



Minister Zdrowia

PLR2.050.11.2026.1.DW
Warszawa, 15 marca 2026

Pan Włodzimierz Czarzasty
Marszałek Sejmu Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na zapytanie (K10ZAP3144) z 20 lutego 2026 r. w sprawie *zapewnienia ciągłości leczenia dzieci z postępującą rodzinną cholestazą wewnątrzwątrobową (PFIC)*, Minister Zdrowia przekazuje poniższe informacje.

Na wstępie należy wskazać, iż 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 2026 r. poz. 253), zwana dalej „ustawą o refundacji”.

Na mocy art. 37 ustawy z 17 sierpnia 2023 r. o zmianie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2023 r. poz. 1938), minister właściwy do spraw zdrowia ogłasza, raz na trzy miesiące, w drodze obwieszczenia, wykaz refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych w stosunku do których wydano decyzje o objęciu refundacją. Treść każdego programu lekowego jest publikowana jako załącznik do wyżej wymienionego obwieszczenia i dostępna na stronie:

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekowrefundowanych>

Program lekowy to świadczenie gwarantowane, którego zakres definiuje opis programu lekowego, w tym w szczególności informacje dotyczące kryteriów kwalifikacji do programu, kryteriów wyłączenia z programu, schematu dawkowania oraz sposobu podawania leków w programie, monitorowania wyników leczenia, a także czasu leczenia. Warunkiem włączenia do programu lekowego, jak

i wyłączenia z programu jest spełnienie kryteriów zawartych w jego opisie. W tym miejscu należy podkreślić, iż decyzja o włączeniu do programu lekowego oraz o wyłączeniu chorego z programu, jak również o wstrzymaniu leczenia (na podstawie treści programu lekowego) leży w kompetencji lekarza prowadzącego terapię pacjenta.

Zgodnie z art. 16a ustawy o refundacji Minister Zdrowia tworzy opisy programów lekowych po zasięgnięciu opinii konsultanta krajowego lub konsultanta wojewódzkiego z odpowiedniej dziedziny medycyny, a w uzasadnionych przypadkach również medycznego towarzystwa naukowego z danej dziedziny medycyny. Opis programu lekowego podlega opiniowaniu przez Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a następnie minister właściwy do spraw zdrowia przedstawia opis do zaopiniowania wnioskodawcy.

Zgodnie z opisem przedmiotowego programu lekowego:

W programie finansuje się leczenie następującymi substancjami:

1) odewiksybat,

zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami.

1. Kryteria kwalifikacji:

1) kliniczne rozpoznanie PFIC typu 1 lub PFIC typu 2;

2) wiek 6 m. ż. i powyżej;

3) potwierdzenie genetyczne PFIC-1 (w genie ATP8B1) lub PFIC-2 (w genie ABCB11);

4) masa ciała powyżej 5 kg;

5) podwyższone stężenie kwasów żółciowych w surowicy (s-BA) ($\geq 100 \mu\text{mol/l}$);

6) w wywiadzie uporczywy świąd tj. wynik w skali ObsRO ≥ 2 w ciągu 2 tygodni przed włączeniem do programu;

7) nieskuteczność kwasu ursodeoksycholowego oraz brak odpowiedzi na jeden z leków stosowanych w leczeniu świądu u pacjentów z chorobami cholestatycznymi (żywice jonowymienne, fibraty, ryfampicyna, naltrekson);

Powyższe kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.

Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni odewiksybatem w ramach innego sposobu finansowania terapii, za wyjątkiem trwających badań klinicznych tego leku, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.

Należy wskazać, iż powyższy zapis został wprowadzony do programów lekowych jako forma preferencji dla pacjentów, którzy nie spełniają kryteriów włączenia do programu, lecz wymagają kontynuacji leczenia substancjami finansowanymi w ramach innego sposobu finansowania terapii (np. ratunkowego dostępu do technologii lekowych, RDTL). Podkreślenia wymaga fakt, iż przedmiotowy zapis programu lekowego **ma charakter warunkowy – przewiduje możliwość odstępstwa od spełnienia podstawowych kryteriów kwalifikacji wyłącznie w sytuacjach kontynuacji leczenia tym samym produktem leczniczym, rozpoczętego w ramach innego sposobu finansowania i stanowi wyjątek od ogólnych zasad kwalifikacji do programu.**

Minister zwraca również uwagę, iż zobowiązania finansowe przyjęte przez ministra właściwego do spraw zdrowia oraz podmiot odpowiedzialny, obligują strony do bezwzględnego przestrzegania ustalonych warunków, w tym w szczególności dotyczących zdefiniowanej kryteriami kwalifikacji do leczenia populacji. Z uwagi na wysoki koszt leczenia *odewiksybatem*, który jest dodatkowo ściśle związany z masą ciała pacjenta, nawet najmniejsza zmiana w zakresie populacji kwalifikowanej do terapii może mieć istotne konsekwencje dla poczynionych ustaleń oraz oszacowanych na ten cel wydatków ze środków publicznych.

Jednocześnie należy wyraźnie zaznaczyć, iż niezależnie od prowadzonego w przeszłości procesu terapeutycznego, każdy pacjent uprawniony do korzystania ze świadczeń gwarantowanych, po spełnieniu kryteriów kwalifikacji zdefiniowanych osobno w każdym programie lekowym w stosunku do finansowanych w nim technologii lekowych, ma prawo do bezpłatnego leczenia zgodnie z harmonogramem określonym zapisami programu. Tym samym, nie ma przeciwwskazań aby pacjent uprzednio leczony w badaniu, spełniający wymagane kryteria kwalifikacji został objęty terapią finansowaną w ramach programu lekowego.

Odnosząc się do postawionego pytania, formuła realizacji świadczeń gwarantowanych w ramach programów lekowych funkcjonuje od wielu lat, przy czym Ministerstwo Zdrowia nie zmienia doraźnie powszechnych zasad realizacji tej grupy świadczeń, które znane są wszystkim uczestnikom systemu ochrony zdrowia. Ministerstwo Zdrowia nie kwestionuje zasadności i celowości uczestnictwa pacjentów w badaniach klinicznych, natomiast kwestią bezsporną jest fakt, iż pacjent korzystający z rozwiązań wykraczających poza standardowe formy refundacji terapii powinien być świadomy ewentualnych konsekwencji, przy czym mowa tu nie tylko o konsekwencjach klinicznych mających wpływ na zdrowie pacjenta, ale również administracyjno-prawnych. Świadoma zgoda uczestnika badań klinicznych poprzedzona winna być wnikliwą informacją w zakresie tego co będzie miało miejsce po zakończeniu badania klinicznego, jakie opcje terapeutyczne będą dostępne dla pacjenta po zakończeniu badania, czy sponsor badania zobowiązuje się do nieodpłatnego dostarczania leków – jeżeli tak to przez jak długi okres, ale również jakie opcje hipotetycznie mogą znaleźć się w systemie w najbliższych latach, ponieważ okres rekrutacji jest wstępnym etapem badania, a samo badanie często trwa kilka lat, i właśnie z tego względu ważne jest aby pacjent miał pełny ogląd na sytuację bieżącą oraz potencjalne zmiany w niedalekiej przyszłości w momencie poprzedzającym jego włączenie do badania klinicznego. Jeśli pacjent skorzysta z niestandardowej ścieżki leczenia jaką są badania kliniczne innymi lekami niż te, które są finansowane przez polskiego płatnika publicznego, w tym momencie to pacjent przejmuje na siebie ryzyko ewentualnego wykluczenia bądź opóźnienia włączenia terapii finansowanej systemowo przez Narodowy Fundusz Zdrowia. Jak już wcześniej wskazano, przypadek inhibitorów transportera kwasów żółciowych (IBAT) sprowadza się do sytuacji, w której uczestnicy badania leczenia byli technologią, która nie jest aktualnie objęta refundacją we wskazaniu PFIC. Tym samym, nie ma mowy o kontynuacji terapii, a o włączeniu pacjentów do leczenia innym produktem leczniczym, co zgodnie z zapisami programu lekowego musi zostać poprzedzone spełnieniem kryteriów kwalifikacji, niezależnie od wcześniejszego postępowania terapeutycznego u danego pacjenta. **Wymaganie to jest nieodłącznym elementem funkcjonowania programów lekowych, zapewniając jednolite, przejrzyste i równe wobec wszystkich obywateli kryteria kwalifikacji do przedmiotowego świadczenia gwarantowanego.**

Zasady oraz długość leczenia w badaniu klinicznym są określane już na etapie jego modelowania. Obowiązkiem lekarza prowadzącego oraz badacza jest wskazanie potencjalnych konsekwencji, o których mowa powyżej, w sposób umożliwiający pacjentowi podjęcie świadomej decyzji o uczestnictwie w badaniu z uwzględnieniem indywidualnego bilansu potencjalnych korzyści i ryzyka związanego z udziałem w badaniu.

W zakresie dotyczącym możliwości wprowadzenia mechanizmu pomostowego gwarantującego nieprzerwane leczenie pacjentów pediatrycznych z PFIC należy wskazać, że obecnie trwają prace analityczno-koncepcyjne nad mechanizmem „*compassionate use*”, wymienionym w art. 83 Rozporządzenia (WE) Parlamentu Europejskiego i Rady nr 726/2004z dnia 31 marca 2004 r. umożliwiającym udostępnienie produktu leczniczego będącego przedmiotem wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, jednak jeszcze jego nieposiadającym, do indywidualnego stosowania. Należy jednocześnie wskazać, że produkty lecznicze przeznaczone do stosowania w ramach wskazanego powyżej mechanizmu mogą być stosowane w odniesieniu do pacjentów z chroniczną lub poważną wycieńczającą chorobą, którzy nie mogą być skutecznie leczeni z zastosowaniem dopuszczonego do obrotu produktu leczniczego.

Zgodnie z art. 47 ust 1 ustawy o świadczeniach procedura ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL) może być zastosowana *w przypadku uzasadnionej i wynikającej ze wskazań aktualnej wiedzy medycznej potrzeby zastosowania u świadczeniobiorcy leku, który nie jest finansowany ze środków publicznych w danym wskazaniu, jeżeli jest to niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia świadczeniobiorcy we wskazaniu występującym u jednostkowych pacjentów, a zostały już wyczerpane u danego świadczeniobiorcy wszystkie możliwe do zastosowania w tym wskazaniu dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych(...)*. Oznacza to, że procedura RDTL może być zastosowana w przypadku braku możliwości leczenia pacjenta w ramach dostępnych terapii finansowanych ze środków publicznych (w tym również programów lekowych). W ramach procedury RDTL finansowane mogą być wyłącznie produkty lecznicze posiadające pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, będące w obrocie na polskim rynku, które dodatkowo nie znajdują się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach

procedury RDTL, publikowanym regularnie w Biuletynie Informacji Publicznej Ministerstwa Zdrowia. Należy jednocześnie wskazać, że umieszczenie danego leku na wykazie produktów leczniczych nie finansowanych w ramach procedury RDTL wynika wprost z wypełnienia przez dany lek kryteriów wskazanych w art. 47 ust. 3 pkt 1-4 ustawy o świadczeniach.

W tym miejscu należy podkreślić, że wszelkie decyzje o wdrożeniu danej terapii medycznej do leczenia oraz czasie jej trwania należą do lekarza. Zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentysty (Dz. U. z 2026 r. poz. 37), lekarz ma obowiązek wykonywać zawód, zgodnie ze wskazaniami aktualnej wiedzy medycznej, dostępnymi mu metodami i środkami zapobiegania, rozpoznawania i leczenia chorób, zgodnie z zasadami etyki zawodowej oraz z należytą starannością. Lekarz jest osobą odpowiedzialną za dokonanie rozpoznania, ocenę stanu pacjenta i wybór najkorzystniejszej metody leczenia w danym przypadku klinicznym.

Świadczeniodawcami uprawnionymi do ubiegania się o finansowanie leczenia w ramach procedury RDTL są szpitale III stopnia, szpitale ogólnopolskie, onkologiczne, pediatryczne oraz pulmonologiczne.

W przypadku podjęcia decyzji o wdrożeniu leczenia w ramach wyżej wymienionej procedury, świadczeniodawca zobowiązany jest do uzyskania zgody konsultanta wojewódzkiego lub krajowego w dziedzinie medycyny właściwej ze względu na chorobę pacjenta, która powinna następnie zostać przekazana do właściwego oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia. W przypadku kontynuacji leczenia, świadczeniodawca przekazuje do właściwego oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia informację o zamiarze kontynuacji leczenia danego pacjenta w ramach procedury RDTL wraz z potwierdzeniem dotychczasowej skuteczności leczenia w ramach tej procedury. Narodowy Fundusz Zdrowia po akceptacji wniosku wyraża następnie zgodę na terapię w ramach procedury RDTL.

Należy w tym miejscu wskazać, iż produkt leczniczy Livmarli posiada pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Unii Europejskiej wydane w dniu 9 grudnia 2022 r. Wskazania do stosowania leku obejmują m.in. leczenie PFIC u pacjentów w wieku 3 miesięcy i starszych. Produkt leczniczy Bylvay posiada pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Unii Europejskiej wydane w dniu 16 lipca

2021 r. Lek zarejestrowany jest do leczenia PFIC u pacjentów w wieku od 6 miesięcy. Oba powyższe produkty lecznicze są dostępne na polskim rynku.

Jednocześnie koniecznym jest ponowne podkreślenie, że zastosowanie procedury RDTL nie jest możliwe w sytuacji, gdy dany lek w tym samym wskazaniu jest finansowany ze środków publicznych, a produkt z substancją *odewiksybat* jest finansowany w ramach programu lekowego B.152.FM.

Odnosząc się do kwestii analizy koszt–efektywność terapii IBAT w kontekście zapobiegania przeszczepom wątroby Minister Zdrowia informuje, iż odniesieniu do przedmiotowej technologii lekowej należy wskazać, iż zgodnie z art. 40a ust. 7 ustawy o refundacji, na 90 dni przed zakończeniem okresu objęcia refundacją technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności, jaką jest *odewiksybat*, Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji publikuje **raport dotyczący oceny efektywności klinicznej i jakości leczenia wynikającej ze stosowania danej technologii**. Ocena ta dokonywana jest w oparciu o dane pozyskiwane z rejestrów medycznych bądź z elektronicznego systemu monitorowania programów lekowych, o którym mowa w art. 188c ust. 1 ustawy o świadczeniach. Decyzja w przedmiocie objęcia refundacją leku Bylvay w ramach programu lekowego B.152.FM obowiązuje do 31.12.2027 r., w związku z czym bliżej końca okresu jej obowiązywania możliwe będzie dokonanie kompleksowej oceny efektywności klinicznej oraz jakości leczenia z wykorzystaniem *odewiksybatu*, w oparciu o dane pochodzące z rzeczywistej praktyki klinicznej zgromadzone w systemie monitorowania programów lekowych. Warto w tym miejscu podkreślić, że powyżej opisane mechanizmy ewaluacji dodatkowo ograniczają w pewnym sensie możliwość dokonywania zmian w zakresie warunków finansowania ze środków publicznych (Fundusz Medyczny) technologii lekowej przed upływem decyzji refundacyjnej, w tym w szczególności w zakresie populacji kwalifikowanej do leczenia.

W kwestii zmian legislacyjnych wzmacniających ochronę małych pacjentów w chorobach ultrarazadkich należy w tym miejscu przytoczyć funkcjonujący od niedawna subfundusz chorób rzadkich u dzieci w ramach Funduszu Medycznego, który stanowi dedykowany instrument finansowy wprowadzony w drodze zmian legislacyjnych mających na celu wzmocnienie mechanizmów wsparcia dla szczególnej kategorii pacjentów – dzieci dotkniętych chorobami rzadkimi, w tym

chorobami ultrarzadkimi. Rozwiązanie to zostało przewidziane w nowelizacji przepisów regulujących funkcjonowanie Funduszu Medycznego i ma służyć zapewnieniu stabilnego źródła finansowania leczenia pacjentów pediatrycznych wymagających zastosowania zaawansowanych, często bardzo kosztownych technologii medycznych. W ujęciu systemowym utworzenie wskazanego subfunduszu należy postrzegać jako element rozwoju polityki zdrowotnej państwa ukierunkowanej na ograniczanie nierówności w dostępie do świadczeń zdrowotnych oraz na zwiększenie dostępności nowoczesnych terapii dla pacjentów z chorobami rzadkimi.

Ponadto, 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 zmian legislacyjnych lub organizacyjnych, 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 uzgadniania. 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.

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 Ministerstwa 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:

- 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.

- 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.

- 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.

- Lepsze dopasowanie do priorytetów polityki zdrowotnej

Zróżnicowane 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.

- 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.

- Nadanie ministrowi właściwemu do spraw zdrowia możliwości 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 właściwego do spraw 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 (wyłącznie 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 co 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.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Katarzyna Kacperczyk
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/