych nie da się opatentować czegoś oryginalnego. Ta I/II faza na pacjentach jest konieczna, bo to są rzeczy, które umożliwiają jakąś podstawę do startowania dalej.

Powtarzam, że najpierw trzeba spełnić warunki i zacząć szeroką dyskusję, że jeżeli takie badanie je spełnia, jeżeli pacjenci chcą, bo sami o to dopytują, to proszę bardzo. Osoby, które mają takie możliwości, pracują w takich klinikach, po prostu tego typu rzeczy... Rosenberg też mówił na swojej konferencji jubileuszowej, że idzie, odwiedza jednego chorego, działają TILsy – oni są już na wyższym etapie, modyfikują te limfocyty naciekające guz. To inny model terapii komórkowej. Nie CAR-T, tylko inny, ale oni wymyślili jedno z CAR-T, które Gilead chyba nawet sprzedaje. Mówił: „Idę do drugiego pokoju i widzę, że to nie działa, i pacjent odchodzi”. Też to powiedział. I mówi, że musi poradzić sobie z tym.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo, panie profesorze. Taka dyskusja na pewno powinna być zainicjowana i toczyć się w środowisku lekarskim, w Naczelnej Izbie Lekarskiej, żeby ruszyła dyskusja na ten temat.

Kierownik zakładu ŚCO w Kielcach Artur Kowalik:

Tak, to prawda, tylko musimy rozwiązać pewne prawne, instytucjonalne, regulacyjne kwestie, żeby było wiadomo, że tak, możesz to robić, czujesz się bezpiecznie, zrobiłeś wszystko zgodnie ze sztuką, a jeżeli pacjent zginie, nie masz prawa się obwiniać itd. Tak do przodu pchamy medycynę.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Proszę bardzo.

Rzecznik Stowarzyszenia Onkologicznego SANITAS Aleksandra Rudnicka:

Ja chciałabym się włączyć do tej dyskusji na temat eksperymentu. Myślę, że my mamy tutaj do czynienia z dwoma rodzajami eksperymentów. Eksperymentem, który jest ściśle eksperymentem, i badaniem klinicznym, które też jest eksperymentem. Taka jest definicja badania klinicznego. To jest eksperyment prowadzony pod pewnymi uwarunkowaniami i zabezpieczeniami, którego celem jest sprawdzenie efektywności i bezpieczeństwa leku.

Powiem tak. Nam brak jest rzeczywiście bardzo szerokiej świadomości, także w organizacjach pacjentów, ale my w tej chwili też nadrabiamy, tak jak państwo mówicie, że nadrabiacie 30 lat. Ja ileś lat temu zaczęłam taką pracę z panią prezes GCP Polska i zaczęliśmy uświadamiać pacjentów, czym jest badanie kliniczne i jak ono jest potrzebne. W tej chwili dzięki Agencji Badań Medycznych powstała specjalna grupa. Ta grupa, która się nazywa „Aktywni w Badaniach Klinicznych”, to jest ileś osób. To są liderzy organizacji pacjentów, którzy bardzo czynnie się włączają w to, żeby właśnie upowszechniać wiedzę na temat badań klinicznych wśród pacjentów.

Myślę, że my mamy już coraz więcej narzędzi, żeby to robić, bo to są i wydawnictwa... Ja na przykład w tym tygodniu opublikuję swoje czasopismo, które w całości jest poświęcone badaniom klinicznym.

Taka dyskusja jest potrzebna, ale potrzebne są też działania świadomościowe wśród szerokich rzesz społeczeństwa. Trzeba wyjaśnić, że to jest eksperyment, ale zabezpieczony w sposób odpowiedni, bardzo obwarowany. Tutaj nie ma możliwości takich działań, które by szkodziły pacjentowi, bo pacjent wtedy jest wyłączany po prostu z takiego badania.

To są bardzo istotne rzeczy, bo rzeczywiście – powiem tak – u nas jeszcze nie ma czegoś takiego, co jest, co było w Ameryce i co się zaczęło ileś lat temu w Ameryce, w Stanach, że tam badania były toczone dzięki całemu społeczeństwu. Tam społeczeństwo składało się na to – to nie były pieniądze publiczne, to były pieniądze prywatne – żeby prowadzić badania w określonej dziedzinie. U nas takiej świadomości jeszcze nie ma, tego też się jeszcze nie robi, ale wiem, że na przykład rodzice dzieci z chorobą Duchenne’a, o której mówiliśmy dzisiaj dużo, założyli taką organizację parasolową, gdzie chcą sami prowadzić i finansować badania.

Tak więc przed nami jest jeszcze bardzo dużo do zrobienia. Myślę, że tu trzeba porozumienia i środowiska medycznego, i środowiska pacjentów, bo na przykład na poziomie lekarzy POZ prawie nie istnieje wiedza o badaniach klinicznych. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Pani doktor jeszcze prosi o głos.

Kierownik zakładu NIO – PIB im. Marii Skłodowskiej-Curie Justyna Marynowska:

Tak, bardzo dziękuję.

Jeżeli chodzi o kwestię wiedzy, to rzeczywiście brakuje wiedzy i edukacji i ze strony medycznej, i ze strony pacjenckiej, ale jest jeszcze jedna kwestia. Wszyscy dobrze wiemy, że budżet lekowy nie jest z gumy. Mamy pewne środki w systemie ochrony zdrowia, na podstawie których musimy się porozumiewać. Prawda jest taka, że produkty terapii komórkowych wytwarzane są w większości w centrach onkologii, które są podległe Ministerstwu Zdrowia, i jeżeli mamy pewien budżet lekowy, to również potrzebne nam są pewnego rodzaju oszczędności z zachowaniem dostępności dla pacjentów, żeby pacjent nie był zakładnikiem procesu oszczędnościowego. Toteż powinniśmy wspólnie poszukiwać instytucjonalnie innych ścieżek. Tak jak w innych lekach są leki generyczne albo leki podobne, tak samo w terapiach komórkowych, jeżeli kwota refundacji na produkty komercyjne wynosi x a krajowa produkcja jest od 5 do 10 razy tańsza, to powinniśmy również instytucjonalnie wspierać ten sektor, który jest.

Jest też kwestia demonizowania Stanów Zjednoczonych. Ja miałam wizytację u nas, w Warszawie, lekarzy z Mayo Clinic ze Stanów, którzy przyjechali do nas zobaczyć, w jaki sposób się produkuje TILsy w standardzie GMP w skróconym czasie, bo jest to możliwe. Tak więc to nie jest tak, że tylko my jeździmy do Stanów. Ze Stanów Zjednoczonych też przyjeżdżają do Polski, natomiast – jak mówię – my mamy pewność funkcjonowania. Jest zapewnienie finansowania tej działalności, której utrzymanie infrastrukturalne jest bardzo drogie, dzięki grantom z ABM. Co będzie dalej, nie wiemy i to też jest niepewność inwestowania lub realizacji grantów, że jeżeli ta infrastruktura już jest, to musi mieć zapewnioną ciągłość finansowania i ciągłość możliwości działalności dla pacjentów. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Czy ktoś z państwa chciałby jeszcze zabrać głos? Pan profesor.

Kierownik zakładu ŚCO w Kielcach Artur Kowalik:

Już ostatni raz zabieram głos...

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Nie, bardzo proszę. Pan profesor ma czas do dyspozycji.

Kierownik zakładu ŚCO w Kielcach Artur Kowalik:

Proszę państwa, proszę mieć w świadomości jeszcze inną rzecz, że to też jest konkurencja dla komercyjnych produktów. Te firmy też nie są szczęśliwe, bo wtedy państwo polskie nie staje przed musem kupowania czegoś za 2 mln zł. Niestety tę lekcję musimy odrobić, bo inaczej będziemy kupować zawsze. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Marek Tomasz Hok (KO):

Dziękuję bardzo.

Kto z państwa chciałby jeszcze zabrać głos? Jeżeli nikt, to dziękuję bardzo.

Szanowni państwo, dziękuję za spotkanie, bardzo ciekawe i bardzo potrzebne. Zamykam dyskusję i stwierdzam zakończenie omawiania informacji. Na tym wyczerpaliśmy porządek dzienny posiedzenia.

Zamykam posiedzenie podkomisji. Dziękuję bardzo.