



Minister Zdrowia

PLR2.050.32.2026.DG
Warszawa, 01 czerwca 2026

**Pan
Włodzimierz Czarzasty
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej**

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 16854 Pana Witolda Tumanowicza, Posłana Sejm Rzeczypospolitej Polskiej w sprawie dramatycznej sytuacji polskiej grupy pacjentów zmagających się z deficytem lizosomalnej kwaśnej lipazy (LAL-D), Minister Zdrowia przekazuje poniższe informacje.

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”.

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.

Podmiot odpowiedzialny leku Kanuma (*sebelipazum alfa*) dwukrotnie starał się o wprowadzenie przedmiotowej technologii do systemu refundacyjnego:

- wnioskiem z 6.08.2020 r., z wydaną negatywną opinią Rady Przejrzystości (nr 56/2021 z 24.05.2021 r.) oraz negatywną rekomendacją Prezesa Agencji (nr 56/2021 z 25.05.2021 r.),

- wnioskiem z 15.12.2023 r., z wydaną warunkowo pozytywną opinią Rady Przejrzystości (nr 63/2024 z 8.07. 2024 r.) oraz negatywną rekomendacją Prezesa Agencji (nr 66/2024 z 10.07.2024 r.).

Minister Zdrowia, mając na uwadze uzyskanie jak największych efektów zdrowotnych w ramach dostępnych środków publicznych, biorąc pod uwagę wszystkie kryteria decyzji o objęciu refundacją wskazane w art. 12 ustawy o refundacji tj.:

- 1) stanowiska Komisji Ekonomicznej, o której mowa w art. 17,
- 2) rekomendacji Prezesa Agencji, o której mowa w art. 35 ust. 6,
- 3) istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,
- 4) skuteczności klinicznej i praktycznej,
- 5) bezpieczeństwa stosowania,
- 6) relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania,
- 7) stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym,
- 8) konkurencyjności cenowej,
- 9) wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców,
- 10) istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania,
- 11) wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3-10,
- 12) mapy potrzeb zdrowotnych, o której mowa w art. 95a ust. 1 ustawy o świadczeniach,
- 13) wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz.U. z 2021 r. poz. 151), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia,
- 14) zobowiązania do zapewnienia ciągłości dostaw, o którym mowa w art. 25 pkt 4
- biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny,

dwukrotnie odmówił objęcia refundacją leku Kanuma (sebelipazum alfa) na zaproponowanych przez podmiot odpowiedzialny warunkach.

Drugie postępowanie administracyjne, w którym lek otrzymał pozytywne warunkowo Stanowisko Rady Przejrzystości, z warunkiem ograniczenia populacji do wczesnej postaci choroby (ciężka postać) i obniżenia kosztów terapii, zakończyło się w grudniu 2024 r. wydaniem negatywnej decyzji Ministra Zdrowia. W obu przytoczonych postępowaniach Prezes Agencji, którego opinia jest jednym z wymienionych powyżej kryteriów art. 12 ustawy o refundacji, nie rekomendował objęcia refundacją produktu, jednak wskazywał taką możliwość w populacji z wczesną postacią choroby po obniżeniu kosztów terapii.

Minister Zdrowia, w procesie zakończonym w 2024 roku, wykazał znaczne zainteresowanie omawianą terapią – zaproponowane warunki cenowe były adekwatne do ryzyka, które wiąże się z przyjęciem do refundacji systemowej technologii o zróżnicowanym, indywidualnym schemacie dawkowania (w postaci wczesnej od 1 do 7,5 mg/kg mc podawane raz w tygodniu; w postaci późnej od 1 do 3 mg/kg mc podawane raz na dwa tygodnie). Mając w portfolio leków refundowanych inne enzymatyczne terapie zastępcze, Minister Zdrowia jest świadomy zagrożeń finansowych wynikających z przyjęcia takich terapii do systemu, jednak nie stoi to na przeszkodzie do ich finansowania przy zachowaniu odpowiednich warunków finansowych. Należy tutaj wskazać, iż Minister Zdrowia nie brał pod uwagę w procesach refundacyjnych produktu Kanuma zawężenia wskazania refundacyjnego do wczesnej postaci choroby, pomimo wskazywania takiej możliwości przez AOTMiT i znacznego ograniczenia tym działaniem wpływu na budżet płatnika publicznego – przedmiotowa technologia, wprowadzona na adekwatnych warunkach cenowych powinna być dostępna dla wszystkich wymagających leczenia pacjentów.

Aktualnie, w celu rozważenia objęcia refundacją systemową leku Kanuma w całej lub zawężonej do ciężkiej postaci choroby populacji, niezbędne jest ponowne złożenie wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto przez podmiot odpowiedzialny i przejście pełnej ścieżki refundacyjnej, opisanej na wstępie. Na dzień przekazania niniejszego pisma, do Ministerstwa Zdrowia nie został przedłożony wniosek o objęcie refundacją omawianego leku.

Na chwilę obecną Minister Zdrowia nie posiada narzędzi służących wezwaniu podmiotu odpowiedzialnego do przedłożenia wniosku. Takie narzędzie zaproponowane jest w ramach procedowanej nowelizacji ustawy o refundacji. Projektowane rozwiązania legislacyjne umożliwią nadanie Ministrowi Zdrowia uprawnień do wezwania podmiotu odpowiedzialnego do złożenia wniosku refundacyjnego, kierując się w szczególności niezaspokojoną potrzebą zdrowotną oraz racjonalizacją wydatków płatnika.

Odnosząc się do możliwości włączenia LAL-D do programu badań przesiewowych noworodków Minister Zdrowia wskazuje, iż badania przesiewowe noworodków w Polsce są prowadzone na podstawie programu polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia pn. *Rządowy*

program badań przesiewowych noworodków na lata 2019 – 2026. Aktualnie wszystkie noworodki badane są pod kątem 30 chorób. Równocześnie, w 2025 roku, do Programu wprowadzono finansowanie wykonania badań próbnych w kierunku 6 nowych chorób:

- 1) wrodzonego niedoboru odporności SCID (w teście podwójnym razem z będącym w Programie rdzeniowym zanikiem mięśni SMA);
- 2) galaktozemii;
- 3) grupy 4 lizosomalnych chorób spichrzeniowych (choroby Pompe’go, Fabry’ego, Gaucher’a oraz mukopolisacharydozy typu I MPS-I).

W przypadku pozytywnych wyników działań pilotażowych, w pierwszej kolejności planowane jest rozszerzenie programu o wybrane lub wszystkie wyżej wymienione choroby. Obecnie nie są prowadzone prace nad wprowadzeniem badań przesiewowych w kierunku kolejnych chorób. W tym miejscu należy podkreślić, że w przypadku dalszego rozszerzania panelu badań o nowe choroby konieczne jest uprzednie przeprowadzenie analiz dostępnych metod i odczynników oraz przeprowadzenie badań pilotażowych. Istotne jest również przyznanie dodatkowych środków finansowych najpierw na działania przygotowawcze, a następnie na objęcie nowymi badaniami całej populacji noworodków.

Ponadto, kluczową kwestią jest możliwość dalszego leczenia zdiagnozowanych pacjentów w ramach publicznego systemu opieki zdrowotnej. Aby choroba mogła zostać włączona do panelu badań przesiewowych ten warunek musi być spełniony. Powszechnie przyjęta zasada dot. badań przesiewowych stanowi, że wykonuje się je wtedy, kiedy można zaproponować pacjentowi skuteczną terapię. W związku z powyższym nie jest możliwe niezwłoczne włączenie wskazanej choroby do programu badań przesiewowych noworodków.

Należy jednak podkreślić, że Polska znajduje się w czołówce europejskich państw pod względem liczby chorób wykrywanych w badaniach przesiewowych u noworodków. Ministerstwo Zdrowia podziela stanowisko, że badania przesiewowe są kluczowym elementem profilaktyki i są niezbędne do jak najwcześniejszego wdrożenia skutecznego leczenia, dlatego kwestia rozszerzania programu o kolejne choroby pozostaje otwarta, z zastrzeżeniem powyższych uwag.

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 Referencyjnymi dla Chorób Rzadkich (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. Na podstawie ustawy Minister Zdrowia wyda rozporządzenie, w którym zostaną wskazane szczegółowe warunki uzyskania statusu OECR, w tym kwestie związane z dostępem do badań m.in. obrazowych służących diagnostyce oraz monitorowaniu choroby rzadkiej.

Minister Zdrowia wraz z Radą do spraw Chorób Rzadkich dąży do opracowania możliwie uniwersalnych rozwiązań organizacyjnych dla pacjentów z podejrzeniem lub rozpoznaniem choroby rzadkiej. Dzięki tworzeniu kolejnych Ośrodków Eksperckich koordynacja ścieżki pacjenta ulegnie poprawie.

Jednocześnie mamy na uwadze postulaty dotyczące roli koordynatora leczenia, które docierają do Ministerstwa Zdrowia. Kwestia ewentualnego ustanowienia koordynatora leczenia, który wspierałby pacjentów w zakresie m.in. terminowej realizacji badań kontrolnych zostanie poddana analizie. Warto dodać, że dzięki nowym rozwiązaniom z zakresu e-zdrowia koordynacja tej ścieżki będzie łatwiejsza dla pracowników ochrony zdrowia.

Odnosząc się do możliwości uregulowania kwestii gwarantowanego dostępu do rygorystycznej diety niskotłuszczowej dla dzieci z chorobami metabolicznymi przebywających w placówkach oświatowych Minister Zdrowia wskazuje, iż w związku z postulatami zgłoszonymi w toku konsultacji publicznych rozporządzenia sklepikowego¹ dotyczącymi konieczności zapewnienia dostępu do diet eliminacyjnych na terenie jednostek systemu oświaty, Ministerstwo Zdrowia we współpracy z Głównym Inspektorem Sanitarnym prowadzi prace analityczne dotyczące modyfikacji upoważnienia ustawowego dla Ministra Zdrowia do wydania aktu regulującego zasady żywienia dzieci i młodzieży na dietach eliminacyjnych na terenie jednostek systemu oświaty. Aktualne brzmienie delegacji ustawowej, na podstawie której zostało wydane rozporządzenie sklepikowe uniemożliwia uregulowanie kwestii diet eliminacyjnych czy leczniczych w jednostkach systemu oświaty.

¹ <https://www.gov.pl/web/zdrowie/minister-zdrowia-podpisal-nowe-rozporzadzenie-w-sprawie-zywienia-dzieci-i-mlodziezy-w-szkolach-i-przedszkolach2>

Odpowiadając na zagadnienie nierówności w systemie orzekania o niepełnosprawności - kwestie związane z orzecznictwem pozostają w kompetencjach Ministerstwa Rodziny, Pracy i Polityki Społecznej, który jest Organem właściwym do kierowania zapytań w tym temacie.

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