

Warszawa, dnia 15 maja 2019 r.



RZECZPOSPOLITA POLSKA

Rzecznik Praw Pacjenta

Bartłomiej Chmielowiec

RzPP-DSD.421.2.2018.AGL.AZ

Pan

Łukasz Szumowski

Minister Zdrowia

ePUAP

W nawiązaniu do dotychczasowej korespondencji z Ministerstwem Zdrowia¹ w przedmiocie problemów osób z chorobami rzadkimi i ultra rzadkimi, uprzejmie wskazuję co następuje.

Szacuje się, że w Polsce łączna liczba osób chorujących na choroby rzadkie wynosi około 2,3-3 miliony. Leki stosowane w terapii osób dotkniętych tymi chorobami są kosztowne i często nie refundowane. Ponadto trudna sytuacja pacjentów wynika przede wszystkim z charakteru tej grupy chorób – duże zróżnicowanie w obrębie chorób uwarunkowanych genetycznie, rzadkie i bardzo rzadkie występowanie, a także niski poziom wiedzy w niewyspecjalizowanych placówkach medycznych powoduje duże problemy diagnostyczne i terapeutyczne. Nieprawidłowe rozpoznawanie i w związku z tym niewłaściwe leczenie naraża pacjentów na niepotrzebne cierpienie oraz generuje niejednokrotnie wysokie koszty opieki zdrowotnej.

Z tych względów celowe jest zarówno z perspektywy pacjentów, jak i efektywności systemu opieki zdrowotnej, przyjęcie niezbędnych rozwiązań organizacyjnych.

Zauważyć należy, iż problemy pacjentów dotyczą dwóch głównych obszarów: diagnostyki choroby rzadkiej i jej leczenia. W pierwszym obszarze pacjenci zgłaszają następujące zastrzeżenia do systemu opieki zdrowotnej:

¹ Pismo z dnia 29 listopada 2016 r., pismo z dnia 8 sierpnia 2017 r., pismo z dnia 18 maja 2018 r., znak: RzPP-ZPR.420.75.2015.

- długotrwała i czasochłonna diagnostyka, z opóźnieniem rozpoznania choroby;
- niedostateczna wiedza medyczna personelu medycznego w obszarze rozpoznawania i leczenia choroby rzadkiej (co jest charakterystyczne dla choroby rzadkiej, jednakże w znacznym stopniu utrudnia diagnostykę);
- niedostateczna liczba ośrodków przygotowanych do rozpoznawania chorób rzadkich (metabolicznych i genetycznych).

Natomiast w przedmiocie udzielania świadczeń zdrowotnych już zdiagnozowanemu pacjentowi występują poniższe trudności:

- niedostateczny dostęp do terapii zgodnych z aktualną wiedzą medyczną;
- wydawanie przez personel medyczny zaleceń niezgodnych z aktualną wiedzą medyczną, co związane jest z trudnością w pozyskiwaniu informacji o właściwym postępowaniu w danej chorobie rzadkiej;
- brak zaleceń w przedmiocie leczenia i postępowania w danej chorobie rzadkiej;
- ograniczony dostęp do produktów leczniczych.

Odrębnym problemem pozostaje finansowanie świadczeń zdrowotnych dla chorób rzadkich.

Zgodnie z informacjami przekazanymi do Biura Rzecznika Praw Pacjenta w piśmie Ministerstwa Zdrowia z dnia 14 sierpnia 2018 r. znak: OZO.50.128.2018.EF wskazano, iż Ministerstwo podejmuje starania w celu zastosowania się do zaleceń Rady Unii Europejskiej z dnia 8 czerwca 2009 r. w sprawie działań w dziedzinie chorób rzadkich (2009/C 151/02), w przedmiocie opracowania i przyjęcia planu lub strategii w państwach członkowskich. Celem przedmiotowego dokumentu programowego byłoby ukierunkowanie oraz zorganizowanie stosownych działań w dziedzinie rzadkich chorób w ramach systemu zdrowotnego i socjalnego. Jak poinformowano w uprzedniej korespondencji, przygotowany został projekt wewnętrznego dokumentu pn.: „Plan dla chorób rzadkich. Działania operacyjne na lata 2018 - 2020”, określający stosowne zadania dla poszczególnych departamentów wraz z harmonogramem ich realizacji nad którym trwały prace wewnętrzne.

Niemniej jednak, z powtarzających się doniesień medialnych wynikało, iż termin jego wdrożenia był zmieniany². Powołano Zespół, który miał ukończyć pracę nad nowym planem

² <http://www.rynekzdrowia.pl/Farmacja/MZ-Narodowy-Plan-dla-Chorob-Rzadkich-najpозniej-do-konca-2018-r,181734,6.html>

do dnia 28 lutego 2019 r.³ Zrozumiałym jest konieczność wypracowania zadowalających rozwiązań dla wielu środowisk, z uwzględnieniem dostępnych rozwiązań organizacyjnych i możliwości finansowych systemu, niemniej jednak brak konkretnego terminu zakończenia potęguje niepewność wśród osób chorych. Mając powyższe na względzie, uprzejmie proszę o wskazanie planowanego terminu publikacji przedmiotowego planu.

Niezależnie od powyższego chciałbym również podkreślić, iż zgodnie z uprzednio publikowanymi przez Ministerstwo Zdrowia informacjami, strukturę Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich⁴ określono następująco: klasyfikacja i rejestr chorób rzadkich; diagnostyka chorób rzadkich (w tym budowa Systemu Ośrodków Referencyjnych), opieka zdrowotna dla pacjentów z chorobami rzadkimi, zintegrowana pomoc socjalna dla pacjentów z chorobami rzadkimi i ich rodzin, informacja, nauka i edukacja w zakresie chorób rzadkich, a także monitorowanie realizacji planu. Przedmiotowa struktura wydaje się uwzględniać większość problemów zgłaszanych Rzecznikowi przez pacjentów. Niemniej jednak, chciałbym zwrócić uwagę, iż celem skuteczniejszej diagnostyki istotnym pozostaje rozważenie wdrożenia ośrodka o charakterze konsultacyjnym, który działając w trybie ambulatoryjnym koordynowałaby rozpoznanie choroby rzadkiej i przekazanie pacjenta do właściwego ośrodka referencyjnego. Z korzyścią dla pacjentów byłoby również stworzenie infolinii w takim ośrodku, która pomogłaby im odnaleźć się w systemie. Za ważne postrzegam również dotarcie do pacjentów i personelu medycznego niezajmującego się na co dzień chorobami rzadkimi z informacją o liście ośrodków podejmujących się diagnostyki i leczenia pacjentów, a także wytycznych w postępowaniu przy podejrzeniu rozpoznania choroby rzadkiej.

Mając na względzie powyższe, działając na podstawie art. 47 ust. 1 pkt 7 ustawy, uprzejmie proszę o wskazanie:

- 1) W jakim terminie jest planowana publikacja planu?
- 2) Czy przedstawiony powyższej schemat planu pozostaje aktualny?
- 3) Czy planuje się stworzenie obok sieci ośrodków referencyjnych, ośrodka koordynującego leczenie pacjenta, w tym utworzenie dedykowanej infolinii?
- 4) Czy ośrodki referencyjne umożliwią udzielanie konsultacji pacjentom za pośrednictwem środków porozumiewania się na odległość?

³ <https://www.politykazdrowotna.com/39459,mz-specjalny-zespol-opracuje-projekt-narodowego-planu-dla-chorob-rzadkich>

⁴ <http://www.archiwum.mz.gov.pl/leczenie/choroby-rzadkie/narodowy-plan-dla-chorob-rzadkich/>

- 5) Jakie działania są podejmowane w przedmiocie zwiększenia dostępności pacjentów do europejskich sieci referencyjnych specjalizujących się w diagnostyce i leczeniu danej choroby rzadkiej?
- 6) W Polityce Lekowej Państwa na lata 2018-2022 wskazano, iż „warto rozważyć odstępstwo od ogólnie przyjętej procedury oceny leków w przypadku terapii stosowanych w chorobach rzadkich i ultra rzadkich, z zachowaniem ich kosztowej efektywności i wpływu na budżet” z sugestią wprowadzenia dodatkowych narzędzi oceny technologii lekowych⁵ – uprzejmie proszę o udzielenie przez Pana Ministra informacji czy podjęto prace koncepcyjne w tym zakresie?

Będę wdzięczny za ustosunkowanie się do przedmiotowych kwestii. Jednocześnie zapewniam, iż zrozumiałe są dla mnie trudności w stworzeniu dokumentu strategicznego biorąc pod uwagę charakter problemów poszczególnych chorób rzadkich i z tych względów pragnę serdecznie podziękować, iż Pan Minister podjął się tego niezmiernie trudnego zadania.

z upoważnienia
RZECZNIKA PRAW PACJENTA
Grzegorz Błażewicz
Zastępca Rzecznika Praw Pacjenta

⁵ str. 17, 69 Polityka Lekowa Państwa na lata 2018-2022, <https://www.gov.pl/web/zdrowie/rada-ministrow-przyjela-dokument-polityka-lekowa-panstwa-20182022>