



Minister Zdrowia

PLR2.050.12.2026.JW
Warszawa, 18 marca 2026

Pan
Włodzimierz Czarzasty
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 15598 Pani Iwony Kozłowskiej, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej oraz Grupy Posłów, w sprawie sytuacji pacjentów cierpiących na ataksję Friedreicha (FA) - rzadką, postępującą chorobę neurodegeneracyjną o podłożu genetycznym, Minister Zdrowia przedstawia poniżej następujące informacje.

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). Na podstawie przepisów art. 37 ww. ustawy Minister Zdrowia ogłasza co do zasady raz na 3 miesiące, w drodze obwieszczenia wykazy refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobów medycznych.

Należy wskazać, że pierwszy lek zarejestrowany dla chorych na ataksję Friedreicha - lek Skyclarys (omaweloksolon) został objęty refundacją systemową od 1.07.2025 r. i jest dostępny w ramach programu lekowego B.174. LECZENIE CHORYCH NA ATAKSJĘ FRIEDREICHA (ICD-10: G11.1).

Program lekowy to świadczenie gwarantowane, w ramach którego leczenie odbywa się z zastosowaniem innowacyjnych, kosztownych substancji czynnych, które nie są finansowane w ramach innych świadczeń gwarantowanych. Pacjenci zakwalifikowani do programu lekowego są leczeni bezpłatnie. W programie B.174. są to pacjenci w wieku co najmniej 16 lat z rozpoznaniem ataksji Friedreicha potwierdzonej badaniem genetycznym.

Należy dodać, że wskazanie refundacyjne pokrywa się ze wskazaniem zarejestrowanym w Charakterystyce Produktu Leczniczego leku Skyclarys¹ natomiast leczenie w populacji poniżej 16 roku życia nie zostało zarejestrowane. Oznacza to, że podmiot odpowiedzialny

¹ https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2025/20250915167463/anx_167463_pl.pdf

nie przedstawił dowodów klinicznych będących podstawą do zarejestrowania wskazania u tej grupy pacjentów na etapie rejestracji w Unii Europejskiej. Pomimo ogromnego zapotrzebowania medycznego na skuteczne i dobrze tolerowane leki dla tej populacji chorych na chwilę obecną możliwości terapeutyczne są ograniczone.

Dodatkowo należy wskazać, że lek Skyclarys (omaweloksolon) przed objęciem refundacją został oceniony przez Agencję Technologii Medycznych i Taryfikacji, a w negatywnym stanowisku Rady Przejrzystości oraz w negatywnej rekomendacji Prezesa Agencji² wykazano szereg wątpliwości co do ocenianej technologii medycznej.

Poniżej przekazuję informacje w zakresie liczby pacjentów objętych leczeniem w przedmiotowym programie lekowym. Jednocześnie zaznaczam, że dane te opierają się na realizacji świadczeń związanych z podaniem/wydaniem leku w programie, a dane za 2026 r. obejmują okres do końca stycznia br. i mogą ulegać zmianie wraz z kolejnymi aktualizacjami systemów informatycznych.

Liczba pacjentów w programie lekowym B.174.	2025	2026
	30	7

Dane na dzień 10.03.2026 r.

Kolejna tabela przedstawia informacje na temat liczby ośrodków realizujących przedmiotowy program lekowy w poszczególnych województwach. W obecnym roku umowę na realizację programu posiada 35 świadczeniodawców.

Oddział NFZ	Liczba świadczeniodawców	
	2025	2026
dolnośląski	0	2
kujawsko-pomorski	3	3
lubelski	3	3
lubuski	0	1
łódzki	0	2
małopolski	4	4
mazowiecki	6	6

² <https://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2024/1033-6materialy-2024/8733-189-2024-zlc>

opolski	0	0
podkarpacki	1	1
podlaski	2	2
pomorski	1	1
śląski	4	4
świętokrzyski	2	2
warmińsko-mazurski	1	1
wielkopolski	2	2
zachodniopomorski	1	1
SUMA	30	35

Dane na dzień 10.03.2026 r.

Nie zanotowano zawiadomień dotyczących problemów z dostępnością do leczenia ataksji Friedreicha w programie, tym samym uznaje się, że liczba realizatorów programu B.174 zaspokaja bieżący potrzeby tej grupy pacjentów.

Niezwykle istotną kwestią w obszarze chorób rzadkich jest poprawa dostępu do nowoczesnej diagnostyki, która pozwoli na uniknięcie tzw. „odysei diagnostycznej” trwającej od kilku do nawet kilkunastu lat i generuje ogromne koszty dla systemu ochrony zdrowia, a dla pacjenta z chorobą rzadką i jego rodziny jest obciążeniem psychicznym, materialnym i zdrowotnym.

W celu skrócenia ścieżki diagnostycznej, w tym zwiększenia dostępności badań genetycznych w 2025 r. do wykazu świadczeń gwarantowanych w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej (AOS) dodano 2 nowe badania genetyczne: metodą porównawczej hybrydyzacji genomowej do mikromacierzy (aCGH – Array Comparative Genomic Hybridization) oraz analizę ekspresji genu lub kilku genów (w tym genów fuzyjnych) przy użyciu metody Real-Time PCR – ilościowa reakcja łańcuchowa polimerazy w czasie rzeczywistym (qRT-PCR – Real-Time Quantitative Polymerase Chain Reaction).

Prowadzone są prace nad kolejną zmianą w AOS - wprowadzeniem kolejnych badań genetycznych. Będą to badania: całoeksomowe (WES – Whole Exome Sequencing) z zastosowaniem sekwencjonowania następnej generacji (NGS – Next Generation

Sequencing) oraz badanie genomu człowieka metodą sekwencjonowania następnej generacji (NGS) – tzw. małe i średnie panele celowane NGS.

Aktualnie w Polsce są 44 Ośrodki Eksperckie Chorób Rzadkich (OECR) powołane w trybie uznania kompetencji. Tworzenie kolejnych OECR jest jednym z zadań Planu dla Chorób Rzadkich. W Polsce istnieje szereg innych rozpoznawalnych ośrodków, które od lat prowadzą diagnostykę oraz zapewniają leczenie i opiekę pacjentom z określonymi chorobami lub grupami chorób rzadkich. Kolejne ośrodki będą mogły ubiegać się o nadanie statusu OECR po wejściu w życie przepisów ustawy zmieniającej ustawę o świadczeniach zdrowotnych finansowanych ze środków publicznych, gdzie określa się tryb uzyskania statusu OECR. Projekt ustawy został poddany konsultacjom publicznym, trwają kolejne etapy procesu legislacyjnego.

Należy także poinformować, że Ministerstwo Zdrowia nie prowadzi analiz dotyczących długoterminowych korzyści zdrowotnych i ekonomicznych wynikających z wczesnej diagnozy i wdrożenia terapii modyfikującej przebieg choroby.

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