Minister
Zdrowia

PLR2.050.79.2026.DG
Warszawa, 02 listopada 2026

Pan
Włodzimierz Czarzasty
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 20194 z 8.10.2026 r., Poseł Mai Nowak i grupy Posłów w sprawie kryteriów kontynuacji leczenia pacjentów z chorobą Pompego w ramach programu lekowego B.22 oraz sytuacji Pacjentki wyłączonej z finansowania terapii Minister Zdrowia przekazuje poniższe informacje.

Kwestie związane z refundacją leków 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 art. 6 ustawy o refundacji ustalone są 4 kategorie dostępności refundacyjnej:

1) lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny dostępny w aptece na receptę,
2) lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowany w ramach **programu lekowego**,
3) lek stosowany w ramach chemioterapii,
4) lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny stosowany w ramach udzielania świadczeń gwarantowanych, innych niż wymienione w pkt 1-3.

Zgodnie z treścią art. 16a ustawy o refundacji opisy programów lekowych tworzy minister właściwy do spraw zdrowia. Zasięga przy tym opinii konsultanta krajowego lub konsultanta wojewódzkiego z odpowiedniej dziedziny medycyny, a w uzasadnionych przypadkach

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

ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

również medycznego towarzystwa naukowego z danej dziedziny medycyny. Projekt opisu programu lekowego jest również opiniowany przez Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych (dalej jako AOTMiT) oraz wnioskodawcę będącego Stroną postępowania administracyjnego o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto technologii lekowej stosowanej w ramach danego programu, który jest jednocześnie jedynym inicjatorem takiego postępowania.

Należy przez to rozumieć, że minister właściwy do spraw zdrowia bierze pod uwagę szeroki zakres opinii oraz wytycznych, korzysta z doświadczenia i wiedzy klinicystów oraz autorytetów z danej dziedziny medycyny, niemniej nie są one wiążące w procesie ustalania opisu programu lekowego. Ostateczny kształt opisu programu lekowego stanowi kompromis pomiędzy zabezpieczeniem potrzeb pacjentów przy uwzględnieniu najnowszych wytycznych klinicznych oraz możliwościami finansowymi płatnika publicznego (Narodowego Funduszu Zdrowia, NFZ).

Zgodnie z treścią obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 16 września 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 października 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). Ustawa o refundacji przewiduje możliwość, by w opisie programu lekowego mógł być powołany przez Prezesa Funduszu zespół koordynacyjny dla danego programu lekowego – dla programu lekowego B.22 rolę tę pełni Zespół Koordynujący ds. Chorób Ultrarzadkich.

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 f/broblastach 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, 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 skuteczność/' leczenia - weryfikację skuteczność/' 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 poprawyw 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, **przy czym kryteria wyłączenia z programu nie mają charakteru bezwzględnego ani jednoznacznie rozstrzygającego, lecz mają charakter ocenny i wymagają każdorazowo odniesienia do całokształtu sytuacji klinicznej pacjenta**. 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.

Przepisy art. 16a i art. 16b ustawy o refundacji określają zarówno zasady powołania zespołów, jak i ich zadania, wymogi dla kandydatów na członków zespołu, tryb ich powołania i odwołania oraz tryb działania tych zespołów. Regulamin zespołu koordynacyjnego wskazujący jego organizację, szczegółowe zadania, sposób i tryb działania oraz uczestnictwo w pracach tego zespołu, określa Prezes Narodowego Funduszu Zdrowia w drodze zarządzenia[1].

Decyzje dotyczące kwalifikacji świadczeniobiorców do programu oraz wyłączenia świadczeniobiorców z programu, o których mowa w regulaminie danego Zespołu, nie są decyzjami administracyjnymi w rozumieniu przepisów ustawy z dnia 14 czerwca 1960 r. - Kodeks postępowania administracyjnego. Przepisy dotyczące programów lekowych nie przyznają zespołom koordynacyjnym statusu organu administracji ani kompetencji do wydawania decyzji administracyjnych. Są tworzone jako gremia eksperckie wspierające realizację programu lekowego.

Zespół koordynacyjny składa się z lekarzy ekspertów w danej dziedzinie medycyny. Członkowie zespołu koordynacyjnego wykonują swoje zadania w oparciu o ustawę z dnia 5 grudnia 1996 r. o zawodach lekarza i lekarza dentysty (Dz.U. z 2026 poz. 37, z późn. zm.), przy tym wskazać chociażby należy na art. 4, zgodnie z którym 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. Członkowie zespołu podejmują decyzje kliniczne o kwalifikacji do leczenia, kontynuacji leczenia lub odstąpieniu od leczenia w oparciu o wiedzę lekarską, zapisy programu lekowego, pełną dokumentację danego pacjenta, zawierającą ocenę stanu zdrowia oraz w oparciu o ocenę efektywności dotychczas zastosowanej terapii. Nie jest to ocena prawna, lecz specjalistyczna kwalifikacja medyczna.

Zespół Koordynacyjny podejmuje decyzje w sposób niezależny, a jego członkowie nie kontaktują się w sprawach pracy Zespołu, w szczególności w zakresie wydawanych opinii, z

[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

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. 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. Informacje nt. pracy Zespołu Koordynacyjnego publikowane są na stronie internetowej Instytutu „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka”:

https://www.czd.pl/strony/dzialalnoscckliniczna/zespoly/zespol-koordynacyjny-ds-chorob ultrarzadkich.

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 możliwości zmiany kryteriów wyłączenia z programu lekowego B.22, należy wskazać, że zgodnie z art. 16a ust. 4 ustawy o refundacji leków zmiany opisu programu lekowego dokonuje minister właściwy do spraw zdrowia. Stosownie do ust. 5 tego przepisu, przy dokonywaniu takiej zmiany Minister może zasięgnąć opinii konsultanta krajowego lub konsultanta wojewódzkiego z odpowiedniej dziedziny medycyny oraz Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a w uzasadnionych przypadkach również medycznego towarzystwa naukowego z danej dziedziny medycyny. Jednocześnie należy wskazać, że do Ministerstwa Zdrowia nie wpłynęły dotychczas ze strony właściwych konsultantów postulaty dotyczące zmiany przedmiotowych kryteriów wyłączenia z programu lekowego B.22. Postulaty takie nie były również zgłaszane przed podjęciem przez Zespół Koordynujący ostatnich rozstrzygnięć dotyczących wyłączenia pacjentów z programu.

Minister Zdrowia podkreśla, że zmiany opisu programu lekowego powinny wynikać przede wszystkim z przesłanek o charakterze systemowym i medycznym, w szczególności z nowych dowodów naukowych, aktualnej wiedzy medycznej oraz kompleksowej oceny skuteczności terapii w przebiegu tej postępującej choroby, a nie służyć podważaniu indywidualnych rozstrzygnięć Zespołu Koordynującego podjętych zgodnie z najlepszą wiedzą Członków Zespołu, na podstawie obowiązujących kryteriów programu.

Odnosząc się do pytań dotyczących indywidualnej sytuacji klinicznej pacjentki wskazanej w interpelacji, należy wyjaśnić, że Ministerstwo Zdrowia nie dysponuje pełną dokumentacją medyczną pacjentki ani szczegółowymi danymi klinicznymi stanowiącymi podstawę rozstrzygnięć Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich. Ocena skuteczności terapii oraz zasadności jej kontynuacji należy do kompetencji lekarza prowadzącego i Zespołu Koordynacyjnego, który dokonuje jej na podstawie dokumentacji medycznej i kryteriów określonych w programie lekowym.

Jednocześnie należy podkreślić, że szczegółowe informacje dotyczące stanu zdrowia, wyników badań i przebiegu leczenia konkretnego pacjenta stanowią dane osobowe szczególnej kategorii, podlegające ochronie na podstawie art. 9 rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 (RODO) oraz przepisów ustawy z dnia 6 listopada 2008 r. o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta. Ich udostępnianie wymaga odpowiedniej

podstawy prawnej i odbywa się z poszanowaniem praw pacjenta, w szczególności prawa do zachowania w tajemnicy informacji związanych z jego stanem zdrowia.

Sprawa dotycząca wyłączenia wskazanej Pacjentki z programu lekowego jest Ministerstwu znana i była już przedmiotem wielokrotnych analiz oraz korespondencji. Rodzina Pacjentki kilkukrotnie otrzymała wyczerpujące informacje i wyjaśnienia zarówno ze strony Ministerstwa Zdrowia (w kwestii podstaw prawnych refundacji leków w Polsce oraz działania programów lekowych), jak również Narodowego Funduszu Zdrowia (w kwestii praktycznej realizacji programów) oraz Zespołu Koordynującego (wyjaśnienia w zakresie indywidualnej sytuacji klinicznej pacjentki).

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Katarzyna Kacperczyk
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