



Minister Zdrowia

PLR2.050.75.2026.DG
Warszawa, 24 września 2026

Pan
Włodzimierz Czarzasty
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 19573 z 8.09.2026 r., Posłanki Ewy Leniart, w sprawie zapewnienia finansowania leczenia chorym na zespół Pompego po 18. roku życia, Minister Zdrowia przekazuje poniższe informacje.

Na wstępie wskazuję, 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, z późn. zm.), zwana dalej „ustawą o refundacji”.

Na podstawie przepisów art. 37 ustawy o refundacji Minister Zdrowia ogłasza raz na 3 miesiące, w drodze obwieszczenia, wykaz refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobów medycznych, będący listą leków, które – na moment ogłoszenia wykazu – posiadają aktualne decyzje o objęciu refundacją.

Zgodnie z treścią obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2026 r. w ramach programu lekowego B.22. LECZENIE PACJENTÓW Z CHOROBA POMPEGO (ICD-10: E74.0) finansowane są dwa produkty lecznicze: Nexviadyme (avalglucosidasum alfa) oraz Myozyme (Alglucosidasum alfa).

Kwalifikacja do programu B.22. LECZENIE PACJENTÓW Z CHOROBA POMPEGO (ICD-10: E74.0) odbywa się zgodnie z kryteriami wskazanymi w programie lekowym:

Do leczenia alglukozydazą alfa lub awalglukozydazą alfa kwalifikowani są pacjenci, którzy spełniają poniższe kryteria:

- 1) diagnoza choroby Pompego na podstawie udokumentowanego braku lub głębokiego niedoboru aktywności alfa-glukozydazy w leukocytach krwi obwodowej lub fibroblastach skóry, potwierdzona badaniem molekularnym;*
- 2) klasyczna postać (wczesna, typ niemowlęcy) lub nieklasyczna postać (późna, late-onset) choroby Pompego,*

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

Leczenie w programie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia opisanymi w programie:

- 1) stwierdzenie braku skuteczności leczenia – weryfikację skuteczności leczenia dokonuje co 6 miesięcy Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii;*
- 2) znaczna progresja choroby pojawiająca się pomimo leczenia, szczególnie wymagająca użycia respiratora zastępującego oddech pacjenta przez 24h/dobę przy braku stabilizacji lub poprawy w okresie 3 miesięcy;*
- 3) wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania;*
- 4) obecność poważnych wrodzonych anomalii lub chorób współistniejących, które w ocenie lekarza kwalifikującego do leczenia lub Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkowych, mogą uniemożliwić poprawę stanu zdrowia świadczeniobiorcy;*
- 5) okres ciąży lub karmienia piersią;*
- 6) wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiająca kontynuację leczenia;*
- 7) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym zwłaszcza dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów.*

Należy stanowczo podkreślić, iż kryteria wyłączenia z programu lekowego B.22 nie mają charakteru bezwzględnego ani jednoznacznie rozstrzygającego, lecz mają charakter oceny i

wymagają każdorazowo odniesienia do całokształtu sytuacji klinicznej pacjenta. Co istotne osiągnięcie 18 r.ż. w żaden sposób nie dyskwalifikuje pacjenta z dalszej terapii.

Decyzja o rozpoczęciu procedury kwalifikacji pacjenta do programu lekowego należy do lekarza prowadzącego. Lekarz, kierując się aktualną wiedzą medyczną oraz wykorzystując dostępne metody diagnostyczne i terapeutyczne, podejmuje decyzję co do właściwego postępowania w określonym stanie klinicznym pacjenta.

W przypadku programu lekowego B.22 ostatecznej kwalifikacji świadczeniobiorcy do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich, w którego skład wchodzi krajowi eksperci posiadający doświadczenie w diagnostyce i leczeniu chorób rzadkich, w tym konsultanci krajowi w dziedzinie pediatrii metabolicznej oraz endokrynologii i diabetologii dziecięcej. Każdy przypadek oceniany na posiedzeniu jest przedmiotem analizy obejmującej całokształt sytuacji klinicznej pacjenta, przebieg choroby, dotychczasowe efekty leczenia oraz aktualne rokowanie. Decyzję o przerwaniu leczenia może podjąć zarówno lekarz prowadzący, jak i Zespół Koordynacyjny, zgodnie z warunkami określonymi w opisie programu lekowego, przy czym należy podkreślić, iż kryteria wyłączenia z programu lekowego, wskazujące na skuteczność terapii, nie mają charakteru bezwzględnego, lecz podlegają indywidualnej ocenie klinicznej. Zespół Koordynacyjny, realizując zadania ustawowe wynikające z art. 16b ustawy o *refundacji* jest obowiązany w szczególności do monitorowania i oceny skuteczności terapii stosowanej u pacjentów objętych programem, w tym powinien rozstrzygać o wyłączeniu świadczeniobiorców z programu.

Minister Zdrowia wskazuje, że sprawa dotycząca wyłączenia Pacjentki z programu lekowego jest mu znana i była już przedmiotem wielokrotnych analiz oraz korespondencji. Rodzina Pacjentki kilkakrotnie otrzymała wyczerpujące informacje i wyjaśnienia zarówno ze strony Ministerstwa Zdrowia, jak również Narodowego Funduszu Zdrowia oraz Zespołu Koordynującego.

Minister Zdrowia powierzył zespołom koordynacyjnym ustawowe zadanie kwalifikowania pacjentów do leczenia oraz oceny zasadności jego kontynuacji, przyjmując, że w przypadkach szczególnie złożonych i granicznych rozstrzygnięcie w drodze głosowania, oparte na specjalistycznej wiedzy i doświadczeniu klinicznym grupy ekspertów, zapewnia najbardziej miarodajny i bezpieczny sposób podejmowania decyzji terapeutycznych. Wobec tego, przy braku nowych okoliczności medycznych lub uchybień proceduralnych, nie ma podstaw do podważania merytorycznych rozstrzygnięć podejmowanych przez Zespół w granicach powierzonych mu kompetencji, a więc przepisy nie przewidują dodatkowych środków weryfikacji decyzji medycznych podejmowanych przez Zespół.

Odnosząc się do kwestii kontynuacji leczenia pacjentów osiągających pełnoletność w programach lekowych, należy wskazać, że w przypadku chorób rzadkich, wymagających wysokospecjalistycznej opieki oraz szczególnego doświadczenia w prowadzeniu danej jednostki chorobowej, w praktyce klinicznej stosowanym rozwiązaniem jest kontynuacja leczenia w dotychczasowym ośrodku pediatrycznym. Dotyczy to w szczególności sytuacji, w których leczenie prowadzone jest przez wyspecjalizowany zespół posiadający wieloletnią znajomość przebiegu choroby oraz indywidualnej sytuacji klinicznej pacjenta. Jeżeli pacjent po ukończeniu 18 r.ż. spełnia kryteria kontynuacji określone w programie lekowym, konieczne jest odpowiednio wcześniejsze złożenie przez ośrodek wniosku w Bazie Rozliczeń Indywidualnych, aby zapewnić ciągłość leczenia i możliwość jego rozliczenia. Właściwą podstawą prawną jest zarządzenie nr 95/2018/DSOZ Prezesa NFZ z 20 września 2018 r. w sprawie *wniosków o indywidualne rozliczenie świadczeń i Bazy Rozliczeń Indywidualnych*.

Zgodnie z § 2 ust. 1 pkt 3 lit. b zarządzenia możliwe jest indywidualne sprawozdanie lub rozliczenie świadczenia udzielonego niezgodnie z wiekiem świadczeniobiorcy, czyli m.in. pacjentowi pełnoletniemu w zakresie przeznaczonym dla dzieci. Procedura w tym zakresie kształtuje się następująco:

1. Wniosek składa świadczeniodawca realizujący program, a nie pacjent ani stowarzyszenie;
2. Wniosek jest kierowany do dyrektora OW NFZ, z którym ośrodek ma zawartą umowę;
3. Wniosek sporządza się według wzoru określonego w załączniku nr 3 do zarządzenia;
4. Jest on generowany elektronicznie w Bazie Rozliczeń Indywidualnych (BRI);
5. Powinien zawierać uzasadnienie medyczne kontynuowania leczenia pacjenta pełnoletniego w ośrodku pediatrycznym oraz dane dotyczące świadczenia i umowy;
6. Dyrektor OW NFZ wydaje decyzję w terminie 15 dni roboczych od otrzymania kompletnego wniosku;
7. Zgoda umożliwia prawidłowe sprawozdanie i rozliczenie świadczeń udzielanych dorosłemu pacjentowi przez ośrodek pediatryczny. W przypadku odmowy świadczeniodawca może wystąpić o ponowne rozpatrzenie sprawy w terminie 7 dni roboczych.

W opiece nad pacjentami z chorobami rzadkimi wyzwaniem stał się proces przekazywania pacjenta do leczenia w ośrodku dla dorosłych po ukończeniu 18 r.ż. Temat ten podejmowany był na różnego typu posiedzeniach dotyczących chorób rzadkich, gdzie m.in. przedstawiano modele współpracy pomiędzy lekarzami obejmującymi opieką dzieci i dorosłych. Kwestia przygotowania pacjenta do przejścia pod opiekę lekarzy dla dorosłych oraz przygotowanie

personelu, jest także przedmiotem zainteresowania ekspertów z *Rady do spraw Chorób Rzadkich*. Do uzgodnienia pozostają zarówno kwestie organizacyjne jak i finansowe. Ministerstwo Zdrowia zwróciło się do Narodowego Funduszu Zdrowia o stanowisko w zakresie możliwości wprowadzenia stosownych mechanizmów rozliczeniowych. Współpracę w tym zakresie będą wspierać wdrażane narzędzia e-zdrowia m.in. *System dla Chorób Rzadkich*, z którego będzie generować się *Karta Pacjenta z Chorobą* oraz *e-Konsylium*.

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