Minister
Zdrowia

PLR2.050.57.2026.DG
Warszawa, 01 września 2026

Pani
Małgorzata Kidawa-Błońska
Marszałek Senatu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowna Pani Marszałek,

w odpowiedzi na oświadczenie złożone przez senatora Kazimierza Kleinę w dniu 28 lipca 2026 r. dotyczące systemowych rozwiązań w zakresie przejrzystości procedur stosowanych przez zespoły koordynacyjne 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 CHOROBĄ 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 CHOROBĄ 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.

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

ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

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, za 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 Ultrarzadkich 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 Ultrarzadkich, 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 Ultrarzadkich, mogą uniemożliwić poprawę stanu zdrowia świadczeniobiorcy;

5) okres ciąży lub karmienia piersią;

6) wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające 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.

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 wchodzą 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. 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**.

Na podstawie art. 16b ust. 8 ustawy o refundacji Prezes Funduszu określa w drodze zarządzenia, regulamin zespołu koordynacyjnego określający jego organizację, szczegółowe zadania, sposób i tryb działania oraz uczestnictwo w pracach tego zespołu. Zgodnie z regulaminem prac Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich, który stanowi załącznik nr 72 do zarządzenia nr 75/2026/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 lipca 2026 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe[1] informuję, że decyzje Zespołu Koordynacyjnego dotyczące kwalifikacji świadczeniobiorców do programu oraz wyłączenia świadczeniobiorców z programu nie są decyzjami administracyjnymi w rozumieniu przepisów ustawy z dnia 14 czerwca 1960 r. - Kodeks postępowania administracyjnego (Dz. U. z 2023 r. poz. 775, z późn. zm.). Zespół Koordynacyjny podejmuje decyzje w sposób niezależny, a jego członkowie nie kontaktują się w sprawach pracy Zespołu, w szczególności w zakresie wydawanych opinii, z jakąkolwiek osobą, organizacją czy instytucją, która mogłaby być zainteresowana bezpośrednio lub pośrednio podejmowanymi przez Zespół Koordynacyjny decyzjami. Decyzje Zespołu Koordynacyjnego dotyczące leczenia pacjentów oraz inne decyzje Zespołu Koordynacyjnego dotyczące realizacji programu lekowego są podejmowane na posiedzeniach zwykłą większością głosów, w obecności Przewodniczącego albo w przypadku jego nieobecności - Zastępcy Przewodniczącego. W przypadku oddania równej liczby głosów decyduje głos Przewodniczącego, a w przypadku jego nieobecności Zastępcy Przewodniczącego. Dokumenty zawierające decyzje podejmowane przez Zespół Koordynujący, podpisuje Przewodniczący, a w razie nieobecności Przewodniczącego - Zastępca Przewodniczącego. Decyzje dotyczące kwalifikacji lub kontynuacji leczenia mogą być podejmowane na zasadach określonych przez Zespół, również z wykorzystaniem elektronicznego systemu monitorowania programów lekowych.

Ponadto w wyjątkowych okolicznościach związanych z koniecznością zapewnienia szybkiego dostępu do terapii bądź zachowania ciągłości terapii w danym programie lekowym decyzję może jednoosobowo podjąć Przewodniczący lub Zastępca Przewodniczącego.

[1] zarządzenie nr 75/2026/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 lipca 2026 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe

Decyzja nie może zostać podjęta na okres dłuższy niż do czasu najbliższego posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego. W każdym tego typu przypadku, na najbliższym posiedzeniu Zespołu Koordynacyjnego przedstawiany jest wniosek o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia bądź w przypadku kontynuacji terapii - karta monitorowania leczenia.

Należy wskazać, że kwalifikacja świadczeniobiorców do programu lekowego, ocena skuteczności terapii w trakcie trwania programu lekowego oraz rozstrzyganie o wyłączeniu świadczeniobiorców z programu lekowego odbywa się zgodnie z opisem świadczenia, określonym w załączniku do obwieszczenia ministra właściwego do spraw zdrowia w sprawie wykazu leków refundowanych, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Decyzje podejmowane przez Zespół stanowią zatem decyzje lekarskie podejmowane zgodnie z najlepszą wiedzą medyczną w odniesieniu do zakresu świadczenia gwarantowanego jakim jest program lekowy zdefiniowany przez Ministra Zdrowia. Obsługę administracyjną oraz prawną Zespołu Koordynacyjnego oraz jego członków zapewnia jednostka koordynująca tj. Instytut „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka". Do zadań jednostki koordynującej należy w szczególności: archiwizacja dokumentów; przekazywanie korespondencji; kontaktowanie się z członkami Zespołu Koordynacyjnego; zawiadamianie o spotkaniach oraz informowanie o decyzjach Zespołu Koordynacyjnego ośrodka występującego z wnioskiem o kwalifikację do leczenia, kontynuację i zaprzestanie terapii.

W odniesieniu do zadanych pytań Minister Zdrowia wskazuje, że zgodnie z obowiązującymi przepisami prawa Narodowy Fundusz Zdrowia finansuje leczenie pacjentów zakwalifikowanych do leczenia w programach lekowych i spełniających kryteria kontynuacji leczenia. W przypadku podjęcia decyzji o wyłączeniu z programu, Fundusz nie ma podstaw prawnych do finasowania świadczeń. Należy wskazać, że zakres świadczenia gwarantowanego jakim jest program lekowy, zdefiniowany jest w obwieszczeniach Ministra Zdrowia ws. wykazu leków refundowanych, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

Opis programu lekowego B.22 Leczenie pacjentów z chorobą Pompego określa kryteria włączenia do programu, zasady udzielania świadczeń oraz kryteria wyłączenia z terapii. Spełnienie kryteriów wyłączenia z terapii jest równoznaczne z brakiem możliwości finansowania świadczeń przez płatnika publicznego. Wskazuję również, że Zespół Koordynacyjny zgodnie z regulaminem, ma możliwość podejmowania indywidualnych decyzji związanych z koniecznością zapewnienia szybkiego dostępu do terapii, bądź zachowania ciągłości terapii w danym programie lekowym, do czasu kolejnego posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego. Decyzje Zespołu są podejmowane na podstawie dokumentacji przekazywanej do Zespołu Koordynacyjnego przez lekarza prowadzącego pacjenta. Zespół

ma możliwość w wątpliwych przypadkach wystąpić do lekarza prowadzącego z prośbą o przedstawienie dodatkowych wyjaśnień, informacji czy uzupełnienia dokumentacji. W przypadku takiej sytuacji, pacjent ma kontynuowaną terapię do czasu podjęcia przez Zespół decyzji o wyłączeniu z terapii.

Poniżej Minister Zdrowia przekazuje informacje uzyskane od Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich dotyczące liczby pacjentów wyłączonych/niezakwalifikowanych do poszczególnych programów lekowych w okresie od 2020 r. do I połowy 2026 r.:

1. „Leczenie pacjentów z chorobą Gauchera typu I oraz typu III" – 1 pacjent wyłączony z terapii, 1 pacjent nie został zakwalifikowany,
2. „Leczenie choroby Hurler" – 2 pacjentów wyłączonych z terapii z powodu przeszczepu komórek macierzystych, 2 pacjentów nie zostało zakwalifikowanych,
3. „Leczenie pacjentów z mukopolisacharydozą typu II (zespół Huntera)" – 3 pacjentów wyłączonych z terapii, 3 pacjentów nie zostało zakwalifikowanych,
4. „Leczenie pacjentów z choroby Pompego" – 4 pacjentów wyłączonych z terapii, z czego 2 pacjentów ponownie włączono do leczenia do posiedzenia Zespołu w dniu 31 sierpnia br., 1 pacjent nie został zakwalifikowany,
5. „Leczenie ciężkich wrodzonych hiperhomocysteinemii" – 2 pacjentów wyłączono z terapii, 5 pacjentów nie zakwalifikowano,
6. „Leczenie Tyrozynemii typu I" – 1 pacjent warunkowo wyłączony z zaleceniem przestrzegania diety i ponownie włączony po uzyskaniu prawidłowych parametrów,
7. „Leczenie choroby Fabry"ego" – 1 pacjent wyłączony, 5 pacjentów nie zostało zakwalifikowanych,
8. „Leczenie uzupełniające L-karnityną w wybranych chorobach metabolicznych" – 1 pacjent wyłączony po przeszczepie wątroby i nerek, nie potrzebuje leczenia, rodzice 3 pacjentów po uzyskaniu kwalifikacji nie wyraziło zgody na leczenie, terapia nie została wdrożona,
9. „Leczenie wspomagające zaburzeń cyklu mocznikowgo" – brak wyłączeń
10. „Leczenie chorych na cystynozę nefropatyczną" – 1 pacjentce zakończono leczenie z powodu wyjazdu z Polski,
11. „Leczenie kwasem kargluminowym chorych z acyduriami organicznymi: propionową, metylomalonową i izowalerianową" – brak wyłączeń,
12. „Leczenie chorych na hipofosfatemię sprzężoną z chromosomem X(XLH)" – brak wyłączeń,
13. „Leczenie amifamprydyną pacjentów z zespołem miastenicznym Lamberta-Eatona" – 1 pacjent nie został zakwalifikowany,

14. „Leczenie chorych z niedoborem kwaśnej sfingomielinazy (ASMD) typu A/B i B” – brak wyłączeń,
15. „Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji(HPP)” – brak wyłączeń,
16. „Leczenie pacjentów z achondroplazją” – brak wyłączeń,
17. „Leczenie pacjentów z wrodzonymi zespołami autozapalnymi” – 6 pacjentów wyłączonych z leczenia w tym 1 pacjent po przeszczepie, 2 pacjentów ponownie włączonych do terapii po uzyskaniu poprawy parametrów,
18. „Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu” – brak wyłączeń,
19. "Leczenie chorych z zespołem hipereozynofilowym (HES)” – 1 pacjent nie został zakwalifikowany.

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.

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