



## MINISTER ZDROWIA

MZ-UZ-PR-71-34951-1/KS/14

GABINET MARSZAŁKA SENATU

wpłynęło dn. 17.07.14.  
nr. 3049 podpis *Borusewicz*

Warszawa, 2014 -07- 07

SEKRETARIAT  
Biura Prac Senackich  
Wpłynęło dn. 17.07.14. zał.  
nr. 4389 podpis *[signature]*

**Pan**  
**Bogdan Borusewicz**  
**Marszałek Senatu**  
**Rzeczypospolitej Polskiej**

*Szanowny Panie Marszałku!*

W odpowiedzi na oświadczenie złożone przez Panią Senator Alicję Zając, przekazane przy piśmie Pani Marii Pańczyk-Pozdziej, Wicemarszałka Senatu z dnia 16 czerwca 2014 r., (znak: BPS-043-56-2447/14), w sprawie rekomendacji Parlamentu Europejskiego i Rady UE nr 1350/2007/WE ustanawiającej drugi program działań w dziedzinie zdrowia na lata 2008 – 2013 oraz zaleceń Rady UE z dnia 8 czerwca 2009 r. (2009/C 151/02), w sprawie działań w dziedzinie rzadkich chorób, uprzejmie proszę o przyjęcie następujących informacji.

Minister Zdrowia, uznając działania w zakresie chorób rzadkich za jeden z kluczowych obszarów polityki zdrowotnej, już w 2008 r. powołał Zespół do Spraw Chorób Rzadkich. Głównym zadaniem Zespołu jest proponowanie kierunków polityki w zakresie opieki i terapii chorych na choroby rzadkie oraz opracowywanie i proponowanie rozwiązań opartych na dowodach naukowych, określających zasady, na jakich zapewnia się obywatelom równy dostęp do informacji, diagnostyki, terapii oraz opieki. W dotychczasowych działaniach Zespołu można wyróżnić działania o charakterze operacyjnym i działania o charakterze strategicznym. Celem działań o charakterze operacyjnym (krótkookresowym) było zapewnienie dostępu do świadczeń opieki zdrowotnej dla osób dotychczas takiego dostępu pozbawionych. W związku z powyższym, m.in. w wyniku rekomendacji Zespołu, od roku 2009 ze środków publicznych finansowane są (w ramach programów lekowych) terapie dotyczące następujących chorób, określanych jako ultra-rzadkie: choroby Gaucher'a, zespołu Maroteaux-Lamy, zespołu Huntera, choroby Hurler, choroby Pompego oraz leczenie ciężkich wrodzonych hiperhomocysteinemii (od 2012 r.). Należy również zauważyć, że na

finansowanie ww. terapii w roku 2009 Narodowy Fundusz Zdrowia przeznaczył kwotę 51 869 560 zł, a w roku 2012 już kwotę 142 740 726 zł – jest to więc prawie trzykrotny wzrost finansowania w sytuacji braku analogicznego wzrostu przychodów Funduszu.

Należy jednocześnie podkreślić, że terapie lekowe dotyczące innych chorób rzadkich są już od kilku lat finansowane ze środków publicznych. Finansowanie odbywa się:

- W ramach ww. programów lekowych (np.: choroba Leśnowskiego-Crohna Zespół Prader-Willi, Turnera, leczenie przewlekłych zapaleń płuc u pacjentów z mukowiscydozą, leczenie niskorosłych dzieci z zespołem Turnera, leczenie szpiczaka plazmatyczno komórkowego, leczenie nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego, leczenie młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym, leczenie przewlekłej białaczki szpikowej). Wydatki Funduszu z tego tytułu w roku 2012 wyniosły ponad 490 mln zł.

- W ramach refundacji aptecznej leków i środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego (np. mukowiscydoza, fenyloketonuria, akromegalia, stwardnienie zanikowe boczne, pierwotna dyskineza rzęsek, moczówka prosta, miastenia).

Tak więc priorytetem polityki zdrowotnej w zakresie chorób rzadkich było zapewnienie pacjentom dostępu do terapii lekowych.

Kolejnym zadaniem polityki zdrowotnej, tym razem o charakterze strategicznym (długookresowym), jest przygotowanie wspomnianego Narodowego Planu w zakresie chorób rzadkich. Pierwsza wersja Planu została przygotowana w 2012 r. i w roku 2013 r. przedstawiona na Kierownictwie Ministerstwa Zdrowia. Dokument ten przede wszystkim identyfikuje obszary, w ramach których powinny być podejmowane działania w zakresie chorób rzadkich. Podstawowe zidentyfikowane obszary to: - klasyfikacja i rejestr chorób rzadkich; - diagnostyka chorób rzadkich; - opieka zdrowotna dla pacjentów z chorobami rzadkimi; - zintegrowany system wsparcia społecznego dla pacjentów z chorobami rzadkimi i ich rodzin; - nauka, edukacja i informacja w zakresie chorób rzadkich.

Jednocześnie informuję, że w dniu 7 listopada 2013 r. został powołany nowy Przewodniczący do spraw chorób rzadkich, który obecnie przy udziale specjalistów i organizacji pacjenckich analizuje ww. obszary pod kątem możliwości podjęcia konkretnych działań o charakterze legislacyjnym lub organizacyjnym. Za priorytet w działaniach uznano zapewnienie osobom z chorobami rzadkimi równego dostępu do świadczeń zdrowotnych. Wyniki prac w ww. obszarach są spodziewane w przeciągu najbliższych kilku miesięcy.

*z pozajawieniem*  
upoważnienia  
MINISTRA ZDROWIA  
SEKRETARZ STANU  
*Stawomir Neumann*  
Stawomir Neumann