



DLG.050.12.2024.DG
Warszawa, 23 kwietnia 2024

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu RP

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 1947 Pana Posła Czesława Hoca i Marka Grabarczyka, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji będących odpowiedzią na zadane przez Panów Posłów pytania.

- 1. Dlaczego kolejne opóźnienie w realizacji Narodowego Programu, tym razem - „Planu Chorób Rzadkich” (poprzednio, odłożono o ponad rok realizację Narodowej Strategii Onkologicznej). Skąd ta bez troska, opieszałość i brak profesjonalizmu oraz empatii w działaniach Rządu i Ministerstwa Zdrowia? (tym bardziej w dniu „29 lutego – Światowego Dnia Chorób Rzadkich”).**

Dokument Plan dla Chorób Rzadkich, będący załącznikiem do Uchwały Rady Ministrów, ma charakter operacyjny – opisuje działania konieczne do wdrożenia w celu poprawy sytuacji pacjentów z podejrzeniem lub rozpoznaniem choroby rzadkiej.

Zrealizowanie wszystkich zapisanych w Planie zadań wymaga wielokierunkowych działań. Równolegle wdrażane są nowatorskie rozwiązania obejmujące zarówno część medyczną (m.in. nowoczesna diagnostyka) jak część niemedyką – Platforma Informacyjna „Choroby Rzadkie”, Karta pacjenta z chorobą rzadką. Z uwagi na rozległy obszar tematyczny i dużą liczbę działań, pełna realizacja Planu przekroczyła pierwotnie przewidziany termin. Opóźnienia wynikały ze specyfiki obszaru jaki dotyka dokument - niska częstość występowania oraz szczególny charakter chorób rzadkich powoduje, że realizacja oraz wprowadzenie rozwiązań określonych w Planie wymaga wnikliwych analiz oraz współpracy z ekspertami o możliwie szerokim zakresie wiedzy, uwzględniając złożoną diagnostykę, wielodyscyplinarną i wysoko specjalistyczną opiekę medyczną oraz okołomedyczną.

W związku z niepełną realizacją Planu dla Chorób Rzadkich w latach 2021 – 2023, zdecydowano o wydaniu II edycji dokumentu. Zapisy z Planu dla Chorób Rzadkich poddano aktualizacji zgodnie z bieżącym etapem realizacji. Z uwagi na duże znaczenie dokumentu, który ma charakter strategiczno-operacyjny, projekt poddano szczegółowej konsultacji z ekspertami. Zgłoszone uwagi zostały skrupulatnie przeanalizowane i w odpowiednim zakresie włączone do planu. Z uwagi na powyższe, ze względu na charakter dokumentu i nowatorskie rozwiązania w nim zapisane prace nad nowelizacją Planu dla Chorób Rzadkich

przedłużyły się, aczkolwiek zadania, np. te związane z obszarem Ośrodków Ekspertycznych Chorób Rzadkich, są w dalszym ciągu nieprzerwanie realizowane. Dodatkowym czynnikiem powodującym wygaśnięcie I edycji Planu był brak podjęcia w IV kwartale 2023 roku przez ówczesną Radę Ministrów uchwały przedłużającej funkcjonowanie Planu, natomiast pozostały czas po zmianie składu Rady Ministrów nie pozwalał na przyjęcie tego rozwiązania.

II edycja Planu dla Chorób Rzadkich zostanie uchwalona Uchwałą Rady Ministrów.

- 2. Dlaczego Pani Minister w ramach „wczesnego dostępu” do leków zasadniczo przeredagowała (w założeniu – wykreśliła) procedurę stosowania leków w ramach ZPW, czyli Zastosowania Podyktowanego Współczuciem (Compassionate use) – leków badanych w chorobach rzadkich, jeszcze przed rejestracją lub w trakcie takiego wnioskowania, ubiegających się o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu w procedurze centralnej? To poważne utrudnienie, a niejednokrotnie pozbawienie pacjentom cierpiącym na choroby rzadkie dostępu do opieki zdrowotnej wysokiej jakości i innowacyjnej terapii (m.in. tzw. Leków sierocych) ratujących ich życie!**

„Opracowanie zasad prowadzenia programów ZPW” pozostaje jednym z zadań w obszarze *Dostęp do leków, wyrobów medycznych i środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanych w chorobach rzadkich* znajdujący się w projekcie Planu dla Chorób Rzadkich na lata 2024-2025.

Główne założenie Zastosowania Podyktowanego Współczuciem (ZPW) tj. stosowanie leków przed ich formalnym dopuszczeniem przez Europejską Agencję Leków (EMA) pozostało niezmiennie. Jediną istotną zmianą poczynioną w toku prac jest zmiana podmiotu odpowiedzialnego za wykonanie zadania z Ministra Zdrowia na Prezesa Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Wojciech Konieczny
Sekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/