



Minister Zdrowia

ASG.050.47.2026.DG
Warszawa, 11 marca 2026

Pan
Włodzimierz Czarzasty
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

W odpowiedzi na Interpelację nr 15236 Pani Poseł Wioletty Kulpy z dnia 13 lutego 2026 r., w sprawie systemowego wsparcia rodzin dzieci chorych na rzadkie, ciężkie i zagrażające życiu choroby, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji:

Choroby rzadkie, których częstość występowania nie przekracza progu 5 chorych na 10 000 osób, stanowią ogromne wyzwanie dla systemu opieki zdrowotnej. Choroby te mają charakter poważny, przewlekły i często zagrażający życiu. Szacuje się, że choroby rzadkie dotyczą 6–8% populacji każdego kraju. Mając na uwadze dane demograficzne z naszego kraju, należy założyć, że na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej na choroby rzadkie cierpi od 2 do 3 milionów osób.

Obszar chorób rzadkich stał się priorytetem Ministra Zdrowia, co przełożyło się na opracowanie kompleksowych rozwiązań dla systemu opieki zdrowotnej nad chorymi na choroby rzadkie zapisanych w Planie dla Chorób Rzadkich. Celem Planu jest poprawa sytuacji polskich pacjentów cierpiących na choroby rzadkie oraz ich rodzin poprzez stworzenie modelu zintegrowanej opieki zdrowotnej, który umożliwi kompleksową i skoordynowaną opiekę.

Implementację wypracowanych założeń rozpoczął Plan dla Chorób Rzadkich określony w uchwale nr 110 Rady Ministrów z dnia 24 sierpnia 2021 r. w sprawie przyjęcia dokumentu Plan dla Chorób Rzadkich (M.P. poz. 883), realizowany w latach 2021–2023. Następnie i Rada Ministrów podjęła uchwałę nr 88 Rady Ministrów z dnia 13 sierpnia 2024 r. w sprawie przyjęcia dokumentu Plan dla Chorób Rzadkich na lata 2024–2025. Aktualnie Ministerstwo Zdrowia realizuje zadania z dokumentu Plan dla Chorób Rzadkich na 2026 r. przyjętego uchwałą nr 179 Rady Ministrów z dnia 23 grudnia 2025 r.

Plan dla Chorób Rzadkich realizowany jest w obszarach obejmujących organizację leczenia, rozwój diagnostyki, dostępu do leków, rozwiązania informatyczne, prowadzenie platformy informacyjnej oraz działania edukacyjne.

W organizacji kompleksowej i skoordynowanej opieki medycznej nad pacjentami z chorobami rzadkimi kluczową rolę pełnią Ośrodki Eksperckie Chorób Rzadkich (OECR) powołane przez ministra właściwego do spraw zdrowia, które dzięki współpracy z Europejskimi Sieciami Referencyjnych dla Chorób Rzadkich (ESRCR lub ERN) oraz działaniu na obszarze kraju, realizują świadczenia w zakresie diagnostyki i leczenia chorób rzadkich. OECR są powiązane z Europejskimi Sieciami Referencyjnych dla Chorób Rzadkich przez członkostwo w ich strukturach, zgodnie z profilem udzielanych świadczeń opieki zdrowotnej.

Aktualnie w Polsce są 44 Ośrodki Eksperckie Chorób Rzadkich powołane w trybie uznania kompetencji. Ponadto istnieje szereg innych rozpoznawalnych ośrodków, które od lat prowadzą diagnostykę oraz zapewniają leczenie i opiekę pacjentom z określonymi chorobami lub grupami chorób rzadkich. Kolejne ośrodki będą mogły ubiegać się o nadanie statusu OECR po wejściu w życie przepisów ustawy zmieniającej ustawę o świadczeniach zdrowotnych finansowanych ze środków publicznych, gdzie określa się tryb uzyskania statusu OECR. Wielomiesięczne prace nad zapisami ustawy zostały zakończone. Projekt został poddany konsultacjom publicznym. Proces legislacyjny nadal trwa, ale zakłada się, że ustawa wejdzie w życie w 2026 roku.

Niezwykle istotną kwestią jest poprawa diagnostyki chorób rzadkich, która pozwoli na uniknięcie tzw. „odysei diagnostycznej” trwającej od kilku do nawet kilkunastu lat i generuje ogromne koszty dla systemu ochrony zdrowia, a dla pacjenta z chorobą rzadką i jego rodziny jest obciążeniem psychicznym, materialnym i zdrowotnym.

W 2025 r. do wykazu świadczeń gwarantowanych w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej (AOS) dodano 2 nowe badania genetyczne: metodą porównawczej hybrydyzacji genomowej do mikromacierzy (aCGH – Array Comparative Genomic Hybridization) oraz analizę ekspresji genu lub kilku genów (w tym genów fuzyjnych) przy użyciu metody Real-Time PCR – ilościowa reakcja łańcuchowa polimerazy w czasie rzeczywistym (qRT-PCR – Real-Time Quantitative Polymerase Chain Reaction).

Prowadzone są prace nad kolejną zmianą w AOS - wprowadzeniem kolejnych badań genetycznych. Będą to badania: całoeksomowe (WES – Whole Exome Sequencing) z zastosowaniem sekwencjonowania następnej generacji (NGS – Next Generation Sequencing) oraz badanie genomu człowieka metodą sekwencjonowania następnej generacji (NGS) – tzw. małe i średnie panele celowane NGS.

Ważnym elementem systemu ochrony zdrowia jest monitorowanie chorób i problemów zdrowotnych co pozwala określić skali problemu i zapotrzebowanie na określoną opiekę zdrowotną. Centrum e-Zdrowia we współpracy z ekspertami w chorobach rzadkich, przygotowało dziedzinowy system teleinformatyczny pod nazwą System dla Chorób Rzadkich z komponentami pozwalającymi na rejestrację pacjentów z chorobą rzadką w jednym rejestrze, przy wykorzystaniu jednej infrastruktury teleinformatycznej. Z systemu będzie generować się Karta Pacjenta z Chorobą Rzadką. Będzie to zbiór informacji o pacjencie, jego chorobie, ośrodku prowadzącym, szczególnych zaleceniach. Karta, dostępna przez Internetowe Konto Pacjenta, będzie ułatwieniem w komunikacji lekarz-pacjent. System dla Chorób Rzadkich zostanie wprowadzony ustawą zmieniającą ustawę o systemie informacji w ochronie zdrowia. Aktualnie trwają ostatnie uzgodnienia projektu ustawy przed przekazaniem projektu do kolejnego etapu procesu legislacyjnego.

W Planie dla Chorób Rzadkich zapisano również zadanie związane z podnoszeniem świadomości o chorobach rzadkich i rozpowszechnianie informacji o tej specyficznej grupie chorób. W tym celu uruchomiono Platformę Informacyjną chorobyzadkie.gov.pl, gdzie

znajdują się informacje o chorobach rzadkich oraz o ośrodkach eksperckich. Dotychczas odnotowaliśmy 267 960 wyświetleń platformy, 112 154 aktywnych użytkowników, 798 394 interakcji z platformą. Pracujemy nad bieżącą aktualizacją i rozwojem platformy zgodnie z zapotrzebowaniem środowiska. Treści tworzone są przez ekspertów, również tymi, którzy współpracują z Orphanetem -międzynarodową platformą wiedzy o chorobach rzadkich. W 2023 roku zgłoszono i wprowadzono ok. 100 artykułów, 5 artykułów w 2024 oraz 150 artykułów w 2025 roku. Platforma Choroby Rzadkie dostępna jest pod adresem: <https://chorobyrazdkie.gov.pl/pl>.

Szczególnym wyzwaniem dla systemu opieki zdrowotnej jest leczenie farmakologiczne. Leki innowacyjne odgrywają kluczową rolę w postępie medycyny, oferując nowe możliwości terapeutyczne i poprawiając rokowania pacjentów w wielu obszarach, takich jak onkologia, neurologia czy choroby rzadkie. Wpływają na rozwój farmakoterapii, nowych metod leczenia i nowych form leków dając szansę pacjentom, dla których dotychczasowe osiągnięcia medycyny nie pozwalały na skuteczną terapię. Jednym z największych wyzwań jest dostępność finansowa tych terapii, która zależy w dużym stopniu od podmiotów odpowiedzialnych i decyzji refundacyjnych.

Kwestie związane z refundacją reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907, z późn. zm., zwana dalej „ustawą o refundacji”). Zgodnie z zapisami ustawy o refundacji, objęcie refundacją produktu leczniczego w określonym wskazaniu jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej, wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny. Złożony wniosek musi zawierać wszystkie elementy, określone w art. 25. ustawy o refundacji. Wniosek o objęcie refundacją nowej substancji czynnej lub nowego wskazania dla danej substancji czynnej podlega ocenie przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto, instrumentów dzielenia ryzyka oraz wskazania, w którym produkt ma być refundowany. Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej - uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 ustawy o refundacji - Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją produktu we wnioskowanym wskazaniu. Należy jednocześnie wskazać, że w przypadku wydania przez Ministra Zdrowia decyzji o objęciu refundacją i ustaleniu urzędowej ceny zbytu netto, dany produkt leczniczy udostępniany jest polskim pacjentom spełniającym kryteria populacyjne po cenie określonej w ramach tej decyzji. Podkreślić należy również fakt, iż refundacja w ramach mechanizmu systemowego może dotyczyć wyłącznie produktów posiadających pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej.

Ministerstwo Zdrowia zaznacza jednocześnie, że polski system refundacyjny jest systemem wnioskowym, co oznacza, że decyzja o udostępnieniu danego produktu dla pacjentów oraz ubieganie się o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu netto jest autonomiczną decyzją podmiotu odpowiedzialnego, na którą Minister Zdrowia nie posiada realnego wpływu.

Ponadto informuję, że Minister Zdrowia sukcesywnie rozwija listę leków refundowanych, a ostatnie lata stanowiły przełom w liczbie nowych terapii obejmowanych refundacją. Pomimo wyzwań, jakie wiążą się z finansowaniem leków wskazanych w leczeniu chorób rzadkich, którymi są m. in:

- wysokie koszty roczne terapii, które znacznie przekraczają aktualną wysokość prognozy kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (244 821 zł),
- bardzo mało odpowiedników i brak konkurencji cenowej w grupach limitowych oraz całych programach lekowych,

→ trudności w ustaleniu wiarygodnych oraz mierzalnych kryteriów oceny skuteczności ze względu na małą populację leczonych pacjentów, obserwowana jest rosnąca liczba pozytywnych decyzji Ministra Zdrowia w zakresie objęcia refundacją kolejnych produktów leczniczych. Zwiększająca się liczba nowych objęć jest obserwowana szczególnie od 2020 r., gdzie wyraźnie zauważalny jest wzrost obejmowania refundacją wskazań onkologicznych oraz dotyczących chorób rzadkich. Na szczególną uwagę zasługuje rok 2022, w którym zrefundowanych zostało 115 innowacyjnych terapii, z czego 37 dotyczyło chorób rzadkich. Istotnym z perspektywy chorób rzadkich stał się rok 2023, w którym refundacją objęto aż 145 innowacyjnych terapii, w tym 43 dotyczące wskazań rzadkich, natomiast w kolejnym roku było to 36 terapii. Historyczny pozostaje natomiast rok 2025, w którym to Minister Zdrowia objął refundacją rekordową liczbę 152 nowych terapii, z czego 43 wykorzystuje się w leczeniu chorób rzadkich.

Dodatkowo należy wskazać, że w zakresie prac nad stworzeniem lub rozszerzeniem systemowych rozwiązań umożliwiających finansowanie terapii innowacyjnych i genowych dla dzieci chorych na choroby rzadkie, które nie są objęte refundacją oraz planowanych zmiany legislacyjnych lub organizacyjnych mających na celu przyspieszenie procedur decyzyjnych dotyczących dostępu do nowoczesnych terapii, w szczególności w przypadkach pilnych, w Ministerstwie Zdrowia toczą się obecnie prace legislacyjne nad projektem ustawy o zmianie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych oraz niektórych innych ustaw (UD187). Obecnie zbliża się do końca etap konsultacji publicznych i uzgodnień. W wyżej wskazanym projekcie zaproponowano następujące rozwiązania mające na celu wspomóc Ministra Zdrowia w podejmowaniu decyzji dot. refundacji leków w chorobach rzadkich:

- uwzględnienie w postępowaniach refundacyjnych wielokryterialnej analizy decyzyjnej (MCDA). Analiza ta ma stanowić dodatkowy element uzupełniający informacje uwzględniane w procesie podejmowania decyzji refundacyjnych. Uwzględnienie wielokryterialnej analizy nie wiąże się z rezygnacją z żadnego z dotychczasowych elementów, a stanowi dodatkowy element wniosku refundacyjnego – analizy ekonomicznej;
- wprowadzenie analizy wielokryterialnej do oceny leków refundowanych wynika z potrzeby zapewnienia kompleksowego, przejrzystego i sprawiedliwego procesu podejmowania decyzji w polityce zdrowotnej.

Stanowi to również wypełnienie postulatów, które znalazły się w pierwotnej wersji ramowego dokumentu Ministra Zdrowia – Planu dla Chorób Rzadkich. System refundacji leków ma kluczowe znaczenie dla dostępności skutecznych terapii, racjonalnego wydatkowania środków publicznych oraz zwiększenia jakości opieki zdrowotnej. Implementacja MCDA do procesu oceny pozwoli uwzględnić wiele różnorodnych czynników, które mogą być trudne do zintegrowania w standardowym modelu opartym jedynie na analizie kosztów i efektywności. Dzięki temu Polska jako kolejny kraj Europy dołączy do grona państw stosujących zasady MCDA.

Za najważniejsze argumenty należy uznać:

1. Zwiększenie wartości dla pacjentów.

W centrum systemu opieki zdrowotnej powinien zawsze znajdować się pacjent, dlatego włączenie w analizę takich aspektów jak jakość życia, dostępność terapii czy poszczególne preferencje pacjentów przyczynia się do podejmowania decyzji bardziej zorientowanych na potrzeby społeczne.

2. Uwzględnienie różnych perspektyw decyzyjnych.

Decyzje dotyczące refundacji leków wymagają pogodzenia interesów różnych interesariuszy – pacjentów, lekarzy, płatnika, a także producentów leków. MCDA umożliwia uwzględnienie różnorodnych kryteriów, takich jak skuteczność kliniczna, bezpieczeństwo, jakość życia pacjentów, budżetowe skutki dla systemu opieki zdrowotnej oraz aspekty społeczne pozwalając

znaleźć balans między jego poszczególnymi składnikami.

3. Przejrzystość procesu decyzyjnego.

Tradycyjne podejście do oceny refundacyjnej często charakteryzuje się ograniczoną przejrzystością i subiektywnymi decyzjami, które mogą być niezrozumiałe dla społeczeństwa. MCDA pozwala na formalne i transparentne przedstawienie kryteriów oraz wag przepisanych poszczególnym elementom oceny. Stanowi to kluczowy aspekt w zakresie budowania zaufania do procesu decyzyjnego i zwiększenia akceptacji w społeczeństwie.

4. Lepsze dopasowanie do priorytetów polityki zdrowotnej.

Zróznicowane cele polityki zdrowotnej, takie jak promowanie terapii dla chorób rzadkich, wspieranie innowacyjności, czy też redukcja nierówności zdrowotnych, mogą być lepiej realizowane dzięki MCDA. Pozwala ona na bardzo precyzyjne zdefiniowanie priorytetów i ocenę technologii zgodnie z nimi.

5. Adaptacja do zmieniających się warunków rynkowych i medycznych.

Dynamicznie zmieniający się rynek leków, w tym rozwój nowych technologii innowacyjnych terapii, wymaga elastyczności w podejściu do oceny. MCDA pozwala na bieżące dostosowanie kryteriów i wag do aktualnych potrzeb i wyzwań.

Projektowane rozwiązania legislacyjne umożliwią również nadanie Ministrowi Zdrowia uprawnień do wezwania podmiotu odpowiedzialnego do złożenia wniosku refundacyjnego, kierując się w szczególności niezaspokojoną potrzebą zdrowotną oraz racjonalizacją wydatków płatnika. Podmiot odpowiedzialny przedkładając wniosek zgodny z wezwaniem Ministra Zdrowia upoważniony będzie do skorzystania z preferencyjnych warunków procedowania takiego wniosku, w tym szybszej ścieżki dla leków w terapii skojarzonej. Preferencje uzależnione zostały od obowiązujących okresów ochronnych (wyłącznieść rynkowa, patent) danego produktu leczniczego. Opłata za analizę weryfikacyjną dla leków objętych okresem ochronnym, które dotychczas nie były refundowane, będzie zredukowana o połowę, jednocześnie dla leków nie objętych okresami ochronnymi, w stosunku do których nie istnieją formalne przeciwwskazania do wejścia na rynek ich odpowiedników, nie będzie konieczności przedkładania kompletu analiz HTA jak ma to miejsce w przypadku standardowej procedury refundacyjnej dla nowych terapii. Tryb wnioskowy stanowiący elementarną zasadę obowiązującego systemu refundacyjnego pozostaje niezmienny, bowiem złożenie wniosku o objęcie refundacją pozostanie autonomiczną decyzją podmiotu odpowiedzialnego

Poza wskazanymi powyżej działaniami zmierzającymi do rozszerzenia dostępu do produktów leczniczych stosowanych w terapii chorób rzadkich, należy wskazać, że w związku z publikacją w dniu 15 grudnia 2025 r. znowelizowanych przepisów ustawy z dnia 7 października 2020 r. o Funduszu Medycznym (Dz. U z 2025 r. poz. 889, z późn. zm.), z dniem 1 stycznia 2026 r. utworzony został nowy subfundusz – subfundusz chorób rzadkich u dzieci. Ze środków tego subfunduszu mogą być finansowane koszty świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych osobom do ukończenia 18 r.ż. w zakresie leczenia chorób rzadkich, produktami leczniczymi terapii zaawansowanej („ATMP”), podawanymi jednorazowo w leczeniu szpitalnym, które dotychczas nie były finansowane ze środków publicznych.

Powyższe leczenie jest możliwe w przypadku spełnienia łącznie następujących warunków:

1) uzyskania przez świadczeniodawcę pozytywnej opinii konsultanta krajowego w dziedzinie medycyny odpowiedniej ze względu na chorobę rzadką albo konsultanta wojewódzkiego w tej dziedzinie, która zawiera ocenę zasadności zastosowania ATMP u danej osoby, zawierającą w szczególności przedstawienie dowodów naukowych uprawdopodobniających przewagę kliniczną tego produktu leczniczego nad najlepszą dostępną terapią w ramach świadczeń gwarantowanych;

2) wyczerpania u danej osoby wszystkich możliwych do zastosowania w chorobie rzadkiej dostępnych technologii medycznych finansowanych ze środków publicznych;

3) dopuszczenia do obrotu produktu leczniczego terapii zaawansowanej zgodnie z art. 3 ustawy z dnia 6 września 2001 r. - Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2025 r. poz. 750,

z późn. zm.) lub pozostawania w obrocie na podstawie art. 29 ust. 5 lub 6 tej ustawy.\

Koszty leczenia pokrywane są ze środków subfunduszu chorób rzadkich u dzieci w drodze dotacji celowych przekazywanych przez Ministra Zdrowia na rzecz Narodowego Funduszu Zdrowia, który następnie rozdysponowuje je pomiędzy poszczególnych świadczeniodawców.

Łączna wysokość dotacji przekazanych Narodowemu Funduszowi Zdrowia w danym roku, nie może przekroczyć kwoty 250 mln zł. Wartość kwoty podlega corocznej waloryzacji o średnioroczny wskaźnik cen towarów i usług konsumpcyjnych ogółem, w poprzednim roku kalendarzowym.

Odnosząc się do kwestii wskazanej w pytaniu 2 interpelacji, dotyczącej możliwości utworzenia dedykowanego funduszu lub innego mechanizmu finansowego, który umożliwiłby szybki i realny dostęp do leczenia w przypadkach zagrożenia życia dziecka, należy wskazać, że w polskim systemie prawnym istnieją już trzy rozwiązania, które umożliwiają zapewnienie powyższego w ramach mechanizmów indywidualnej refundacji, tj. procedura ratunkowego dostępu do technologii lekowych („RDTL”), procedura importu docelowego oraz subfundusz chorób rzadkich u dzieci.

Pierwsze z nich – RDTL - zaimplementowane zostało do polskiego systemu prawnego już w lipcu 2017 r., a w obecnym kształcie funkcjonuje od dnia 26 listopada 2020 r. W ramach RDTL możliwe jest sfinansowanie kosztów produktu leczniczego, który nie jest obecnie finansowany ze środków publicznych, na potrzeby pacjenta, u którego w toku dotychczasowego leczenia zostały już wyczerpane dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych w danym wskazaniu. Możliwość ubiegania się o sfinansowanie leku w ramach RDTL dotyczy obecnie szpitali III stopnia oraz szpitali ogólnopolskich, onkologicznych, pulmonologicznych oraz dziecięcych, a warunkiem uzyskania zgody na sfinansowanie leku podawanego pacjentowi w ramach RDTL jest uzyskanie przez świadczeniodawcę opinii konsultanta wojewódzkiego lub krajowego w dziedzinie medycyny właściwej ze względu na chorobę pacjenta, poświadczającej zasadność wdrożenia leczenia i przekazanie jej do właściwego oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia. W przypadku kontynuacji leczenia, świadczeniodawca zgłasza do właściwego oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia zamiar dalszego prowadzenia terapii, potwierdzając jednocześnie skuteczność dotychczasowego leczenia prowadzonego w ramach RDTL. Należy przy tym zaznaczyć, że finansowaniu w ramach RDTL mogą podlegać leki posiadające pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, które są dostępne na polskim rynku i nie znajdują się na wykazie leków niepodlegających finansowaniu w ramach RDTL, publikowanym w Biuletynie Informacji Publicznej Ministerstwa Zdrowia.

W ramach RDTL możliwe jest sfinansowanie leków na potrzeby danego pacjenta, niezależnie od jego wieku – w samym tylko 2025 r. sfinansowano koszty leków u ponad 1,2 tys. pacjentów pediatrycznych. Część środków została przeznaczona na leczenie pacjentów pediatrycznych lekami stosowanymi w terapii chorób rzadkich np. Qarziba – leczenie nowotworu o typie neuroblastoma, Epidyolex (kannabidiol) – w terapii lekoopornych napadów padaczkowych, Revolade (eltrombopag) – w terapii samoistnej plamicy małopłytkowej, Kaftrio (iwakaftor + tezakaftor + elexakaftor) oraz Kalydeco (iwakaftor) – w terapii mukowiscydozy).

Uzyskanie przez świadczeniodawcę zgody na sfinansowanie leku w ramach RDTL na potrzeby danego pacjenta oznacza, że pacjent zyskuje dostęp do terapii lekiem niefinansowanym ze środków publicznych w ramach innych mechanizmów refundacji, nie ponosząc przy tym żadnych kosztów związanych z zakupem i podaniem leku.

Drugie z istniejących rozwiązań – procedura importu docelowego - umożliwia sprowadzenie z zagranicy produktów leczniczych bez konieczności uzyskania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w przypadku ratowania życia lub zdrowia pacjenta, od warunkiem że dany produkt leczniczy jest dopuszczony do obrotu w kraju, z którego jest sprowadzany i posiada aktualne pozwolenie dopuszczenia do obrotu i jednocześnie produkt ten nie posiada dopuszczonych do obrotu na terytorium Polski odpowiedników. Decyzję o wszczęciu procedury importu docelowego podejmuje lekarz prowadzący w przypadku konieczności zastosowaniu w terapii pacjenta produktu leczniczego niedopuszczonego do obrotu na terytorium Polski (lub niedostępnego w obrocie na polskim rynku). W przypadku, gdy Minister Zdrowia wyda zgodę na sprowadzenie produktu leczniczego z zagranicy, pacjent ma możliwość ubiegania się o jego refundację. W celu ubiegania się o refundację sprowadzanego produktu leczniczego z zagranicy, pacjent składa do Ministra Zdrowia stosowny wniosek o wydanie zgody na refundację wraz z kopią dokumentu poświadczającego ubezpieczenie pacjenta lub złożonym podpisem pod stosownym oświadczeniem na wniosku. W przypadku wydania przez Ministra Zdrowia decyzji o wyrażeniu zgody na refundację produktu leczniczego sprowadzanego z zagranicy na potrzeby danego pacjenta, pacjent ma możliwość nabycia leku po wniesieniu opłaty ryczałtowej (3,20 zł brutto) za opakowanie jednostkowe, niezależnie od rynkowej ceny tego leku.

W ramach refundacji w procedurze importu docelowego finansowane są leki stosowane m.in. w leczeniu chorób rzadkich u dzieci, takie jak: Kuvan (saproteryyna) – na potrzeby pacjentów nietypowymi postaciami fenyloketonurii, Calcort (deflazakort) – na potrzeby pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne’a, Ztalmy (ganaxolon) – na potrzeby pacjentów z padaczką związaną z niedoborem CDKL5, Inovelon (rufinamid) – dla pacjentów z padaczką o typie zespołu Lennox-Gastaut, Chenodeoxycholic Acid Leadiant – dla pacjentów z żółtakowością mózgowo-ścięgienistą.

Trzecie z istniejących rozwiązań – subfundusz chorób rzadkich u dzieci – utworzone zostało z dniem 1 stycznia 2026 r. i umożliwia sfinansowanie kosztów świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych osobom do ukończenia 18. roku życia w zakresie leczenia chorób rzadkich z zastosowaniem ATMP, podawanych jednorazowo w leczeniu szpitalnym, nieobjętych finansowaniem na podstawie art. 15 ust. 2 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461, z późn. zm). Powyższe oznacza, że w przypadku tego subfunduszu umożliwiające zostanie finansowanie ATMP, będących niejednokrotnie lekami wykorzystującymi najnowsze osiągnięcia biotechnologii oraz inżynierii genetycznej, ze szczególnym uwzględnieniem terapii genowych, komórkowych lub tkankowych. Obecnie ATMP mają praktyczne zastosowanie w leczeniu wielu chorób, w tym chorób nowotworowych (np. terapie wykorzystujące komórki CAR-T w leczeniu m.in. chłoniaków, białaczek oraz szpiczaka) oraz chorób genetycznych (np. refundowane już w Polsce terapie genowe – Zolgensma (w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni) oraz Luxturna (w leczeniu dziedzicznej dystrofii siatkówki), w tym także chorób metabolicznych (np. Upstaza – w terapii deficytu dekarboksylazy L-aminokwasów aromatycznych), hemofilii (Hemgenix) oraz wielu innych schorzeń. Należy jednocześnie wskazać, że ATMP cechują się olbrzymim potencjałem terapeutycznym, a liczba wskazań, w leczeniu których rejestrowane są produkty lecznicze o cechach ATMP stale wzrasta.

W odpowiedzi na pytanie dotyczące działań podejmowanych przez Ministerstwo Zdrowia w celu ograniczenia sytuacji, w których rodziny zmuszone są do organizowania publicznych zbiórek na leczenie swoich dzieci, uprzejmie informuję, że obecnie w polskim systemie prawnym funkcjonują już rozwiązania, które poprzez stworzenie możliwości uzyskania przez pacjentów dostępu do produktów leczniczych niedostępnych w obrocie w Polsce, jak również produktów leczniczych dostępnych w obrocie w Polsce, lecz niepodlegających finansowaniu ze środków publicznych, efektywnie ograniczają konieczność ubiegania się przez pacjentów (lub ich opiekunów) o sfinansowanie

leku w ramach zbiórek publicznych.

Jednocześnie należy zaznaczyć, że w przypadku wszystkich wymienionych powyżej mechanizmów (tj. RDTL, importu docelowego oraz subfundusz chorób rzadkich u dzieci), decyzję o wszczęciu poszczególnych procedur podejmuje każdorazowo lekarz prowadzący leczenie danego pacjenta.

Uprzejmie informuję, że do Ministerstwa Zdrowia również wpłynęła Uchwała Nr 160/XVIII/2026 Rady Powiatu w Płocku z dnia 28 stycznia 2026 r. Powyższe informacje zostaną również przekazane do Radnych Powiatu w Płocku.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Tomasz Maciejewski
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/