



# Minister Zdrowia

---

PLD.050.15.2026.BF

Warszawa, 12 sierpnia 2026

Pan

Włodzimierz Czarzasty

Marszałek Sejmu Rzeczypospolitej Polskiej

*Szanowny Panie Marszałku,*

W nawiązaniu do interpelacji nr 18702 Pani Doroty Marek, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej w sprawie wypracowania systemowych rozwiązań i wdrożenia przejrzystej procedury dostępu do terapii we współczującym użyciu (compassionate use) dla pacjentów z chorobami rzadkimi i ultrarzadkimi w Polsce, Minister Zdrowia uprzejmie informuje, co następuje.

Na wstępie należy zaznaczyć, że w świetle art. 83 ust. 1 Rozporządzenia (WE) nr 726/2004 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 31 marca 2004 r. ustanawiającego wspólnotowe procedury wydawania pozwoleń dla produktów leczniczych stosowanych u ludzi i do celów weterynaryjnych i nadzoru nad nimi oraz ustanawiającego Europejską Agencję Leków, wprowadzono procedurę „compassionate use”, która ma na celu ułatwianie i poprawę dostępu pacjentów w UE do programów leczenia ze względów humanitarnych, wprowadzenie jednolitego i wspólnego podejścia dotyczącego stosowania nowych, niezarejestrowanych leków biorąc pod uwagę warunki stosowania, wymagania dla dystrybucji i pacjentów objętych Zastosowaniem Podyktowanym Współczuciem, zwanym dalej „ZPW” oraz zwiększenie przejrzystości między państwami członkowskimi w zakresie dostępności leczenia.

Minister Zdrowia wskazuje, że obecnie prowadzone są prace dotyczące wprowadzenia ww. procedury do prawa krajowego, co wymaga wypracowania rozwiązań legislacyjnych, szczegółowo regulujących poruszane kwestie. Działania Ministra Zdrowia w tym zakresie służą stosowaniu przepisów rozporządzenia nr 726/2004 i znajdują także uzasadnienie w potrzebie realizacji działań systemowych w obszarze chorób rzadkich i terapii o wysokim znaczeniu klinicznym. Aktualnie projekt ustawy o zmianie ustawy-Prawo farmaceutyczne oraz niektórych innych ustaw, regulujących powyższą materię, znajduje się na etapie prekonsultacji. Proponowana procedura obejmuje przypadki stosowania produktu leczniczego, dla którego jest prowadzone badanie kliniczne, zakończono badanie kliniczne

albo został złożony wniosek o dopuszczenie do obrotu, u określonej grupy pacjentów cierpiących na chorobę przewlekłą albo poważnie wyniszczającą lub zagrażającą życiu, którzy nie mogą być skutecznie leczeni produktem leczniczym dopuszczonym do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej. W państwach członkowskich Unii Europejskiej programy wczesnego dostępu mają co do zasady charakter przejściowy, ograniczony czasowo i pełnią funkcję pomostową pomiędzy zakończeniem badań klinicznych albo etapem rejestracyjnym a objęciem leku refundacją. W projektowanych przepisach krajowych proponuje się rozwiązanie unikatowe, zapewniające nieodpłatną i ciągłą dostępność terapii dla pacjenta nie tylko w okresie trwania procedury ZPW, ale również po uzyskaniu pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu podawanego w ramach ZPW, aż do jego systemowej refundacji.

Dotychczas ramy prawne ZPW wynikały wyłącznie z przepisów prawa unijnego, bez dostatecznej implementacji w prawie krajowym. Przedmiotowy projekt wypełnia tę lukę, wskazując organ właściwy do wydawania zgód, krąg uprawnionych wnioskodawców, zakres wymaganej dokumentacji, tryb oceny wniosku, obowiązki wnioskodawcy oraz reguły dotyczące bezpieczeństwa, nadzoru, finansowania i informatyzacji postępowania.

Należy wskazać, że propozycje przepisów zakładają również stworzenie wyspecjalizowanego systemu teleinformatycznego służącego obsłudze postępowań w sprawie wydania zgody na ZPW, tj. Systemu Obsługi Zastosowania Podyktowanego Współczuciem, zwany dalej „SOZPW”. Rozwiązanie to ma znaczenie zarówno dla sprawności postępowania administracyjnego, jak i dla bezpieczeństwa oraz kompletności danych przekazywanych przez strony postępowania. Projekt przewiduje, że za pośrednictwem tego systemu będą składane wnioski o wydanie zgody na ZPW, załączniki do tych wniosków oraz inne pisma w toku postępowania. Umożliwi to pełną elektronizację komunikacji w sprawach o wydanie zgody na ZPW i ograniczy ryzyko opóźnień wynikających z tradycyjnego obiegu dokumentów. W konsekwencji planowane narzędzie będzie pełnić również funkcję organizacyjnego i proceduralnego wsparcia dla podmiotów leczniczych oraz lekarzy prowadzących, ułatwiając prawidłowe przygotowanie i procedowanie wniosków dotyczących zastosowania terapii w trybie ZPW. Na obecnym etapie projektowanych rozwiązań nacisk położono przede wszystkim na stworzenie jednolitego, elektronicznego kanału obsługi postępowań, który przyczyni się do ujednolicenia praktyki i zwiększenia efektywności procesu.

Odnosząc się do ostatniego pytania należy mieć na uwadze, że w polskim porządku prawnym istnieją procedury, do których pacjent ma dostęp w sytuacji zagrożenia zdrowia lub życia. Minister Zdrowia może w szczególności skorzystać z dostępnych mechanizmów regulacyjnych umożliwiających dopuszczenie do obrotu produktów leczniczych nieposiadających pozwolenia lub niedostępnych w Polsce, zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6

września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2026 r. poz. 612) w oparciu o zapotrzebowanie wystawione przez lekarza za pośrednictwem Systemu Obsługi Importu Docelowego. W związku z tym lek nieposiadający pozwolenia może być stosowany u pacjenta, który brał udział w badaniu klinicznym i odniósł korzyści terapeutyczne (jako kontynuacja leczenia), jak i u pacjenta, który nie brał udziału w badaniu klinicznym.

Należy podkreślić, że wszelkie decyzje o wdrożeniu danej terapii medycznej oraz czasie jej trwania należą do lekarza prowadzącego terapię danego pacjenta. Lekarz jest osobą odpowiedzialną za dokonanie rozpoznania, ocenę stanu pacjenta i wybór najkorzystniejszej metody leczenia w danym przypadku klinicznym. Lekarz ma obowiązek wykonywać zawód, zgodnie ze wskazaniami aktualnej wiedzy medycznej, dostępnymi mu metodami i środkami zapobiegania, rozpoznawania i leczenia chorób, zgodnie z zasadami etyki zawodowej oraz z należytą starannością.

Z wyrazami szacunku

z upoważnienia Ministra Zdrowia

Katarzyna Kacperczyk

Podsekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/