



Minister Zdrowia

ASG.050.171.2026.EM
Warszawa, 15 lipca 2026

Pan
Włodzimierz Czarzasty
Marszałek Sejmu RP

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 17997 z 2 lipca 2026 r. Poseł Ewy Leniart i grupy posłów w sprawie leczenia zespołu Pompego po 18. roku życia, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższych informacji w odpowiedzi na pytania:

1. Ile osób powyżej 18. roku życia ze zdiagnozowaną chorobą Pompego (ICD-10: E74.0) jest aktualnie leczonych w ramach programu lekowego B.22 na terenie Rzeczypospolitej Polskiej?

Na dzień 10 lipca 2026 r. liczba pacjentów dorosłych otrzymujących leczenie w ramach programu lekowego B.22 Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10: E74.0) wynosi 49. Informacje nt. populacji pacjentów z podziałem na dzieci i dorosłych oraz wykazem ośrodków, które prowadzą leczenie w ramach programu lekowego przekazuję w załączniku nr 1 do pisma.

2. Jakie konkretnie procedury i standardy medyczne (tzw. ścieżka pacjenta) zostały wypracowane przez Ministerstwo Zdrowia, aby zapewnić płynne, bezprzerwowe przejście pacjenta z chorobą Pompego z systemu opieki pediatrycznej do opieki nad dorosłymi po ukończeniu 18. roku życia?

Pacjenci, którzy ukończyli 18 rok życia mogą kontynuować leczenie w ośrodkach dla pacjentów dorosłych na ogólnie przyjętych zasadach. Programy lekowe nie mają odrębnie zdefiniowanych procedur dedykowanych zmianie ośrodka leczącego pacjenta.

Zgodnie art. 29 i 30 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej¹ pacjent ma prawo wyboru ośrodka leczącego. W tym miejscu należy wskazać, że przypadku konieczności kontynuacji leczenia w ośrodku pediatrycznym, do czasu przeniesienia pacjenta do leczenia w ośrodku dla dorosłych, świadczeniodawca ma możliwość wystąpienia do Dyrektora właściwego Oddziału Wojewódzkiego NFZ z wnioskiem o umożliwienie kontynuacji tej terapii². Analogicznie, w sytuacji, gdy pełnoletni pacjent, pomimo możliwości podjęcia leczenia w ośrodku dla dorosłych, wyraża wolę kontynuowania terapii w dotychczasowym ośrodku pediatrycznym, świadczeniodawca może wystąpić do właściwego oddziału wojewódzkiego NFZ z wnioskiem o zgodę na dalsze leczenie pacjenta w tym ośrodku.

Przyjęte rozwiązania mają na celu zapewnienie ciągłości leczenia i uniknięcie przerw w terapii związanych z osiągnięciem pełnoletności przez pacjenta. Jednocześnie przekazanie pacjenta z opieki pediatrycznej do opieki dla dorosłych powinno odbywać się z zachowaniem ciągłości procesu terapeutycznego oraz we współpracy lekarzy

¹ Ustawa z dnia 27 sierpnia 2024 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 1461, z późn. zm.).

² Zarządzenie Nr 32/2023/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 lutego 2023 r. w sprawie wniosków o indywidualne sprawozdanie lub rozliczenie świadczeń

prowadzących z obu ośrodków, tak aby zapewnić pacjentowi bezpieczną i płynną kontynuację leczenia. Co do zasady, lekarz prowadzący, który zakończył opiekę nad pacjentem z uwagi na ukończenie 18 r.ż. zobowiązany jest do wskazania dalszego postępowania i pokierowania do odpowiedniej placówki medycznej celem zapewnienia ciągłości leczenia.

Pragnę dodać, że z uwagi na specyfikę chorób rzadkich Minister Zdrowia wraz z Radą dla Chorób Rzadkich analizuje możliwość wprowadzenia mechanizmów dla zachowania ciągłości leczenia pacjentów z chorobami rzadkimi po przejściu z opieki pediatrycznej do opieki dla dorosłych.

3. Czy Ministerstwo Zdrowia monitoruje czas, jaki upływa od ostatniej dawki leku podanej w placówce pediatrycznej do pierwszej dawki podanej w placówce dla dorosłych? Czy odnotowano przypadki przerw w terapii z powodów formalno-biurokratycznych w ciągu ostatnich 3 lat?

Zgodnie z obowiązującym opisem programu lekowego³ kwalifikacja i weryfikacja oceny skuteczności leczenia pacjentów w programie lekowym odbywa się z udziałem ekspertów Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich. W składzie Zespołu znajdują się eksperci i specjaliści, którzy swoją wiedzą, doświadczeniem, gwarantują rzetelną ocenę procesu leczenia pacjentów w programie lekowym. Zespół ocenia skuteczność leczenia pacjentów w programie na podstawie wniosków przekazywanych przez lekarzy prowadzących leczenie pacjentów. Ocena taka, jest dokonywana zgodnie z opisem programu lekowego co 6 miesięcy. Ponadto, należy wskazać, że zgodnie z regulaminem prac Zespołu⁴ decyzje nt. możliwości kontynuacji leczenia pacjenta w programie mogą być podejmowane indywidualnie pomiędzy posiedzeniami Zespołu.

Rozwiązanie to zostało wprowadzone w celu zapewnienia ciągłości terapii oraz ograniczenia ryzyka wystąpienia przerw w leczeniu wynikających z kwestii organizacyjnych lub formalnych. Jednocześnie obowiązujące mechanizmy kwalifikacji i kontynuacji leczenia, w tym możliwość podejmowania decyzji przez Zespół Koordynacyjny w trybie indywidualnym, służą zapewnieniu płynnego przejścia pacjentów pomiędzy opieką pediatryczną a opieką dla dorosłych i zachowaniu ciągłości leczenia.

Ministerstwo Zdrowia nie prowadzi bieżącego, indywidualnego monitorowania ciągłości terapii pacjentów leczonych w ramach programów lekowych. Dane dotyczące przebiegu terapii w programach lekowych są gromadzone i przetwarzane w systemie monitorowania programów lekowych (SMPT), który jest tworzony i aktualizowany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Dostęp bezpośredni do SMPT posiadają świadczeniodawcy, zespoły koordynacyjne i Narodowy Fundusz Zdrowia. Należy również wskazać, że Centrala NFZ nie otrzymywała sygnałów wskazujących na systemowe problemy z kontynuacją leczenia pacjentów z chorobą Pompego po ukończeniu 18. roku życia.

4. Które szpitale dla dorosłych w Polsce posiadają obecnie podpisany kontrakt z NFZ na realizację programu B.22 i są w pełni przygotowane (kadrowo oraz infrastrukturalnie) do przejmowania pełnoletnich pacjentów? Czy ich rozmieszczenie geograficzne gwarantuje równomierny dostęp do leczenia?

Dane dotyczące liczby ośrodków które prowadzą leczenie w ramach programu lekowego B.22 i ich rozmieszczenia przedstawiono w załączniku nr 1 do pisma.

³ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2026 r. (Dz. Urz. Min. Zdr. poz. 46).

⁴ Zarządzenie nr 9/2025/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 30 stycznia 2025 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe.

Z danych NFZ wynika, że leczenie w ramach programu B.22 jest realizowane przez ośrodki zlokalizowane na terenie wielu województw, w tym m.in. w Warszawie, Krakowie, Wrocławiu, Poznaniu, Gdańsku, Lublinie, Białymstoku, Rzeszowie, Szczecinie i Katowicach, co zapewnia dostęp do leczenia w różnych regionach kraju. Jednocześnie, ze względu na rzadkie występowanie choroby Pompego oraz niewielką liczbę pacjentów, leczenie koncentruje się w wyspecjalizowanych ośrodkach posiadających doświadczenie w diagnostyce i terapii chorób rzadkich.

Zarządzenie Prezesa NFZ⁵ określa wymagania dla podmiotów, które mogą realizować świadczenia w przedmiotowym programie lekowym. Zgodnie z załącznikiem nr 3 do zarządzenia - Wymagania wobec świadczeniodawców udzielających świadczeń z zakresu programów lekowych, program lekowy może być realizowany w następujących komórkach organizacyjnych:

03.0000.322.02	Leczenie pacjentów z chorobą Pompego
kod resortowy	nazwa
4000	oddział chorób wewnętrznych z możliwością udzielania świadczeń w zakresie chorób metabolicznych
HC.1.1. lub HC.1.2.	
43 lub 44 lub 123	
4008	oddział chorób metabolicznych
4009	oddział chorób metabolicznych dla dzieci
4020	oddział diabetologiczny
4030	oddział endokrynologiczny
4031	oddział endokrynologiczny dla dzieci
4220	oddział neurologiczny
4221	oddział neurologiczny dla dzieci
4401	oddział pediatriczny

Ponadto, świadczeniodawca musi zapewnić dostęp do oddziału anestezjologii i intensywnej terapii, dostęp do odpowiednich konsultacji lekarzy specjalistów w określonych dziedzinach medycyny, w tym dostęp do konsultacji psychologicznej, fizjoterapeutycznej.

Umowy na realizację ww. programu lekowego są zawarte i dotychczas do Centrali NFZ nie wpływały sygnały świadczące o konieczności zabezpieczenia dodatkowych miejsc udzielania świadczeń w programie. W tym miejscu należy wskazać, że dyrektorzy Oddziałów Wojewódzkich Narodowego Funduszu Zdrowia są odpowiedzialni za zabezpieczenie dostępu do realizacji programów lekowych na terenie określonych województw. W zakresie posiadanych kompetencji współpracują także z właściwymi dla danej dziedziny medycyny konsultantami wojewódzkimi, którzy są odpowiedzialni min. za określenie potrzeb populacyjnych pozwalających na zabezpieczenie dostępu do terapii w danym województwie.

Wskazać należy także, że choroba Pompego jest chorobą rzadką, aktualnie w ramach programu lekowego leczonych jest 67 pacjentów. W większości ośrodków liczba leczonych pacjentów jest niewielka, stąd też w ocenie Centrali NFZ, zabezpieczenie dostępu do leczenia w programie w odniesieniu do liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia w programie, należy uznać za odpowiednie.

⁵ Zarządzenie nr 9/2025/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 30 stycznia 2025 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe.

5. Czy w ramach aktualizacji Krajowego Planu dla Chorób Rzadkich przewiduje się stworzenie i sfinansowanie dedykowanych Centrów Referencyjnych dla Dorosłych z chorobami metabolicznymi i nerwowo-mięśniowymi, które oferowałyby skoordynowaną opiekę wielospecjalistyczną (neurologiczną, pulmonologiczną i kardiologiczną)?

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. Obecnie w Polsce funkcjonują 44 OECR, a także szereg innych wyspecjalizowanych ośrodków prowadzących diagnostykę i leczenie pacjentów z chorobami rzadkimi.

W obszarze chorób nerwowo-mięśniowych w Polsce funkcjonuje ośrodek należący do Europejskiej Sieci Referencyjnej ERN EURO-NMD tj. Klinika Neurologii Uniwersyteckiego Centrum Klinicznego Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego.

Natomiast w obszarze rzadkich chorób metabolicznych polskie ośrodki uczestniczą w sieci MetabERN, w tym m.in. Instytut Matki i Dziecka w Warszawie, Instytut „Pomnik – Centrum Zdrowia Dziecka” oraz Szpital Uniwersytecki w Krakowie. Członkostwo w europejskich sieciach referencyjnych umożliwia współpracę z ośrodkami eksperckimi z innych państw, wymianę doświadczeń oraz konsultowanie szczególnie złożonych przypadków.

Ministerstwo Zdrowia realizuje obecnie zadania wynikające z Planu dla Chorób Rzadkich na 2026 r., przyjętego uchwałą nr 179 Rady Ministrów z dnia 23 grudnia

2025 r. obejmujące m.in. dalszy rozwój sieci Ośrodków Eksperckich Chorób Rzadkich oraz proces wyłaniania kolejnych ośrodków. Jednocześnie kolejne podmioty będą mogły ubiegać się o status OECR po wejściu w życie przepisów przygotowanej nowelizacji ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych określających formalny tryb jego nadawania. Przyjętym kierunkiem działań jest rozwój systemu OECR oraz wzmacnianie udziału polskich ośrodków w Europejskich Sieciach Referencyjnych, tak aby zapewnić pacjentom dostęp do skoordynowanej, wielospecjalistycznej opieki. Ponadto Ministerstwo Zdrowia uczestniczy obecnie w procesie naboru kandydatów na ośrodki stowarzyszone (affiliated partners) w ramach Europejskich Sieci Referencyjnych.

6. Czy finansowanie procedur diagnostycznych i kontrolnych (takich jak obligatoryjne, wykonywane co 6 miesięcy badania spirometryczne, gazometria, testy marszowe i oceny wskaźnikiem Barthela wymagane przez program lekowy) jest w pełni pokrywane z budżetu programu B.22, czy też szpitale dla dorosłych muszą je współfinansować z ryczałtu (co zniechęca placówki do podpisywania kontraktów na ten program)?

Zakres świadczenia gwarantowanego, jakim jest program lekowy B.22 Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10: E74.0) jest zdefiniowany opisem programu lekowego, opublikowanym w obwieszczeniu Ministra Zdrowia w sprawie wykazu leków refundowanych, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Program lekowy określa zakres badań niezbędnych do kwalifikacji pacjenta w programie jak i zakres badań wykonywanych w trakcie monitorowania leczenia w programie. Zgodnie z zapisami §2 ust. 1 pkt. 20) zarządzenia Prezesa NFZ⁶ ryczałt diagnostyczny jest to produkt rozliczeniowy, w ramach którego finansowany jest uśredniony koszt badań diagnostycznych wymaganych przy kwalifikacji i w trakcie realizacji programu lekowego, wykonywanych u świadczeniobiorcy objętego tym programem w danym roku kalendarzowym, z wyłączeniem badań genetycznych wykonywanych w trakcie kwalifikacji do programu lekowego, z zastrzeżeniem § 24 ust. 4.

Mając na uwadze powyższe, informuję, że w przypadku pacjentów zakwalifikowanych do leczenia w programie lekowym, świadczeniodawca ma możliwość rozliczenia ryczałtu diagnostycznego, zgodnie z zasadami określonymi w zarządzeniu Prezesa NFZ.

⁶ Zarządzenie nr 9/2025/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 30 stycznia 2025 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe.

Jednocześnie należy podkreślić, że zgodnie z zasadami realizacji programów lekowych finansowane są wyłącznie badania wykonywane u pacjentów, którzy zostali zakwalifikowani do terapii w danym programie lekowym.

Ministerstwo Zdrowia monitoruje funkcjonowanie programów lekowych, w tym zgłaszane przez interesariuszy kwestie dotyczące organizacji i finansowania świadczeń. Dotychczas nie stwierdzono, aby sposób finansowania badań diagnostycznych i kontrolnych w ramach programu lekowego B.22 stanowił systemową barierę w dostępie do leczenia pacjentów z chorobą Pompego lub w zawieraniu umów przez świadczeniodawców na realizację tego programu. Jednocześnie wszelkie uwagi i sygnały przekazywane przez świadczeniodawców, pacjentów oraz inne podmioty są na bieżąco analizowane w ramach oceny funkcjonowania programów lekowych.

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

Załączniki:

1) Zał. 1 do odpowiedzi na interpelację nr 17997.docx