



Minister Zdrowia

ASG.050.149.2026.EM
Warszawa, 16 czerwca 2026

Pan
Włodzimierz Czarzasty
Marszałek Sejmu RP

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 17125 z dnia 26 maja 2026 r. Pani Iwony Marii Kozłowskiej
Posel na Sejm RP oraz grupy posłów w sprawie sytuacji pacjentów cierpiących na zespół
von Hippa-Lindau (VHL), uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji w
odpowiedzi na pytania.

*1.1 Czy Ministerstwo Zdrowia prowadzi obecnie prace nad wdrożeniem rozwiązań
systemowych dla pacjentów z zespołem von Hippa-Lindau (VHL), w szczególności
w ramach Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich?*

Obszar chorób rzadkich stał się jednym z priorytetów Ministra Zdrowia, co znalazło
odzwierciedlenie w opracowaniu kompleksowych rozwiązań systemowych w ramach Planu
dla Chorób Rzadkich. Celem tego dokumentu jest poprawa sytuacji pacjentów cierpiących
na choroby rzadkie oraz ich rodzin poprzez stworzenie modelu zintegrowanej,
kompleksowej i skoordynowanej opieki zdrowotnej.

Pierwszy Plan dla Chorób Rzadkich został przyjęty uchwałą nr 110 Rady Ministrów z dnia
24 sierpnia 2021 r. i był realizowany w latach 2021–2023. Następnie Rada Ministrów
przyjęła uchwałę nr 88 z dnia 13 sierpnia 2024 r., obejmującą Plan dla Chorób Rzadkich na
lata 2024–2025. Obecnie Ministerstwo Zdrowia realizuje zadania wynikające z Planu dla
Chorób Rzadkich na 2026 r., przyjętego uchwałą nr 179 Rady Ministrów z dnia 23 grudnia
2025 r. Plan dla Chorób Rzadkich ma charakter strategiczny i wyznacza kierunki działań na
rzecz poprawy opieki nad pacjentami z chorobami rzadkimi. Nie odnosi się on jednak
bezpośrednio do konkretnych jednostek chorobowych, w tym zespołu von Hippa-Lindau
(VHL), lecz przewiduje rozwiązania systemowe obejmujące całą grupę chorób rzadkich.

*1.2 Czy planowane jest utworzenie sieci ośrodków referencyjnych lub eksperckich dla
pacjentów z VHL oraz wprowadzenie funkcji koordynatora medycznego
odpowiedzialnego za prowadzenie chorego przez proces diagnostyki i leczenia?*

W organizacji kompleksowej i skoordynowanej opieki nad pacjentami z chorobami rzadkimi
kluczową rolę odgrywają Ośrodki Eksperckie Chorób Rzadkich (OECR), powoływane przez
ministra właściwego do spraw zdrowia. Ośrodki te realizują świadczenia w zakresie
diagnostyki i leczenia chorób rzadkich, współpracując jednocześnie z Europejskimi Sieciami
Referencyjnymi (ERN), co umożliwia dostęp do specjalistycznej wiedzy i doświadczenia na
poziomie międzynarodowym.

Obecnie w Polsce funkcjonują 44 Ośrodki Eksperckie Chorób Rzadkich powołane w trybie
uznania kompetencji. Równoległe działa także szereg innych wyspecjalizowanych
ośrodków, które od lat prowadzą diagnostykę oraz leczenie pacjentów z określonymi
chorobami rzadkimi lub ich grupami. Kolejne podmioty będą mogły ubiegać się o status
OECR po wejściu w życie przepisów nowelizacji ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej
finansowanych ze środków publicznych, która określi formalny tryb jego nadawania.

W odniesieniu do funkcji koordynatora opieki medycznej, do Ministerstwa Zdrowia napływają postulaty dotyczące jej wprowadzenia w obszarze chorób rzadkich. Zagadnienie to pozostaje przedmiotem analiz, z uwzględnieniem doświadczeń wynikających z funkcjonowania koordynatorów leczenia onkologicznego oraz specyfiki opieki nad pacjentami z chorobami rzadkimi.

1.3 *Czy Ministerstwo Zdrowia rozważa objęcie leku belzutifan refundacją w standardowym trybie dla pacjentów z VHL, a do tego czasu uproszczenie i ujednolicenie dostępu do tej terapii w ramach RDTL?*

Zgodnie z treścią ustawy o *refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* (Dz. U. z 2026 r. poz. 253) – dalej jako *ustawa o refundacji*, procedura objęcia refundacją i ustalenia ceny zbytu netto leku (również środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego –śsspż oraz wyrobu medycznego) ma charakter postępowania administracyjnego, które rozpoczyna się złożeniem stosownego wniosku do Ministra Zdrowia przez podmiot odpowiedzialny, jego przedstawiciela lub podmiot uprawniony do importu wraz z kompletną dokumentacją wymaganą przepisami prawa. W przypadku wpłynięcia takiego wniosku jest on procedowany zgodnie z zapisami przedmiotowej ustawy, co dla leku zawierającego nową substancję czynną (aktualnie nieujęta na obowiązującym obwieszczeniu Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych) lub nowy zakres wskazań dla substancji objętej już refundacją (poszerzenie aktualnego zakresu wskazań) oznacza wymóg przygotowania analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej AOTMiT), stanowiska Rady Przejrzystości, rekomendacji Prezesa Agencji. Wydanie rekomendacji, stanowiącej efekt oceny skuteczności, bezpieczeństwa oraz efektywności kosztowej leku, przez Prezesa AOTMiT dla nowego produktu leczniczego/nowego zakresu wskazań refundacyjnych umożliwia przekazanie wniosku do Komisji Ekonomicznej celem przeprowadzenia negocjacji warunków cenowo-kosztowych objęcia refundacją.

Po zakończeniu powyższych etapów prac, zgodnie z art. 12. ustawy o *refundacji*, uwzględniając m.in. stanowisko Komisji Ekonomicznej i rekomendację Prezesa Agencji, minister właściwy do spraw zdrowia wydaje decyzję administracyjną (pozytywną bądź negatywną) w przedmiocie objęcia refundacją i ustaleniu ceny zbytu netto dla wnioskowanego produktu leczniczego (śsspż lub wyrobu medycznego).

Zgodnie z treścią art. 37 ustawy o *refundacji* co trzy miesiące Minister Zdrowia ogłasza w drodze obwieszczenia, wykazy *refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych* - w stosunku do których wydano ostateczne decyzje administracyjne o objęciu refundacją albo ostateczne decyzje zmieniające, o których mowa w art. 16 tej ustawy. Ww. wykaz stanowi zatem odzwierciedlenie zarówno wniosków o objęcie refundacją jakie wpłynęły do Ministra Zdrowia jak i podjętych przez niego decyzji – zarówno pozytywnych jak i negatywnych. Uprzejmie informuję, iż wniosek o objęcie refundacją leku Welireg- zawierającego substancję czynną *belzutifan*, stosowanego w terapii choroby VHL wpłynął do Ministra Zdrowia, został oceniony przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a następnie zostały przeprowadzone negocjacje warunków cenowych objęcia refundacją, co stanowi realizację ustawowych wymogów pozwalających na podjęcie decyzji przez właściwy w sprawie Organ.

Jak wskazano w treści Rekomendacji Prezesa AOTMiT nr 197/2025: *Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Welireg (belzutyfan) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z chorobą Von Hippel-Lindau (ICD-10: Q85.8)”, bezpłatnie dla pacjenta, w ramach nowej grupy limitowej pod warunkiem obniżenia kosztów refundacji leczenia produktem leczniczym Welireg (belzutyfan) ponoszonych w ramach proponowanego programu lekowego do poziomu odpowiadającego*

dotychczasowym wydatkom płatnika ponoszonym na finansowanie w ramach importu docelowego i Ratunkowego Dostępu do Technologii Lekowych (RDTL), w tym znaczne pogłębienie instrumentu dzielenia ryzyka (RSS) poprzez dodanie dodatkowych elementów pozwalających na znaczne obniżenie kosztu leku, a także gwarantujących zwrot kosztów poniesionych przez płatnika w przypadku braku skuteczności leczenia.

Z uwagi na bardzo wysoki jednostkowy koszt rozważanej terapii oraz fakt, iż leczenie ww. jednostki chorobowej rozważanym lekiem ma charakter długotrwały, czego konsekwencją jest wysokie przewidywane obciążenie płatnika publicznego w kolejnych latach, biorąc pod uwagę niestabilną sytuację finansową płatnika publicznego, podjęcie ostatecznej decyzji w przedmiotowym zakresie przez Ministra Zdrowia musi zostać poprzedzone bardzo wnikliwą analizą zarówno konsekwencji finansowych takiej decyzji jak i jej wpływu na możliwości zapewnienia finansowania aktualnych świadczeń gwarantowanych w sposób niezakłócony. Należy pamiętać, iż Minister Zdrowia nie może podejmować decyzji w tym obszarze abstrahując od możliwości finansowych jakimi dysponuje płatnik, gdyż jego decyzje rodzą konsekwencje finansowe zarówno w perspektywie krótko jak i długookresowej.

Zgodnie z obowiązującymi przepisami prawa, zawartymi w Rozdziale 3a 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., zwanej dalej „ustawą o świadczeniach”), w ramach procedury RDTL możliwe jest finansowanie produktów leczniczych niefinansowanych ze środków publicznych w danym wskazaniu, na potrzeby świadczeniobiorcy, u którego w toku dotychczasowego leczenia zostały już wykorzystane dostępne technologie medyczne finansowane ze środków publicznych. Możliwość ubiegania się o sfinansowanie danego produktu leczniczego podawanego pacjentowi w ramach tej procedury ograniczona jest obecnie do wybranych świadczeniodawców, tj., szpitali III stopnia, szpitali ogólnopolskich, onkologicznych, pulmonologicznych oraz pediatrycznych, którzy w celu uzyskania zgody na sfinansowanie danego leku, zobowiązani są do przekazania do właściwego oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia opinii konsultanta krajowego lub wojewódzkiego potwierdzającej zasadność wdrożenia leczenia lub zgłoszenia informacji o kontynuacji leczenia wraz z potwierdzeniem skuteczności dotychczasowej terapii stosowanej w ramach procedury RDTL. Obowiązujące przepisy ustawy o świadczeniach precyzują również, że w ramach procedury RDTL możliwe jest finansowanie wyłącznie tych produktów leczniczych, które posiadają pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, pozostają w obrocie lub są dostępne w obrocie na polskim rynku oraz nie znajdują się na wykazie produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury RDTL, publikowanym przez Ministra Zdrowia.

Obowiązujące przepisy art. 47f ust. 3 pkt 1-4 ustawy o świadczeniach wskazują, że w ramach procedury RDTL nie mogą być finansowane produkty lecznicze, dla których:

1. podmiot odpowiedzialny nie złożył wniosku lub nie uzupełnił braków formalnych wniosku o refundację w terminie określonym przez ministra właściwego do spraw zdrowia (dotyczy wyłącznie sytuacji, w której wszczęcie postępowania o objęcie refundacją następuje w związku z przekroczeniem przez dany produkt leczniczy progu 5% całkowitych nakładów na finansowanie produktów leczniczych w ramach procedury RDTL w danym roku),
2. została wydana decyzja o umorzeniu postępowania o objęciu refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu (dotyczy sytuacji opisanej w pkt 1),
3. została wydana negatywna rekomendacja Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji dotycząca zasadności objęcia finansowaniem ze środków publicznych danej substancji czynnej w danym wskazaniu,
4. została wydana decyzja o odmowie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu, w odniesieniu do danej substancji czynnej w tym wskazaniu.

Uprzejmie informuję, że lek Welireg nie znajduje się na wykazie leków objętych brakiem możliwości finansowania w ramach procedury RDTL i jest on finansowany w ramach tej procedury.

Należy jednocześnie podkreślić, że procedura RDTL dotyczy finansowania produktów leczniczych na potrzeby indywidualnych pacjentów, w związku z czym w toku weryfikacji wniosków świadczeniodawców w każdym przypadku konieczne jest zachowanie zindywidualizowanej oceny spełnienia przesłanek ustawowych warunkujących zastosowanie wymienionej procedury.

Zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 5 grudnia 1996 r. o *zawodach lekarza i lekarza dentysty* (Dz. U. z 2026 r. poz. 37, z późn. zm.), 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 i to on podejmuje decyzję o wdrożeniu danego leczenia. Mając na uwadze powyższe, ostateczna decyzja o zastosowaniu danego leku w ramach procedury RDTL w danym przypadku klinicznym należy do lekarza prowadzącego proces terapeutyczny pacjenta.

1.4 Czy planowane jest opracowanie jednolitej ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej dla pacjentów z VHL, obejmującej także dostęp do badań genetycznych i badań przesiewowych dla członków rodzin osób z rozpoznaniem tej choroby?

Plan dla Chorób Rzadkich ma charakter strategiczny i nie przewiduje opracowywania odrębnych, jednolitych ścieżek diagnostyczno-terapeutycznych dedykowanych pojedynczym jednostkom chorobowym, w tym zespołowi von Hippel-Lindau (VHL). Niemniej jednak w jego ramach podejmowane są działania ukierunkowane na poprawę dostępu do diagnostyki, w tym diagnostyki genetycznej, oraz koordynację opieki nad pacjentami z chorobami rzadkimi.

Jednocześnie należy wskazać, że kwestie związane z opieką nad pacjentami z VHL, w tym diagnostyką oraz opieką nad osobami z grupy ryzyka, zostały uwzględnione w obowiązujących przepisach. W rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, w załączniku nr 5 (Wykaz świadczeń gwarantowanych w przypadku innych świadczeń ambulatoryjnych oraz warunki ich realizacji), w poz. 34 ujęto świadczenie pn. „Opieka nad rodzinami wysokiego, dziedzicznie uwarunkowanego ryzyka zachorowania na chorobę von Hippel-Lindau (VHL)”. Świadczenie to obejmuje dwa etapy:

1. „Poradnictwo i badania genetyczne”, w ramach którego odbywa się identyfikacja osób posiadających wysokie, dziedzicznie uwarunkowane ryzyko zachorowania na VHL. Kluczowe znaczenie ma szczegółowy wywiad rodzinny, a w przypadku wskazań medycznych wykonywane są badania genetyczne, w tym z zastosowaniem techniki sekwencjonowania następnej generacji (NGS).
2. „Nadzór i badania diagnostyczne”, w ramach którego świadczeniobiorca z rozpoznaniem wysokim ryzykiem dziedzicznym zostaje objęty specjalistycznym nadzorem, polegającym na systematycznym przeprowadzaniu badań diagnostycznych oraz konsultacji lekarskich.

Powyższe rozwiązania zapewniają zarówno możliwość identyfikacji osób zagrożonych chorobą, jak i prowadzenie ich w ramach długofalowego nadzoru medycznego, obejmującego również członków rodzin pacjentów z rozpoznaniem VHL.

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