Minister
Zdrowia

ASG.050.1.2026.DG
Warszawa, 15 stycznia 2026

Pani
Małgorzata Kidawa-Błońska
Marszałek Senatu Rzeczpospolitej Polskiej

Szanowna Pani Marszałek,

W związku z oświadczeniem złożonym przez senator Ewę Kaliszuk podczas 44. posiedzenia Senatu RP, w sprawie chorych na ultrarzadką chorobę genetyczną FOP (fibrodysplasiaossificans progressiva), skierowanego do Minister Zdrowia oraz do Minister Rodziny, Pracy i Polityki Społecznej, uprzejmie proszę o przyjęcie informacji zgodnej z kompetencjami Ministerstwa Zdrowia.

Wskazując konieczność objęcia refundacją systemową leku należy pamiętać, 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 2025 r. poz. 907, z późn. zm.), 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, 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,*

telefon: +48 22 250 01 46
adres email: kancelaria@mz.gov.pl
www.gov.pl/zdrowie

ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

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*
15) *- 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.*

Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją produktu we wnioskowanym wskazaniu.

Ponadto, należy wskazać iż zgodnie z art. 10 ust. 1 ustawy o refundacji systemowo refundowany może być lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny, który spełnia następujące wymagania:

1) *jest dopuszczony do obrotu lub pozostaje w obrocie w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. - Prawo farmaceutyczne, albo jest wprowadzony do obrotu i do używania w rozumieniu rozporządzenia 2017/745 lub rozporządzenia 2017/746, albo jest wprowadzony do obrotu w rozumieniu ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia;*
2) *jest dostępny na rynku;*

3) *posiada numer GTIN zgodny z systemem GS1 lub inny kod jednoznacznie identyfikujący wyrób medyczny lub środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego.*

Podsumowując informacje w zakresie rekomendacji ws. przygotowania systemu ochrony zdrowia do wdrożenia przyszłego leczenia przyczynowego choroby FOP, w tym do ewentualnej refundacji leku garetosmab (REGN2477), będącego w końcowej fazie badań klinicznych, Minister Zdrowia wskazuje, iż refundacja produktu może zostać rozważona po osiągnięciu przez lek rejestracji w Europejskiej Agencji Leków i złożeniu przez podmiot odpowiedzialny oraz przeprocedowaniu w Ministerstwie Zdrowia odpowiedniego wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto.

W odniesieniu do postulatu dotyczącego badań genetycznych, uprzejmie informuję, że Minister Zdrowia zlecił Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych i taryfikacji przygotowanie rekomendacji w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczeń Badanie genomu człowieka metodą sekwencjonowania następnej generacji (NGS) – małe i średnie panale celowane NGS w diagnostyce chorób rzadkich. Włączenie ww. badań do wykazu świadczeń gwarantowanych w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej umożliwi wczesne wykrycie chorób genetycznych, postawienie właściwej diagnozy i wdrożenie odpowiedniego postępowania terapeutycznego.

W związku z postulatami dotyczącymi dedykowanych rozwiązań dla pacjentów z FOP, uprzejmie proszę o przyjęcie informacji, że w Ministerstwie Zdrowia trwają prace nad realizacją zadań z Planu dla Chorób Rzadkich. Trzecia edycja Planu na 2026 r., została przyjęta na mocy Uchwały nr 179 Rady Ministrów z dnia 23 grudnia 2025 r. Dokument ten nie odnosi się wprost do konkretnych problemów zdrowotnych, ma charakter strategiczny i określa kierunki działań dla poprawy sytuacji ogółu pacjentów z chorobami rzadkimi.

Zgodnie z zapisami Planu dla Chorób Rzadkich (edycje na lata 2021-2025), Centrum e-Zdrowia zbudowało System dla Chorób Rzadkich - dziedzinowy system teleinformatyczny, w którym będą rejestrowani pacjenci z rozpoznaniem choroby rzadkiej. System umożliwi generowanie Karty Pacjenta z Chorobą Rzadką. Dzięki Karcie Pacjenta lekarz, który spotyka pacjenta z chorobą rzadką po raz pierwszy, będzie mieć podstawowe informacje na temat jego rozpoznania. System dla Chorób Rzadkich przyczyni się do lepszej koordynacji ścieżki pacjenta i określeniu właściwych interwencji medycznych oraz rodzaju rehabilitacji. Uruchomienie systemu nastąpi po wejściu w życie przepisów na poziomie ustawy. Aktualnie trwa procedowanie projektu ustawy o zmianie ustawy o systemie informacji w ochronie zdrowia oraz niektórych innych ustaw (UD 238).

Ponadto uprzejmie informuję, że kwestia przejścia pacjentów z leczenia w ośrodkach pediatrycznych do ośrodków dla dorosłych powtarza się w postulatach dotyczących większości pacjentów, u których rozpoznano chorobę rzadką w dzieciństwie. W Ministerstwie Zdrowia prowadzone są prace analityczne związane z opracowaniem zasad przekazywania pacjentów z chorobami rzadkimi pomiędzy zakresami dla dzieci i dorosłych, z uwzględnieniem możliwości kontynuacji opieki w ośrodkach pediatrycznych tzw. młodych dorosłych.

Warto dodać, że Plan dla Chorób Rzadkich zakłada powołanie krajowych Ośrodków Eksperckich Chorób Rzadkich, co poprawi dostęp pacjentów z chorobami rzadkimi do kompleksowej opieki zdrowotnej o wysokiej jakości i zapewniającej bezpieczeństwo pacjentów. Zadanie jest w trakcie realizacji – stosowne przepisy ustawy są w trakcie procedowania - o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz niektórych innych usta (UD 285).

W ramach Planu dla Chorób Rzadkich została uruchomiona Platforma Informacyjna chorobyrzadkie.gov.pl gdzie zarówno pacjenci jak i medycy znajdą szereg informacji na temat chorób rzadkich oraz postepowania w przypadku podejrzenia choroby rzadkiej. Na chwilę obecną Ministerstwo Zdrowia nie planuje szkoleń personelu medycznego w zakresie konkretnej choroby.

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

telefon: +48 22 250 01 46
adres email: kancelaria@mz.gov.pl
www.gov.pl/zdrowie

ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa