

IX kadencja



# KANCELARIA SEJMU

## Biuro Komisji Sejmowych

**Komisja  
Zdrowia**

### **PEŁNY ZAPIS PRZEBIEGU POSIEDZENIA**

■ **PODKOMISJI STAŁEJ DO SPRAW  
ORGANIZACJI OCHRONY ZDROWIA  
I INNOWACYJNOŚCI W MEDYCYNIE  
(NR 9)**

z dnia 30 listopada 2021 r.



---

# Pełny zapis przebiegu posiedzenia

## Komisji Zdrowia

### – podkomisji stałej do spraw organizacji ochrony zdrowia i innowacyjności w medycynie (nr 9)

30 listopada 2021 r.

Podkomisja stała do spraw organizacji ochrony zdrowia i innowacyjności w medycynie, obradująca pod przewodnictwem poseł **Violetty Porowskiej (PiS)**, przewodniczącej podkomisji, zrealizowała następujący porządek dzienny:

- rozpatrzenie informacji Ministra Zdrowia na temat rdzeniowego zaniku mięśni (SMA) – diagnozowanie, leczenie, doświadczenia w Polsce i plany na przyszłość;
- omówienie i przyjęcie planu pracy podkomisji na okres od 1 stycznia do 30 czerwca 2022 roku.

W posiedzeniu udział wzięli: **Maciej Miłkowski** podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia wraz ze współpracownikami, **Marzanna Bieńkowska** zastępca Dyrektora Departamentu Dialogu Społecznego i Komunikacji w Biurze Rzecznika Praw Pacjenta, **Krzysztof Adamcewicz** dyrektor w Roche Polska ze współpracownikiem, prof. **Anna Kostera-Pruszczyk** kierownik Katedry i Kliniki Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego ze współpracownikiem, **Stanisław Maćkowiak** prezes Federacji Pacjentów Polskich, **Kacper Ruciński** członek Rady Strategicznej Fundacji SMA, **Wojciech Wiśniewski** ekspert Federacji Przedsiębiorców Polskich oraz **Magdalena Wysocka** pełnomocnik dyrektora ds. Programów Lekowych Medycznych i Badań Przesiewowych Instytutu Matki i Dziecka.

W posiedzeniu udział wzięli pracownicy Kancelarii Sejmu: **Jakub Stefański** oraz **Małgorzata Siedlecka-Nowak** – z sekretariatu Komisji w Biurze Komisji Sejmowych.

#### **Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dzień dobry. Witam wszystkich państwa bardzo serdecznie. Otwieram posiedzenie podkomisji stałej do spraw organizacji ochrony zdrowia i innowacyjności w medycynie. Witam członków podkomisji i witam bardzo serdecznie zaproszonych gości. Stwierdzam kworum. Porządek dzisiejszego posiedzenia przewiduje rozpatrzenie informacji ministra zdrowia na temat rdzeniowego zaniku mięśni (SMA) – diagnozowanie, leczenie, doświadczenia w Polsce i plany na przyszłość oraz drugi temat, omówienie i przyjęcie planu pracy podkomisji na okres od 1 stycznia do 30 czerwca 2022 roku.

Proszę państwa, tak absolutnie organizacyjnie, ponieważ jesteśmy również w trakcie posiedzenia plenarnego Sejmu – pan minister niedługo będzie musiał nas opuścić, ponieważ jest przyspieszenie na sali obrad i będzie komentował punkt, który jest omawiany na posiedzeniu plenarnym. Dlatego ja dzisiaj, podczas tego posiedzenia, będę trochę przyspieszała, a godzina, którą mieliśmy zaplanowaną na ten temat może się okazać trochę skrócona. Jednocześnie państwo posłowie mają równoległe trwające posiedzenia komisji, w związku z tym będziemy dzisiaj bardzo sprawnie, szybko, za to merytorycznie na ten temat mówić.

Witam wszystkich państwa, którzy są obecni na dzisiejszym spotkaniu. Ponieważ wiem, że państwo będą zabierali głos, to w momencie, kiedy państwo będą głos w dyskusji zabierali, będziemy prosili o przedstawienie się i przedstawienie instytucji, którą państwo reprezentujecie.

Przystępujemy do realizacji porządku dziennego. Informuję, że materiały dostępne są w wersji elektronicznej w folderze SDI na iPadach oraz zostały wysłane do posłów na maile.

Bardzo proszę pana ministra Macieja Miłkowskiego o przedstawienie stanowiska Ministerstwa Zdrowia. Bardzo proszę.

**Podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia Maciej Miłkowski:**

Szanowna pani przewodnicząca, szanowni państwo, nie przedłużając, bardzo serdecznie dziękuję za ten temat posiedzenia podkomisji, ponieważ jest bardzo istotny, a jeszcze ponad 3 lata temu, jak pamiętamy, właściwie były wielkie oczekiwania, że pojawił się lek, lek skuteczny. Oczekiwania pacjentów polskich były olbrzymie i udało się wynegocjować, uzgodnić i przyjąć do refundacji pierwszy lek, który działał na pacjentów. Im więcej o nim wiemy, im więcej wiemy o leczeniu, widać, że nasze postrzeganie odnośnie do leczenia pacjentów nie pogorszyło się, a być może nawet wyniki są lepsze niż w badaniach klinicznych. Cieszymy się więc, że w tym pierwszym okresie przyjęliśmy założenie, które było trudne na początku, że leczymy wszystkich obywateli, którzy mieszkają w Polsce, każdy typ rdzeniowego zaniku mięśni.

Zaczęliśmy bardzo mocno współpracować z lekarzami klinicystami i właściwie przez pierwsze 2 lata lekarze wykonali niesamowitą pracę, bo włączali kolejnych pacjentów do leczenia i w Polsce wszyscy pacjenci są włączeni w to leczenie. Mamy teraz sytuację, która bardzo szybko się rozwija. Jest z nami pani dyrektor z Instytutu Matki i Dziecka. Zostały uruchomione badania przesiewowe, i to też jest niesamowity element, bo widzimy po tym pierwszym okresie, że to działa perfekcyjnie i Polska należy do liderów światowych. Bardzo szybko mamy wyniki i potrafimy wprowadzić leczenie dla polskich dzieci.

Tak więc, mamy aktualnie jeden lek, który jest w refundacji. Kończy się właśnie trzyletni okres leczenia. Mamy drugi lek, który przeszedł procedurę w ustawie o Funduszu Medycznym i jest wydana decyzja negatywna. Nie udało się uzgodnić warunków finansowania i leczenia dla leku drugiego, to jest Zolgensma. Aktualnie w procesie jest Zolgensma, która była podana w Polsce co najmniej kilkunastu osobom ze środków własnych, ze zbiorów pacjentów. No i mamy jeszcze w procesie, który jest zarejestrowany, również trzeci lek, który jest aktualnie w ocenie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Wiemy, że część pacjentów jest leczonych w ramach dostępu charytatywnego przez firmę.

W ogóle było sporo badań klinicznych w Polsce, ale myślę, że o te wszystkie informacje o tym, jak to wygląda, chciałbym ewentualnie poprosić... Jesteśmy tu w gronie bardzo szerokim, począwszy od stowarzyszenia pacjentów, poprzez zespół koordynacyjny i towarzystwa naukowe w dziedzinie neurologii, po osoby, które bezpośrednio to nadzorują i włączają pacjentów do leczenia. Są reprezentowane Narodowy Fundusz Zdrowia, Instytut Matki i Dziecka – jak powiedziałem – jak również są przedstawiciele firm, które te leki w Polsce sprzedają lub starają się o refundację. Tak więc, to taki wstęp.

Tak jak pani przewodnicząca powiedziała, przez przypadek zdarzyło się, że dzisiaj jest również procedowana ustawa o wyrobach medycznych. To jest ustawa, za którą ja również odpowiadam, dlatego będę musiał pójść, ale myślę, że to będzie około 45 minut i zdążę wrócić, jeśli będzie jeszcze spotkanie. Tak więc, dziękuję bardzo i ewentualnie bym posłom, czy jak pani przewodnicząca uważa...

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo, panie ministrze. Jeszcze nie mamy informacji, że pan minister jest proszony na salę plenarną, więc jeżeli pan minister byłby uprzejmy i jeszcze przez chwileczkę był z nami, poczekał do momentu sygnału... My równolegle będziemy prowadzili dyskusję i jeżeli rzeczywiście pan minister zdażyłby po przedstawieniu na sali plenarnej swojego stanowiska odnośnie do ustawy o wyrobach medycznych, to bardzo serdecznie zapraszamy.

Warto podkreślić, proszę państwa, to co pan minister powiedział – Polska jest liderem, jeżeli chodzi o SMA i to są duże osiągnięcia polskiego rządu. W związku z tym dzisiejsze posiedzenie podkomisji ma wyjątkowy wymiar. Dlatego bardzo serdecznie proszę

zaproszonych gości o wzięcie udziału w dyskusji, a państwa posłów proszę o chwilę cierpliwości. Wysłuchajmy stanowiska.

Pan minister sugerował, żeby pierwszą osobą, która mogłaby się wypowiedzieć...  
Panie ministrze, Instytut Matki i Dziecka?

**Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:**

Tak.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo proszę, pani profesor. Proszę o przedstawienie się, ponieważ – jeszcze taką uwagę zrobię – całość jest nagrywana i w tej chwili cały czas jest również transmisja online dostępna dla gości, którzy nie mogli być dzisiaj z nami osobiście. Jesteśmy więc w kontakcie z osobami, które są zainteresowane tematem posiedzenia naszej podkomisji.

Bardzo proszę, pani profesor. Proszę o przedstawienie się.

**Pełnomocnik dyrektora ds. Programów Lekowych Medycznych i Badań Przesiewowych Instytutu Matki i Dziecka Magdalena Wysocka:**

Nie jestem profesorem. Magdalena Wysocka, Instytut Matki i Dziecka. Akurat dzisiaj jest 70-lecie instytutu, który zajmuje się matką i dzieckiem. My jako instytut prowadzimy badania przesiewowe nie tylko w kierunku SMA, ale wszystkie badania przesiewowe. Czy da się włączyć prezentację, czy nie?

Badania przesiewowe w Polsce są od 1965 r. W pierwszym badaniu przesiewowym były rozpoznawane dzieci, które chorują na fenyloketonurię. Tutaj widać, że tych badań w międzyczasie zostało wprowadzonych trochę więcej niż SMA. Jaśniejszym kolorem oznaczone są okresy pilotażu, który jest prowadzony w przypadku SMA, a który jest na samej górze. Ten przewidywany okres wdrożenia, żeby objąć całą Polskę, jest bardzo krótki.

Polska jest liderem nie tylko badań przesiewowych SMA, ale i innych badań przesiewowych na świecie. Wyprzedzają nas tylko Włochy i Stany Zjednoczone. W Polsce rozpoznajemy 30 różnych wrodzonych chorób u dzieci.

Badania przesiewowe w kierunku SMA rozpoczęły się w województwie mazowieckim 19 kwietnia tego roku. Następnie zostały włączone kolejne województwa. Tych województw miało być w Polsce zdecydowanie mniej niż było planowane na dziś. Zostały nam województwa: świętokrzyskie, podkarpackie, małopolskie i śląskie. Województwo śląskie zostanie włączone do pilotażu w styczniu przyszłego roku.

Ośrodki prowadzące leczenie SMA. W każdym wojewodowie jest jeden ośrodek, z wyjątkiem województwa śląskiego – tam są 3 ośrodki. To znaczy, mamy 3 województwa, które nie mają ośrodka leczącego, ale opiekę nad tym województwem obejmuje sąsiednie województwo. W każdym ośrodku jest zgłoszonych co najmniej dwóch neurologów dziecięcych, którzy mają stały kontakt czy są do dyspozycji zakładu badań przesiewowych w momencie, gdy jest wykryty przypadek dziecka chorego na SMA.

Na dziś mamy wykonanych 91,5 tys. badań w kierunku SMA. Rozpoznanych mamy czternaścioro dzieci. Jedenaścioro z nich jest leczonych nusinersenem, dwójka jest w badaniu klinicznym i jedno dziecko jest w obserwacji. Z tych naszych badań wynika, że częstotliwość jest 1 na 6,5 tys. Opisywana jest 1 na 7, czyli de facto mamy mniej więcej tyle, ile powinno być.

Tutaj jest informacja o tym, jak wygląda badanie przesiewowe. Krew do badania przesiewowego jest pobierana nie wcześniej niż w drugiej dobie życia. Dziecko musi mieć ukończone 48 godzin życia i dopiero wtedy możemy pobrać krew na bibułę. Potem te bibuły kurierami są przewożone do instytutu. Średnio wychodzi nam 5,5 dnia do rejestracji takiej bibuły. Jest to średnia, a wiadomo, że w soboty, niedziele i inne święta poczta czy w ogóle kurierzy nie działają. Pierwszy wynik przesiewowego badania SMA mamy po niecałych siedmiu dniach. W momencie, gdy mamy w badaniu przesiewowym podejrzenie SMA, jeszcze w laboratorium przesiewowym jest robiona weryfikacja i jeżeli w weryfikacji metodą MLPA wychodzi nam informacja o podejrzeniu dziecka chorego na SMA, to wtedy lekarz diagnosta wysyła maila z zaszyfrowanym badaniem dziecka do ośrodka, na którego terytorium urodziło się to dziecko. Jednocześnie dzwoni do tego doktora albo wysyła SMS, że jest mail i należy takie dziecko zobaczyć i podjąć decyzję.

Dziecko jest wzywane przez lekarza, ma pobieraną krew i wtedy ponownie przychodzi krew do Instytut Matki i Dziecka. Wtedy jest potwierdzone badanie i ta informacja też jest posyłana do lekarza z ośrodka leczącego.

Tutaj jest pokazane, w jaki sposób i w jakim czasie są pobierane próbki na bibuły i jak zachodzi na siebie czas wykonywania badań i rozpoznania u dzieci. Tutaj mamy też informację, że bardzo zmienił się czas w momencie, gdy bibuły dostarczane są kurierami, bo średni czas to 2 dni na dostarczenie bibuły do laboratorium w stosunku do siedmiu, które były wcześniej, gdy szpitale same wysyłały. To też jest sukces ministerstwa, że w 2018 r. zdecydowało się na zmianę sposobu dostarczania bibuły do badań przesiewowych, no bo to, że te dzieci są szybciej rozpoznawane dotyczy nie tylko SMA, ale i wszystkich innych.

A to jest informacja o liczbie wykonanych badań przesiewowych w ciągu ostatnich 20 lat. Informacje te pokrywają się z danymi GUS odnośnie do liczby urodzonych dzieci. My jeszcze mamy dodatkowo zgony w tej bazie. To jest taka informacja, że one się pokrywają i nam te dzieci na dziś nie giną. Dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo za tę prezentację. Kto z państwa, z gości, chciałby teraz zabrać głos? Państwo posłowie, jeżeli pozwolicie, to ja proponuję, żeby nasi goście wzięli udział w dyskusji i przedstawili wyniki swoich badań, żebyśmy mieli później asumpt to dyskusji i zadawania pytań. Bardzo proszę, proszę o przedstawienie się.

**Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego prof. Anna Kostera-Pruszczyk:**

Anna Kostera-Pruszczyk. Ja jestem neurologiem dziecięcym. Kieruję Kliniką Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego i reprezentuję zarówno mój ośrodek, jak i zespół koordynujący leczenie SMA w programie Narodowego Funduszu Zdrowia.

Jeśli chodzi o aktualną sytuację, z punktu widzenia tych informacji, które posiada zespół koordynujący, my włączyliśmy w Polsce do tej pory do leczenia lekiem refundowanym od początku 2019 r. około 750 pacjentów. 55% spośród tych pacjentów to są dzieci. Dzieci z nowymi rozpoznaniem SMA są włączane do leczenia na bieżąco. W tak dobrym tempie – i myślę, że to jest również informacja, która zasługuje na to, żeby wybrzmiała w naszym gronie – wszystkie dzieci z tą wczesną, ostrą postacią SMA1, czyli tam, gdzie rzeczywiście postęp choroby może być mierzony w dniach i tygodniach, są włączane na bieżąco. Najmłodsze dziecko, które otrzymało lek refundowany w Polsce, otrzymało je w 23. godzinie życia. To nie jest pomyłka – w pierwszej dobie. To jest dziecko, które miało postawione rozpoznanie jeszcze przed okresem dostępności badań przesiewowych, w ramach diagnostyki prenatalnej, ponieważ starsze dziecko tych rodziców zmarło na ciężkie SMA.

Jeśli chodzi o leczenie, które jest prowadzone aktualnie – 29 ośrodków, 3 kolejne w trakcie kontraktowania, 16 ośrodków leczących dzieci, 14 leczących dorosłych i 1 – moja klinika – leczący zarówno dzieci, jak i dorosłych. W systemie monitorowania programów terapeutycznych są raportowane informacje dotyczące skuteczności leczenia zgodnie z zapisami programu lekowego Narodowego Funduszu Zdrowia. Do dzisiaj żaden z pacjentów nie został wyłączony z programu z powodu braku skuteczności leczenia, natomiast jest grupa chorych, która przeszła do innych sposobów leczenia, między innymi lekiem doustnym w ramach programu wczesnego dostępu.

Jeżeli chodzi o te trzy terapie rdzeniowego zaniku mięśni – wszystkie trzy o udowodnionej skuteczności – myślę, że należy tu podkreślić, że skuteczność terapii jest największa w przypadku tych dzieci, które otrzymują leczenie przedobjawowo. Dlatego naprawdę ogromnym sukcesem naszych pacjentów i wielkim osiągnięciem naszego kraju jest wprowadzenie programu przesiewu noworodkowego w kierunku SMA.

Mamy trzy terapie zarejestrowane w Europie. Lek, który jest podawany od 2019 r. w ramach refundacji, lek jest podawany drogą dokanałową. Terapia genowa, o której mówił już pan minister Miłkowski, to jest terapia podawana jednorazowo w czasie życia. I kolejny lek, o najkrótszej historii, podawany doustnie, który został zarejestrowany

w Europie w tym roku. Na razie nie jest to lek dostępny w Polsce poza badaniami klinicznymi czy programem wczesnego dostępu. Nie jest to lek refundowany.

Myślę, że warto zwrócić uwagę na to, że przy ogromnym sukcesie, którym jest w tej chwili zarówno diagnostyka, jak i terapia pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni w Polsce, pojawianie się nowych terapii rodzi zrozumiałe oczekiwania ze strony pacjentów, ale również ze strony całego środowiska. Ja mam przed sobą list, który w imieniu Zarządu Głównego Polskiego Towarzystwa Neurologów Dziecięcych skierowała na ręce pana ministra Niedzielskiego pani profesor Mazurkiewicz-Bełdzińska. Ja jestem zastępcą przewodniczącej, ale to pismo było kierowane w konsultacji z całym zarządem jeszcze zanim zapadła decyzja dotycząca terapii genowej. Nie ukrywam, że fakt możliwości jednorazowego podania leku pacjentowi, szczególnie pacjentowi bezobjawowemu – a pojawiły się w ostatnich miesiącach pierwsze wyniki badań klinicznych, jeśli chodzi o leczenie dzieci przedobjawowych właśnie tą terapią genową – jest kolejnym ważnym krokiem, jeśli chodzi o to, co wydarzyło się w medycynie. Te wszystkie informacje, które mamy z badań klinicznych, uzasadniają pewną nadzieję powiązania programu badań przesiewowych z tego rodzaju terapią, która... Oczywiście jej wskazania rejestracyjne są nieco szersze, nie obejmują całej populacji. Tam są kwestie dotyczące masy ciała, liczby kopii genu SMN2, pewnych elementów bardziej precyzyjnych. Generalnie jest to terapia dla małych dzieci. Natomiast rzeczywiście skuteczność terapii jednorazowej w przypadku faktu, że mamy dzieci bardzo sprawnie diagnozowane w programie badań przesiewowych, jest taką opcją, która chciałoby się, żeby stała się dostępna również dla naszych pacjentów. W tej chwili w Polsce – z informacji, które my mamy, ale nie są to informacje rejestrowane w systemie monitorowania programów terapeutycznych, ponieważ nie jest to leczenie fundowane ze środków płatnika publicznego, tylko ze zbiórek, prywatnych funduszy – terapię genową otrzymało 25 dzieci. Z tego, co wiem, były to w zasadzie wyłącznie dzieci już w bardzo zaawansowanym okresie choroby.

Jest jeszcze kwestia terapii doustnej, która jest jeszcze w trakcie badań klinicznych, które toczą się w Polsce. Łącznie z tymi pacjentami w ramach charytatywnego programu, mamy ponad setkę pacjentów, którzy otrzymują lek doustny. To są raczej ci pacjenci, u których, z racji nasilonej skolioz, dokanałowa droga podania leku jest bardzo trudna lub skrajnie trudna.

Podsumowując to moje krótkie wystąpienie, chciałabym powiedzieć, że z jednej strony, jesteśmy wszyscy jako środowisko niezwykle dumni z tego, co już wydarzyło się w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni w Polsce. To była ogromna mobilizacja absolutnie wszystkich, którzy do tego się przyczynili od Ministerstwa Zdrowia, poprzez ośrodki leczące i zespół, który zajmuje się badaniami przesiewowymi. Natomiast kolejne informacje ze świata nauki i medycyny sprawiają, że byłoby bardzo dobrze, gdyby pozostała otwarta pewna ścieżka do dalszych rozważań na ten temat.

### **Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo dziękuję. Kontynuuję swoją opinię, że to są imponującymi wynikami, wielkie osiągnięcie – tak jak pani profesor powiedziała – rzeczywiście dające wielką nadzieję dla wszystkich chorych na SMA. Czy ze strony państwa gości na tym etapie dyskusji ktoś chciałby zabrać głos? Bardzo proszę. Proszę o przedstawienie się.

### **Członek Rady Strategicznej Fundacji SMA Kacper Ruciński:**

Kacper Ruciński, Fundacja SMA. Jestem współzałożycielem Fundacji SMA, która jest do tej pory jedynym ogólnopolskim stowarzyszeniem, a właściwie organizacją zrzeszającą rodziny chorych na SMA borykające się z tą ciężką chorobą. Przypomnę króciutko. SMA jest to choroba, na którą dotychczas umierało bardzo dużo dzieci. Do roku 2016, 2017 znana była jako największy genetyczny zabójca małych dzieci.

Teraz pytanie. Pewnie wielu z państwa, wielu posłów spotkało się z taką narracją, przekazem medialnym, że dzieci chore na SMA w Polsce umierają, że trzeba leczyć je drogim lekiem. Ta narracja nie do końca jest prawdziwa. Tak jak słyszeliśmy, w Polsce jest bardzo dobry program lekowy. Lek jest bardzo skuteczny i dzieci nie umierają. Jesteśmy w czołówce, zdecydowanie powyżej średniej krajów unijnych, jeśli chodzi o leczenie

SMA, a badania przesiewowe rzeczywiście stawiają nas na czele. Natomiast nauka nie zatrzymuje się, wiedza się rozwija, powstają nowe leki.

Lek terapii genowej, o którym mowa, o którym słyszeliśmy dziś od pana ministra, jest jednym z tych leków, które niosą również ogromną nadzieję dla rodzin. Nie jest to nadzieja, że dziecko nie umrze, natomiast lek ten ma ogromną wartość dla małych dzieci, polegającą na tym, że jest przyjmowany raz. Czyli dziecko po diagnozie, zwłaszcza dziecko przedobjawowe, nie staje się pacjentem szpitala, które do końca życia musi jeździć na podanie leku dokanałowe, które nie jest kaszką z mlekiem – to inwazyjny zabieg, który musi być wykonywany do końca życia – ewentualnie przyjmować lek doustny również do końca życia. Jest to terapia o naprawdę ogromnej wartości, która prawdopodobnie działa raz na całe życie. Jeszcze tych danych nie będziemy mieli przez kilkadziesiąt lat, natomiast sam mechanizm działania terapii genowej zapobiega dalszej degeneracji motoneuronów po jednorazowym podaniu. Sugeruje to, że jest to lek jednorazowy do końca życia i nie wymaga przyjmowania potem innych leków.

Dlatego dzisiejsza informacja przekazana przez pana ministra, że terapia genowa nie będzie refundowana w Polsce, jest dla całej polskiej społeczności SMA druzgocąca. Nie spodziewaliśmy się czegoś takiego. Naprawdę z ręką na sercu powiem, nie wygląda na to, że to będą radosne święta dla wielu, wielu rodziców dzieci z SMA. Już w tej chwili mamy sytuację, że rodziny wyjeżdżają do Niemiec, ażeby otrzymać terapię genową. Nie tylko do Niemiec. Ostatnio słyszałem o jeszcze jednym kraju. Nie chcę mówić publicznie, o którym, dlatego żeby te kraje nie wprowadziły obostrzeń, bo terapia jest bardzo droga.

Dlaczego nie doszło do refundacji? Nie wiem. Tego jako organizacja pacjencka nie wiemy. Natomiast było wiele rund negocjacyjnych. Właśnie do finansowania tego typu terapii został powołany Fundusz Medyczny. Były wielokrotne publiczne wystąpienia przedstawicieli władz odpowiedzialnych za zdrowie, przedstawicieli pana prezydenta, pana premiera, różnych ekspertów i generalnie rodzice dzieci z SMA słyszeli – tak, Fundusz Medyczny jest po to, żeby zrefundować między innymi terapię genową. Tak więc to, co się stało... Z jednej strony, wiemy, jak dużo osiągnęliśmy. Z drugiej strony, czy możemy spocząć na laurach. Medycyna się rozwija. To nie jest tak, że możemy cały czas nie wprowadzać kolejnych leków, które są lepsze, wygodniejsze, lepiej spełniają oczekiwania pacjentów.

Tak więc jako fundacja, organizacja pacjencka, będziemy robili wszystko, żeby ta decyzja w miarę możliwości została jeszcze zmieniona. Nie wiem, czy jest taka możliwość prawna, możliwość formalna, ale bardzo liczymy na pomoc państwa. Liczymy na pomoc... Ze środowiskiem medycznym chyba jesteśmy aligned – mówiąc po angielsku – mówimy jednym głosem. Bardzo liczymy na pomoc państwa posłów, żeby dzieci w Polsce mogły naprawdę się ucieszyć na te Święta Bożego Narodzenia. Dziękuję.

### **Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Czy z państwa gości jeszcze ktoś chciałby zabrać głos? Bardzo proszę.

### **Przedstawicielka Kliniki Neurologii WUM dr hab. Maria Jędrzejowska:**

Może jeszcze jedno zdanie. Jestem członkiem Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni, Klinika Neurologii Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego.

Chciałabym powiedzieć, że wczesna diagnoza w SMA, przesiew noworodkowy, oznacza po prostu dramatyczną zmianę rokowania pacjenta. Można powiedzieć, że możemy wręcz uprzedzić chorobę. Wczesne włączenie leczenia może spowodować, że pacjent w ogóle nie będzie miał żadnych objawów choroby rdzeniowego zaniku mięśni.

My też już wiemy z doświadczeń światowych, że to leczenie powinno być wprowadzone maksymalnie wcześnie. Im wcześniej włączymy to leczenie, tym lepsze są efekty. Niestety część pacjentów już zidentyfikowanych w badaniu przesiewowym pewne niewielkie objawy ma, więc nie jesteśmy w stanie zapobiec wszystkiemu, ale wiemy, że musimy walczyć o absolutnie każdy dzień życia takiego dziecka. W związku z tym szukamy też jako eksperci nowych narzędzi, które by nam pomogły w tej walce i w tej wczesnej terapii i maksymalizacji efektów tego leczenia.



Wydaje się, że właśnie taką terapią byłaby terapia genowa. Wiemy, że rysdyplam, który ma fantastyczną drogę podania, doustną, może być z kolei podawany pacjentom od drugiego miesiąca życia, więc on w pewnej perspektywie dla tych pacjentów przedobjawowych nie będzie się nadawał. Zostajemy z lekiem podawanym dokanałowo, w przypadku którego – jak było powiedziane... Każdy z nas wie, jak boi się nakłucia dołędźwiowego. Prawda? Takie dziecko musi mieć takie nakłucie wykonywane kilka razy do roku. Tam robią się zrosty, to wszystko z czasem staje się coraz trudniejsze, więc my musimy iść do przodu, żeby tym dzieciom i pacjentom po prostu pomóc. Dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Ja jeszcze tylko proszę o przedstawienie się. Dostaję informację, że...

**Przedstawicielka Kliniki Neurologii WUM dr hab. Maria Jędrzejowska:**

Maria Jędrzejowska.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję. W takim razie, proszę państwa, oddajmy również głos państwu posłom. Pani poseł Hanna Gill-Piątek. Bardzo proszę.

**Poseł Hanna Gill-Piątek (Polska2050) – spoza składu podkomisji:**

Hanna Gill-Piątek, Polska2050. Szanowni państwo, jest przyspieszenie na sali, to jest obiektywna przesłanka, ale szkoda, że nie ma pana ministra, dlatego że kiedy w tej kadencji wprowadzaliśmy Fundusz Medyczny, to telewizja publiczna pokazywała z lubością przez trzy dni i wałkowała, że to jest koniec zbiórek na najdroższy lek świata, że wreszcie dzieci z SMA będą miały refundację tego najdroższego leku, czyli w domyśle Zolgensmy. Dzisiaj jest półtora roku po uchwaleniu Funduszu Medycznego.

Ja wiem, że te pieniądze nie przepadają, ale wtedy zbiórki stanęły i nie powiedziano ludziom w mediach, że ta sprawa nie jest rozwiązana od ręki, że to jest długa procedura, że w to wchodzi wiele instytucji, opinia AOTMiT itd., że to są negocjacje. Ludzie usłyszeli, że ta sprawa jest załatwiona i zbiórki stanęły.

Teraz znowu są zbiórki. Te zbiórki, które bardzo często wprowadzają w błąd opinię publiczną. I niestety, my jako posłowie, mamy cały czas presję ze strony naszych wyborców – pomóż, pomóż, zbiórka, zbiórka, bo dziecko nie będzie miało pomocy. Otóż, będzie miało pomoc. Wiemy, że jest bardzo dobra terapia lekowa, że w Polsce to jest refundowane i bardzo trudno to ludziom wytłumaczyć. Jednocześnie, jeżeli mamy lek, który właściwie podawany jest jednorazowo, no to idziemy z duchem czasu, ale – jak rozumiem – negocjacje Ministerstwa Zdrowia utknęły w tej chwili w jakimś martwym punkcie. Szkoda, że pana ministra nie ma. Mój punkt też zaraz zaczyna się na sali, bo niestety, wszystko przyspieszyło.

Mam nadzieję, że podkomisja będzie się jeszcze spotykać, żebyśmy się informowali w takim szerokim gronie, jak to wygląda, tym razem już ze spokojną obecnością nas wszystkich, natomiast wydaje mi się to w tej chwili kluczowe, szanowni państwo, bo wokół tych ogromnych zbiórek – przecież to jest 9 mln na jedno dziecko – powstał dosłownie Dzik Zachód. Ci rodzice są czasami wręcz specjalnie poszukiwani. Mamy informacje, że są skłaniani do podawania nieprawidłowych informacji lub niepełnych informacji, żeby tylko zbiórka szła dobrze. No tak, ktoś na tym oczywiście również zarabia, bo portale zbiórkowe też mają swoją prowizję, natomiast wszyscy wiemy, że ucywilizowanie tego w sposób... Państwo jest od tego, żeby prowadzić te negocjacje. To państwo jest od tego, żeby to ucywilizować. To nie może być tak, że po prostu są zbójckie ceny plus do tego koszty zbiórki i płacą za to rodzice, płacimy za to my wszyscy zbierający jako społeczeństwo, a jednocześnie jest ten Fundusz Medyczny, który jest niewykorzystany w tym kawałku, bo to państwo jest od tego, żeby negocjować cenę. Jednak z drugiej strony, kiedy być może Zolgensmę czy terapię genową uda się wynegocjować w korzystny sposób, i te negocjacje, mam nadzieję, dojdą do sensownego skutku, to pamiętajmy, że tego leku nie da się wytworzyć za złotówkę. To jest skomplikowana terapia.

Liczę więc tutaj naprawdę na wyważone stanowisko Ministerstwa Zdrowia i na to, że kiedyś, oprócz tego ogromnego wsparcia, które już w tej chwili dostają dzieci z SMA, oprócz badań przesiewowych, o które walczyliśmy – i też walczyliśmy o budżet na te

badania w zeszłym roku, więc po prostu bardzo się cieszę, że one są – następnym krokiem będzie możliwość wyboru przez lekarzy i ogarnięcie tego nieuregulowanego kawałka rzeczywistości, jakim są te kosmiczne, wyczerpujące rodziców zbiórki. A to jest coś, co jest dla ludzi bardzo ważne.

I chcę to powiedzieć na tej sali, że świadomość tej choroby, akurat SMA, jest w Polsce dzięki temu bardzo duża, natomiast chciałabym, żeby państwo zajęło tutaj swoją właściwą pozycję. To znaczy, żebyśmy nie mieli cały czas tej sytuacji, że rodzice są rozdarci, że cały czas to kręci się tak, jak się kręciło, a nie ma progresu. Chciałabym, żeby ten progres był. Mam nadzieję, że Ministerstwo Zdrowia dopnie te negocjacje. Dziękuję.

#### **Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Zaraz oddam głos panu dyrektorowi Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji w Ministerstwie Zdrowia, na pewno ad vocem, ale ja muszę zrobić kilka uwag do wystąpienia pani poseł. Po pierwsze, tak, na pewno będziemy kontynuowali ten temat. Na dzisiaj był zaplanowany ten temat zanim jeszcze okazało się, że jest dodatkowe, przyspieszone posiedzenie Sejmu właśnie na dzisiaj zaplanowane. Chcieliśmy więc temu tematowi poświęcić więcej czasu, bo rzecz jest warta głębokiego, analitycznego omówienia, bo wątków w ramach tego tematu jest bardzo dużo. Na pewno będziemy kontynuowali w przyszłym roku, ponieważ temat dotyczący wdrażania innowacyjnych leków i terapii lekowych jest przygotowywany na przyszłe półrocze i będzie przedmiotem dyskusji na posiedzeniu naszej podkomisji. To jest pierwsza uwaga.

Druga uwaga jest taka, że nie możemy sobie pozwolić na stwierdzenie, że nie ma progresu, jeżeli chodzi o kwestie związane z terapiami i podejściem do SMA. Właśnie te wcześniejsze... Jest absolutny progres, pani poseł. Tak, oczywiście negocjacje mają to do siebie, że mają łatwiejsze i trudniejsze chwile i właśnie przeżywamy tę trudniejszą z chwil, co nie oznacza, że nie będzie kontynuacji, daj Boże z pozytywnym efektem.

Natomiast to, co wcześniej mówiły panie profesor, doktor i dyrektor, jak wielkie jest to osiągnięcie w Polsce, jeżeli chodzi o kwestie dotyczące badań przesiewowych... No dzięki badaniom przesiewowym możemy te dzieci na bardzo wczesnym etapie wyłapywać, a nawet – pani dyrektor tu mówiła – najszybciej podano dziecku dawkę w 23. godzinie życia. Czyli jest to naprawdę bardzo duże osiągnięcie. I o tych kwestiach warto mówić w oczekiwaniu na jak najlepsze rozwiązania.

Panie dyrektorze, proszę o zabranie głosu. Pan Łukasz Szmulski, bardzo proszę.

#### **Dyrektor Departamentu Polityki Lekowej i Farmacji MZ Łukasz Szmulski:**

Dziękuję uprzejmie, pani poseł. Witam serdecznie wszystkich państwa. Dziękuję za możliwość zabrania głosu.

Szanowni państwo posłowie, szanowni zgromadzeni goście, z perspektywy Ministerstwa Zdrowia stoimy w zasadzie na co dzień przed pewnym wyzwaniem i proszę nam wierzyć, to nie jest tak, że czy to decyzją pana ministra, kierownictwa, czy pracowników, którzy na co dzień z wieloma aspektami polityki lekowej się mierzą, dochodzi do pewnego rodzaju wybiórczości czy uznania, jaki produkt chcielibyśmy refundować, a dla jakiego nie będzie tak zwanego zielonego światła. Z naszej perspektywy zdrowie i życie każdego z nas jest najważniejsze i gdybyśmy tylko mogli, chcielibyśmy objąć refundacją wszystkie leki. Niestety, jak sama pani poseł była uprzejma zauważyć – i do tego stwierdzenia można się odnieść w pełni pozytywnie – w życiu jest tak, że w pewnych sytuacjach, aby osiągnąć konsens, potrzebna jest zgoda obu stron. Gdybyśmy chcieli objąć refundacją wszystkie leki, których producenci zgłaszają się z wnioskami o refundację, to proszę mi wierzyć, że nie tylko centralny budżet refundacyjny, ale w ogóle budżet, jaki w tym momencie ma Narodowy Fundusz Zdrowia, mógłby okazać się niewystarczający, aby sfinansować wszystkie terapie, jakie są możliwe.

Zwracam też państwa uwagę na to – to wielokrotnie publicznie wielu ekspertów podkreślało – że nie ma kraju na świecie, nawet, według wielu, obecnie najbogatszego, jakim są Stany Zjednoczone, który by refundował wszystkie terapie lekowe, jakie tylko są dostępne. Niestety, niektóre z terapii mają absurdalne koszty i dla płatnika publicznego, a również z punktu widzenia finansów publicznych – tak to zostało zapisane w ustawie refundacyjnej, i uważam, że bardzo słusznie – należy poszukiwać drogi, która

będzie godziła interes płatnika publicznego, wnioskodawcy, czyli podmiotu odpowiedzialnego za lek, i pacjenta. Niestety, budżet, jaki mamy na leki, jest wielokrotnie niewystarczający, aby móc obejmować refundacją wszystkie leki i to jest dosyć duże wyzwanie. Jeżeli po stronie wnioskodawcy...

Ja oczywiście nie mogę ujawnić na tę chwilę szczegółów przebiegu negocjacji, oprócz tych, które zostały zaprezentowane ze strony Komisji Ekonomicznej, więc opinia publiczna ma szansę zobaczyć, jakiego rzędu wartości były oferowane wnioskodawcy za refundację tego leku. Natomiast zostawiam to pytanie retorycznym, dlaczego druga strona na takie wartości się nie godzi.

Oferta, która została przedstawiona przez Komisję Ekonomiczną w toku negocjacji i położona już na stole powodowała, że to byłaby jedna z najdroższych terapii finansowanych w Polsce. Nie możemy jako strona publiczna odpowiadać za drugą stronę, której – przepraszam za kolokwializm – apetyty na finansowanie są o wiele wyższe i to nie tylko w Polsce. Zwracam bowiem państwu uwagę na to – taka informacja była i jest dostępna publicznie – że nawet Królestwo Niderlandów nie zgodziło się refundować tego leku po cenie, jakiej zażądał producent. Oczekiwania ze strony królewskiej agencji Niderlandów dotyczyły obniżenia o co najmniej połowę ceny wyjściowej. Ja mam nadzieję, że druga strona zrozumie powagę sytuacji i dostosuje swoją ofertę do możliwości i warunków płatnika publicznego w Polsce, i gdy tylko tak się stanie, to myślę – o czym wspomniał pan Kacper – że radość zagości w wielu domach.

Natomiast najtrudniejszym wyborem, przed jakim stoi na dziś minister, jest to, czy godząc się na płacenie takich cen, jakich żąda koncern farmaceutyczny, zabrać zdrowie lub życie pacjentów w innej chorobie. Na refundację wszystkich leków po cenach, jakich oczekują producenci, zwyczajnie nas nie stać. Trudno bawić się na tym etapie w Boga i powiedzieć: tej grupie dam, a tej zabiorę. Wydaje się więc, że opinia publiczna powinna też zwrócić większą uwagę na oczekiwania koncernów farmaceutycznych, tak aby one zaczęły dostosowywać i urealniać swoje oferty do możliwości płatnika, zwłaszcza w krajach, które do nadrobienia mają dziesięciolecia, jeżeli chodzi o PKB liczone na mieszkańca.

Reasumując, oczywiście bardzo się cieszymy, że możemy pomóc i leczyć chorobę, jaką jest rdzeniowy zanik mięśni. Jesteśmy otwarci na nowe leki. Również kolejny produkt, o którym państwo wspominali, jest już w toku procesu refundacyjnego. Jest w tym momencie na etapie oceny przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, więc mamy nadzieję, że ta ocena dosyć szybko przebiegnie i będziemy mogli przystąpić do kolejnych etapów. Mamy również nadzieję, że firma farmaceutyczna, właściciel produktu Zolgensma, jednak obniży oczekiwania i urealni swoją ofertę do możliwości płatnika publicznego. Na tym etapie to tyle. Dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo, panie dyrektorze.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Ad vocem jeszcze pani poseł. Bardzo proszę.

**Poseł Hanna Gill-Piątek (Polska2050) – spoza składu podkomisji:**

Ja chciałabym tylko podziękować panu dyrektorowi i krótko przeprosić, ale po prostu już muszę „lecieć” na salę plenarną. Rozumiem, pani przewodnicząca, że będą te spotkania kontynuowane...

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Tak, tak...

**Poseł Hanna Gill-Piątek (Polska2050) – spoza składu podkomisji:**

Dziękuję bardzo.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję pani poseł bardzo za obecność. Czy państwo posłowie? Bardzo proszę, pan poseł Patryk Wicher.

### **Poseł Patryk Wicher (PiS):**

Pani przewodnicząca, szanowni państwo, w nawiązaniu do państwa wystąpienia, kilka pytań uszczegółowiających. Ponieważ ten pilotaż, który ma fenomenalne osiągnięcie, jeśli chodzi o wysegregowanie dzieci, które mają to nieszczęście zachorować na SMA... Widzieliśmy mapkę województw objętych pilotażem. Było tam kilka województw, które nie są objęte w pełni wszystkimi jego aspektami. Było też wspomniane, że województwo śląskie dołączy wkrótce. Natomiast jest pytanie, kiedy dołączą województwo małopolskie i pozostałe, tak żeby cała Polska była objęta. Czy jest taki plan ewentualnie, żeby wszystkie województwa weszły, a jeśli tak, to w jakiej perspektywie czasowej?

Drugie pytanie. Było też wspomniane – co opisuje się w literaturze – że z tych państwa badań wychodzi, że jest mniej więcej 1 dziecko na 6,5 tys. do 1 na 7 tys., natomiast była też taka informacja, że państwo bierzecie krew na bibułę, badacie, jeżeli dziecko jest pozytywne, jest zapraszane i drugi raz badane. Jakie jest prawdopodobieństwo – pytam ekspertów – że jakieś dziecko, które przeszło to badanie przesiewowe, może być chore, ale w pierwszym badaniu to nie wyszło? Czy to jest powtarzane ze względu na utrwalenie diagnozy, czy nie? To jest pytanie laika, który chciałby się tylko upewnić? Po co w takim razie powtarza się takie badanie, jeśli jest ono 100-procentowe w pierwszym rzucie?

Następne pytanie. Mamy leczenie dokanałowe, doustne i walczymy o to genetyczne, które tak naprawdę jest rozwiązaniem, nawet nie leczeniem. To w wielu przypadkach może być rozwiązanie tej choroby, jak tu było wspomniane, że te małe istotki już nie będą musiały borykać się z tą chorobą. W związku z tym my też jako posłowie – żeby państwo o tym wiedzieli – niezależnie od opcji politycznej, niezależnie od programów, jesteście oczywiście za. Nasze serca też o tym mówią, ale niestety, jest twarda ekonomia – to, co tutaj wspomniał pan dyrektor, który przecież odpowiada za programy lekowe i wie najlepiej, jak to wygląda. Są pewne rzeczywistości finansowe, z którymi musimy się zderzyć, żeby system był stabilny i sterowny. W związku z tym cena 9 mln – tyle padło tutaj. Pani poseł bodajże użyła takiej kwoty około 9 mln... Aaa, w zbiorce. Czyli powiedzmy, że realnie jest to około 6 mln czy 7 mln..., około 7. To jest ta kwota, która jest negocjowana. Ale ja też, drodzy państwo, jestem przerażony, ponieważ koncerty farmaceutyczne bardzo często korzystają z dotacji państwowych, z dotacji różnych fundacji, na stworzenie nowych technologii, nowych metod badawczych, a później mimo wszystko – oczywiście nie wiemy, jak to było z SMA, ale to jest do sprawdzenia, państwo są może tego bardziej świadomi – bardzo często dają takie zaporowe ceny.

Oczywiście negocjacje trwają. Dziękuję za tę deklarację pana ministra, pana dyrektora, ale my jako posłowie... To znaczy, ja jako poseł mogę deklarować, że też bardzo proszę ministerstwo, żeby kontynuowało te rozmowy. Ja wierzę w sukces, bo jednak mediacje, negocjacje mają to do siebie, że w końcu strony dochodzą do porozumienia, natomiast faktycznie musi to być realne dla budżetu państwa. Mam jednak nadzieję, że tym naszym małym obywatelom, którzy dzisiaj już się urodzili albo za chwilę się urodzą, będziemy w stanie dać taką metodę, która uchroni ich przed skutkami tego wielkiego nieszczęścia.

Ja w swoim życiu, drodzy państwo, też niejedną zbiórkę organizowałem. Też jestem prezesem organizacji pozarządowej. Na różne cele zbieraliśmy. Każdy, kto zebrał chociaż trochę, wie, jak jest to trudne, jak trudno poprosić drugą osobę, jak trudne to jest dla tych rodziców na samym początku, którzy czują się strasznie i borykają się z wątpliwościami wewnętrznymi. Tak jak mówię, nie życzę nikomu, żeby musiał przechodzić taką traumę jak ci rodzice, którzy muszą szukać pomocy dla swojego dziecka. Myślę, że z tym przesłaniem wszyscy tu się zgodzimy i będziemy oczekiwać na sukces negocjacji polskiego rządu z producentem. Tyle, i aż tyle. Dziękuję za możliwość zabrania głosu.

### **Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Kto chciałby odpowiedzieć, odnieść się do tych zapytań? Bardzo proszę.

### **Przedstawicielka Kliniki Neurologii WUM dr hab. Maria Jędrzejowska:**

To drugie pobranie ma na celu ominięcie możliwości pomylenia pacjenta, bo zawsze jest możliwość pomylenia bibuły. W związku z tym, jeżeli my wdramy potem leczenie u pacjenta bezobjawowego, czyli takiego, który jeszcze nie ma objawów choroby,

to musimy być na 100% pewni, że on to SMA ma i że do pomylenia bibuły nie doszło. Z tego wynika konieczność drugiego pobrania. Natomiast w tym naszym algorytmie postępowania jest również zaznaczone, że jeżeli pacjent wykazuje jakiegokolwiek objawy choroby, to pomijamy to drugie... To znaczy, drugie pobranie idzie sobie, natomiast my już od razu wdramy leczenie i leczymy jak najszybciej się da. To odpowiedź na pierwsze pytanie.

Natomiast, na drugie pytanie – nie 100% pacjentów zostanie zidentyfikowanych w przesiewie. Mniej więcej 3% pacjentów ma troszeczkę inny rodzaj mutacji w tym genie odpowiedzialnym za chorobę, który nie jest identyfikowany w badaniu przesiewowym. Jest to mniej więcej do 3%, czyli jeden, maksymalnie dwóch pacjentów rocznie może umknąć temu przesiewowi.

Ja jeszcze ze swojej strony dodam, że jeżeli chodzi o wybór terapii, to my jako eksperci też podkreślamy, że chcielibyśmy po prostu mieć do wyboru różne rodzaje terapii. W zależności od sytuacji klinicznej moglibyśmy manewrować, ale chcielibyśmy leczyć jednym lekiem. My nie oczekujemy od płatnika, że my wszystkie trzy będziemy podawać, tylko dla różnych pacjentów, w zależności od różnych ograniczeń, różne leki będą po prostu najlepsze. I taką możliwość chcielibyśmy mieć. Dziękuję bardzo.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo dziękuję. Bardzo proszę, panie pośle.

**Poseł Patryk Wicher (PiS):**

Jeszcze tylko na pierwsze pytanie: kiedy pozostałe województwa, w kontekście województwa małopolskiego, odnośnie do tej luki na dole, na południu.

**Pełnomocnik dyrektora ds. Programów Lekowych Medycznych i Badań Przesiewowych IMiD Magdalena Wysocka:**

Trochę to zależy od tego, kiedy po prostu dostaniemy pieniądze i zrobimy przetarg, bo nie jesteśmy w stanie wdrożyć wszystkich od razu, ale po kolei jakoś to trzeba robić. Jednak to nie jest tak, że dzieci, u których jest podejrzewane SMA, nie mają diagnostyki, że jeżeli przychodzi noworodek i jest podejrzenie, to mimo że urodził się gdzieś indziej, ma skierowanie neurologa dziecięcego na wykonanie badania.

**Poseł Patryk Wicher (PiS):**

Przepraszam. Tylko że wtedy, jeśli już ma podejrzenie. Nie mówimy wtedy o przesiewie dzieci bezobjawowych. Mówimy już o zwykłej diagnozie lekarskiej czy zwykłej procedurze.

**Pełnomocnik dyrektora ds. Programów Lekowych Medycznych i Badań Przesiewowych IMiD Magdalena Wysocka:**

Tak, ale muszę powiedzieć, że i tak to jest – co widać z pierwszego przeźrocza – najszybciej wprowadzone badanie przesiewowe w Polsce.

**Poseł Patryk Wicher (PiS):**

Dobrze. Bardzo dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Panie dyrektorze, czy pan jeszcze chciałby odnieść się do tych kwestii. Bardzo proszę.

**Dyrektor departamentu MZ Łukasz Szmulski:**

Tak. Dziękuję uprzejmie. Na jeszcze jeden aspekt chciałbym zwrócić uwagę, żebyśmy też wszyscy zdawali sobie sprawę z realnej sytuacji, jeśli chodzi o ten lek, który wywołuje tak gorące dyskusje w ostatnim czasie. Mianowicie, chciałbym, żeby też wszyscy państwo mieli świadomość, że to nie jest tak, jak niestety część opinii publicznej informuje czy jest informowana, że ten lek miałby być skuteczniejszy od leku obecnie refundowanego, albo że to jest lek tak cudowny... Czasami z niektórymi filmikami, które miałem okazję obserwować czy to w środkach masowego przekazu, czy w Internecie, dało się wyciągać wnioski, że dziecko, które w zasadzie – jak można powiedzieć – jest w stanie krytycznym, jeżeli chodzi o tę chorobę, po podaniu tego leku nagle wyzdrowieje.

Ja chciałbym zwrócić uwagę państwa na to, nie oceniając, który z tych leków jest skuteczniejszy, bo nie mam do tego żadnych predyspozycji – myślę, że pewnie pani profesor jest specjalistą w tym zakresie – że nie ma badań porównawczych, tak zwanych head to head pomiędzy oboma lekami. Drugi aspekt jest taki, że Europejska Agencja Leków nie zarejestrowała tego leku terapii genowej na czas nieoznaczony. Z powodu braku pewnych dowodów, których firma nie dostarczyła, mamy po raz drugi rejestrację tylko na rok, więc nie wiadomo, co się wydarzy po tym okresie, czy ten lek zostanie zarejestrowany, czy jednak, jeżeli firma nie dostarczy dowodu, być może w ogóle rejestracji nie będzie. Nie ma więc pewności odnośnie do skuteczności. I niestety – według informacji, do których staraliśmy się dotrzeć – wiele osób, które przyjęły tę terapię genową, wciąż jest na terapiach innymi lekami, więc nie sposób jest ocenić, która z tych terapii de facto jest skuteczna i działa.

Mówię to tylko dlatego, żebyśmy wszyscy mieli świadomość tego, że nie jest do końca tak, jak to jest przedstawiane w mediach, że to jest jakiś cudowny lek, który po podaniu natychmiast powoduje, że dziecko wyzdrowieje. Niestety, w kilku przypadkach lek nie jest tak skuteczny, jak wskazywała na to firma czy moglibyśmy takie informacje uzyskać ze środków masowego przekazu. Dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Ponieważ pan Wiśniewski już się zgłaszał od kilku minut z prośbą o zabranie głosu, pozwolę więc sobie poprosić pana Wiśniewskiego, a następnie panią, jeżeli jest taka możliwość. Pan Wojciech Wiśniewski, przedstawiciel Federacji Przedsiębiorców Polskich, bardzo proszę.

**Ekspert Federacji Przedsiębiorców Polskich Wojciech Wiśniewski:**

Pięknie dziękuję, pani przewodnicząca. Ja chciałbym odnieść się w szczególności do tego, o czym powiedział pan dyrektor i o czym mówił pan poseł.

Przez 3 lata pracowałem w organizacji pomagającej pacjentom onkologicznym. Mieliśmy kilkuset chorych, którym pomagaliśmy zbierać pieniądze na leczenie i nie zazdrościliśmy pracownikom Ministerstwa Zdrowia czy kierownictwu, że musi faktycznie podejmować takie decyzje dotyczące kosztów alternatywnych, bo niestety jedna decyzja często wyklucza inne. Faktycznie jest tak, że zapewne przez wiele lat nie będziemy w stanie nadgonić wszystkich tych zaległości, czego byśmy sobie życzyli, ale też nie jest tak, że nie można nic zrobić.

Przed chwilą sprawdziłem na stronie Kancelarii Sejmu, że ustawa o Funduszu Medycznym została przyjęta, że 440 posłów zgłosowało za. Natomiast w ustawie o Funduszu Medycznym jest art. 8, który dotyczy źródeł finansowania i niestety – co, zakładam, nie było intencją państwa posłów, ale i senatorów, którzy też nie zgłaszali poprawek w tym zakresie – że każdy złoty na Fundusz Medyczny to złoty mniej w dyspozycji Narodowego Funduszu Zdrowia.

Niestety, w prognozie przychodów Narodowego Funduszu Zdrowia na lata 2021–2023 w formie dotacji podmiotowej na finansowanie świadczeń opieki zdrowotnej miało trafić 18 mld zł. Ostatecznie trafiło nieco ponad 2. Co by to oznaczało z punktu widzenia...? To znaczy, ja jestem daleki od tego, żeby stwierdzić, że na lekach kończy się świat i że gdy zrefundujemy wszystko, to poprawimy ogólnie stan zdrowia Polaków, ale chodziło o pewne możliwości, które mamy.

Jeżeli przyjmujemy dystrybucję tych środków między poszczególne kategorie, to ta wartość, o której był uprzejmy wspomnieć pan dyrektor, czyli całkowity budżet na refundację... Gdyby te pieniądze niewykorzystane z Funduszu Medycznego w ubiegłym roku, w tym roku... Sejmowa Komisja Zdrowia opiniowała też projekt ustawy budżetowej na kolejny rok i wiemy, że 2 mld zł w przyszłym roku też nie będą wykorzystane, a na spotkaniu zespołu trójstronnego w zeszłym tygodniu dowiedzieliśmy się, że w 2023 r. prawdopodobnie też nie uda się wykorzystać tych środków z Funduszu Medycznego. Gdyby 8 mld zł z lat 2020, 2021 i 2022 trafiło do Narodowego Funduszu Zdrowia, przyjmując to założenie o dystrybucji pomiędzy poszczególne kategorie wydatków, to do dyspozycji centrali NFZ-u, ale też Departamentu Polityki Lekowej i Farma-

cji byłoby ponad 1 mld zł na finansowanie różnych niezaspokojonych potrzeb polskich pacjentów.

Z tego też powodu, jako Federacja Przedsiębiorców Polskich, wspólnie z organizacjami pacjentów i onkologicznych, i kardiologicznych, zaapelowaliśmy do ministra zdrowia, a dzisiaj zrobimy to też do pana prezydenta, o szybką nowelizację ustawy o Funduszu Medycznym. Mamy pewnego rodzaju przekonanie, że w styczniu taki projekt mógłby się pojawić, aby niewykorzystane środki z Funduszu Medycznego zostały skierowane w formie dotacji do Narodowego Funduszu Zdrowia. Według mojej wiedzy – mogę się mylić – w związku z tym, że Fundusz Medyczny to państwowy fundusz celowy, środki niewykorzystane są na rachunku Banku Gospodarstwa Krajowego albo Narodowego Banku Polskiego i nie wydaje mi się, biorąc pod uwagę, jak wiele jest niezaspokojonych potrzeb, żeby to było odpowiednie miejsce dla tych środków.

Dlatego też, jeżeli mogę uprzejmie poprosić, niezależnie od sprawy związanej z jednym produktem, z drugim czy trzecim, ale biorąc pod uwagę sumę niezaspokojonych potrzeb polskich pacjentów, jeżeli tylko parlament dostanie tę szansę i projekt noweli zostanie przedłożony czy przez rząd, czy przez pana prezydenta, aby jednak zdecydować się, żeby niewykorzystane środki z Funduszu Medycznego zasilały Narodowy Fundusz Zdrowia. Polscy pacjenci potrzebują dostępu do świadczeń i do nowych technologii. Jeżeli taka decyzja nie zostanie podjęta, to podejrzewam, że nie tylko w tej sprawie, którą omawiamy dzisiaj – państwo posłowie też są adresatami apeli wielu innych grup pacjentów – te sytuacje będą się powtarzać. Jeżeli więc tylko możemy coś zrobić – a wydaje mi się, że to jest nisko wiszący owoc, bo te środki są – to podejrzewam, że taka decyzja spotkałaby się nie tylko z pozytywnym odbiorem czy nas, czy organizacji pacjentów, z którymi współdziałamy, ale też opinii publicznej czy obywateli, bo pieniądze z ich podatków trafiłyby na niezaspokojone potrzeby polskich chorych. Pięknie dziękuję.

#### **Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Jeżeli taki projekt wpłynie, to na pewno będziemy go analizowali. Wszyscy posłowie obecni na sali są również członkami Komisji Zdrowia, a więc taki projekt na pewno będzie poddany głębokiej analizie. W końcu celem nas wszystkich jest to, żeby to leczenie było po prostu skuteczne, mimo że oczywiście jest drogie.

Bardzo proszę. I jeszcze raz – przepraszam bardzo – pozwolę sobie poprosić o przedstawienie się.

#### **Kierownik Katedry i Kliniki Neurologii WUM prof. Anna Kostera-Pruszczyk:**

Anna Kostera-Pruszczyk. Ja w nawiązaniu do tego, o czym mówił pan dyrektor. Rzeczywiście z tego, co wydaje się, że wiemy, część dzieci, która otrzymywała terapię genową ze zbiórek, kontynuuje leczenie nusinersenem. W tym momencie warto zwrócić uwagę na fakt, że rdzeniowy zanik mięśni, szczególnie SMA1, czyli ta postać ostra niemowlęca, jest chorobą postępującą i przy przekonujących danych o skuteczności wszystkich tych terapii, które zostały zarejestrowane, żadna z tych terapii nie jest w stanie odwrócić tego wszystkiego, co w zaawansowanym okresie choroby zostało już przez tę chorobę zabrane.

Nie ma w tym momencie przekonujących danych naukowych na uzasadnienie prowadzenia politerapii i wydaje się, że w kontekście tych ogromnych oczekiwań związanych ze skutecznością terapii genowej, ta skuteczność jest największa właśnie w okresie przedobjawowym. Z drugiej strony, w sytuacji, w której lek nie jest finansowany ze środków publicznych, w oczywisty sposób pacjenci mają prawo korzystać z każdej dostępnej ścieżki. A wydaje mi się – ale to również, jak sądzę, jest zgodne z większością dyskusji, które prowadzimy w gronie ekspertów – że optymalne byłoby umożliwienie racjonalnego wyboru terapii, w pewnym sensie uwzględnienie decyzji preferencji, w tym wypadku małych dzieci, rodziców pacjenta. No i oczywiście wszyscy czekamy na wyniki kolejnych badań klinicznych, na przedłużoną obserwację tych dzieci, które zaczęły leczenie objawowo, przedobjawowo. Jednak rzeczywistość tych przekłamań w przestrzeni publicznej, które pojawiły się w związku z prowadzonymi zbiórkami, jest wiele. Nam zależy bardzo na tym, żeby wszyscy nasi pacjenci z SMA optymalnie skorzy-

stali z tych możliwości, które dzisiejsza medycyna oferuje. W Polsce dzieje się już w tej sprawie ogromnie dużo, ale pewnie możemy zrobić jeszcze trochę więcej.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. O głos prosił pan Kacper Ruciński. Bardzo proszę, członek Rady Strategicznej Fundacji SMA.

**Członek Rady Strategicznej Fundacji SMA Kacper Ruciński:**

Dziękuję za przedstawienie. Jeszcze raz powiem do mikrofonu – Kacper Ruciński, członek Rady Strategicznej Fundacji SMA.

Chciałbym odnieść się do słów pana dyrektora. Rzeczywiście jako organizacja pacjencka, oprócz tego, że jesteśmy pacjentami, rodzinami, jesteśmy też obywatelami tego kraju. Również leży nam na sercu to, żeby służba zdrowia była dobrze finansowana i nie tylko pieniądze szły do firm farmaceutycznych. Jeśli państwo pamiętacie, kilka tygodni temu wzięliśmy udział w konferencji prasowej pana ministra i również wypowiedzieliśmy się, dlaczego lek na SMA jest najdroższym lekiem świata. Dlaczego akurat na SMA i dlaczego akurat taka kwota? Natomiast my nie jesteśmy negocjatorami. Padły słowa Holandia, Królestwo Niderlandów. Rzeczywiście Niderlandy zażądały na wejściu obniżenie ceny o połowę, żeby w ogóle usiąść do negocjacji. Do negocjacji usiedli, wynegocjowali. Lek terapii genowej jest refundowany w Holandii. Jest refundowany nawet w Irlandii, która nie chciała nawet zrefundować pierwszego leku, który u nas jest refundowany i do tej pory nie refunduje go u osób dorosłych. Lek terapii genowej jest refundowany w Czechach, na Słowacji, na Węgrzech, w populacji chorych do 2 roku życia albo i starszych, w zależności od wagi. Na Węgrzech są to również starsze dzieci. Jakoś wynegocjowali tę cenę. Nie wiem – 8 mld, 2 mld zł rocznie. Patrząc na to, że do programu terapii genowej kwalifikowałoby się około 30–35 dzieci rocznie, to nie mówimy o 2 mld. Mówimy o procencie tego, 10-procentach, 8-procentach tej kwoty, zakładając oczywiście wyjściową cenę holenderską, nie irlandzką.

Czy rzeczywiście negocjacje są zakończone? Z jednej strony mamy informację, że negocjacje się zakończyły, że decyzja jest negatywna. W związku z tym, zgodnie z ustawą o Funduszu Medycznym, nie ma już możliwości ich kontynuowania. Już jest po „ptokach”, mówiąc kolokwialnie. Z drugiej strony słyszę tutaj, zwłaszcza od pana dyrektora, że firma może składać kolejne oferty, że negocjacje jakby się toczyły. Czy można by to wyjaśnić, na jakim etapie jesteśmy, bo to jest trochę takie...? Nie wiem, jako społeczność...

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Panie dyrektorze, proszę ad vocem.

**Dyrektor departamentu MZ Łukasz Szmulski:**

Dziękuję uprzejmie. Jedna tylko uwaga. Z pewnością pan ma dużo większą wiedzę i doświadczenie, zwłaszcza jeżeli chodzi o Europę, bo zajmuje się pan tym na co dzień. My zajmujemy się wieloma innymi schorzeniami, natomiast pewne rzeczy moglibyśmy doprecyzować, bo akurat rozmawiałem z kolegami z Czech. Tam refundacja nie jest systemowa, tylko tak zwana indywidualna, a to jest różnica, bo nie wszyscy, tylko ewentualnie grupa, która będzie miała to schorzenie. To będą wybrane jednostki, które takie leczenie otrzymają, a nie każdy, tak jak w naszym przypadku obecnie refundowanej terapii. To tak tylko doprecyzowując, że to nie jest tak, że w każdym kraju w Europie, gdzie jest ta refundacja, jest to refundacja systemowa. W wielu krajach jest to refundacja indywidualna, a i tak jest wiele obostrzeń, żeby w ogóle pacjent ten produkt mógł otrzymać i żeby mógł być zrefundowany.

Jeżeli chodzi o ten proces, to został złożony wniosek w tak zwanej procedurze odwoławczej. Dlatego ten etap decyzji wydanej w pierwszej instancji nie jest całkowicie zakończony. Mamy teraz postępowanie drugoinstancyjne i ono jest w toku. Zobaczymy, z jakim efektem. Tak więc, postępowanie nie zakończyło się całkowicie.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo dziękuję. Jeszcze raz pan Kacper Ruciński, bardzo proszę.



### **Członek Rady Strategicznej Fundacji SMA Kacper Ruciński:**

Ja ad vocem. Dziękuję za odpowiedź. Ja też rozmawiałem z kolei z moim kolegą z Czech. Rzeczywiście tam jest tak zwany Named Patient Program, czyli indywidualna decyzja. Wynika to troszeczkę z uwarunkowań czeskiego systemu, gdzie jest kilka ubezpieczalni prywatnych lub półprywatnych działających inaczej niż u nas, więc systemy nie są porównawcze. Natomiast on mówi, że praktycznie każde dziecko, które spełnia kryteria, otrzymuje pozytywną decyzję odnośnie do zastosowania terapii genowej. Spełnia kryteria, czyli spełnia kryteria rejestracyjne leku – kryteria wagowe i kryteria wiekowe. W Czechach jest do dwóch lat. Takie informacje uzyskałem od mojego kolegi z organizacji pacjenckiej w Czechach.

Wciąż jest więc otwarte pytanie, czy nadal toczą się rozmowy. Czy odwołanie, to będzie wyłącznie decyzja z ministerstwa? Odwołanie uznajemy albo nie uznajemy. Czy po prostu jako rodzice dzieci możemy liczyć na dalszy tok tego?

### **Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Proszę kontynuować wymianę zdań. Bardzo proszę.

### **Dyrektor departamentu MZ Łukasz Szmulski:**

Panie Kacprze, zawsze są pewne możliwości. To nie jest tak, że jedna ścieżka, która się zamyka, jest już ścieżką kompletnie zakończoną. Jest wiele możliwości, by ubiegać się o refundację, niekoniecznie z Funduszu Medycznego, można również, jest to otwarte... Natomiast, tak jak powiedziałem – pewnie prawnikom ta terminologia będzie bardziej znana niż osobom z innym wykształceniem – mamy postępowanie drugoinstancyjne. W takim razie decyzja nie jest jeszcze ostateczna. Toczy się to postępowanie, strona ma prawo podnosić kolejne argumenty czy wnosić jakieś dodatkowe dowody w postaci postępowania dowodowego uzupełniającego. Dopóki ta decyzja drugoinstancyjna nie będzie wydana, to sprawa jest w procesie, więc z uwagi na to, że ona się toczy, i z uwagi na uregulowania Kodeksu postępowania administracyjnego, proszę wybaczyć, ale na tym etapie nie mogę więcej szczegółów przekazywać.

### **Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Proszę państwa, wyczerpaliśmy temat, jeżeli chodzi o czas, bo już jest 15 minut po czasie, ale, ponieważ dyskusja jest bardzo interesująca i ważka, bardzo proszę, dwa ostatnie głosy. Proszę o przedstawienie się.

### **Prezes Federacji Pacjentów Polskich Stanisław Maćkowiak:**

Dzień dobry. Witam. Stanisław Maćkowiak, Federacja Pacjentów Polskich, Krajowe Forum na Rzecz Terapii Chorób Rzadkich ORPHAN i również członek Rady Funduszu Medycznego.

Szanowni państwo, na początek chciałbym powiedzieć jedną rzecz, że jeśli chodzi o możliwości farmakoterapii w chorobach rzadkich, to są bardzo, bardzo ograniczone. Według szacunków, około 5% ma możliwości tylko farmakoterapii, więc popatrzmy na wszystkie możliwości, jakie są. Jeśli patrzymy na nasze, polskie warunki, to z tych 5% leków, które są w ogóle dostępne do farmakoterapii, w Polsce jest refundowanych około 30%. Na takim etapie jesteśmy na dziś.

Oczywiście trzeba brać pod uwagę uwarunkowania i to, co wydarzyło się w ostatnich latach, że w ciągu ostatnich trzech lat ten procent wystrzelił, można powiedzieć. Gdyby ta tendencja utrzymała się na tym poziomie, który jest teraz, to od dziesięciu lat weszlibyśmy na poziom refundacji taki, jaki jest w tych krajach, gdzie jest najwięcej refundacji w Europie. Trzeba tylko brać pod uwagę to, że medycyna się rozwija i na tapecie – tak nieładnie mówiąc – jest około 200 następnych leków, które będą refundowane w ciągu następnych dziesięciu lat. Takie są szacunki. W związku z tym mamy co gonić.

Jedną z tych możliwości, która została wytworzona przez parlament z inicjatywy prezydenta, jest Fundusz Medyczny. Szanowni państwo, tam jest jasny przepis. Fundusz Medyczny jest po to, żeby wypełnić lukę, która jest w tym momencie, szczególnie dla tych chorób, które jasno zostały wyszczególnione w tym Funduszu Medycznym – dla chorób onkologicznych i dla chorób rzadkich. Między innymi do tego ten fundusz został stwo-

rzony. I te procedury, które zostały wskazane w tym funduszu, jasno mówią, do czego ten fundusz ma służyć.

Mamy nadzieję, że te środki, które są, dadzą możliwość refundacji, przeznaczenia środków publicznych dla takich terapii, które są możliwe do wykorzystania. Oczywiście trzeba brać pod uwagę, i SMA ma to szczęście w nieszczęściu, że akurat w tej jednostce chorobowej jest wiele leków, które można wykorzystać. Trzeba więc tutaj brać to pod uwagę i patrzeć na refundację Zolgensmy przez ten pryzmat wielu możliwości, ale jeśli już są takie możliwości, to trzeba zrobić wszystko, żeby dać te możliwości dzieciom chorym na te choroby związane z SMA.

Według informacji, która została przekazana na ostatnim posiedzeniu Rady Funduszu Medycznego, o czym wspominał pan dyrektor, proces, jeśli chodzi o sprawy refundacyjne związane z Zolgensmą, nie jest zakończony. Zostało złożone odwołanie od decyzji i jest to w procesie, że tak powiem. Mało tego, pan minister, w mojej ostatniej rozmowie z panem ministrem w tym zakresie, powiedział, że jest umiarkowanym optymistą. My wszyscy jesteśmy umiarkowanymi optymistami i mamy nadzieję, że ta refundacja w końcu się zadzieje.

Jeszcze to, co działa na moją wyobraźnię, to, co mówił pan minister – zarówno to, co powiedział na Forum Ekonomicznym w Karpaczu, jak i potwierdził na konferencji Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego – że tak na dobrą sprawę refundację w chorobach populacyjnych mamy mniej więcej ogarniętą (to słowa pana ministra), a teraz czas na choroby rzadkie. Mamy aktualnie przyjęty Plan dla Chorób Rzadkich. Tam są również rozwiązania, które mówią o tym, w jaki sposób można będzie wspomóc tę część medyczną dla chorych na choroby rzadkie. Między innymi jest mowa o innej formie patrzenia na refundację leków na choroby rzadkie. I następny element, który jest bardzo ważny w tym wszystkim, że środki z Funduszu Medycznego mogą być wykorzystane właśnie w tym kierunku, do realizacji Planu dla Chorób Rzadkich. Takim optymistycznym elementem chciałbym zakończyć to, co chciałem państwu powiedzieć. Bardzo serdecznie dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo dziękuję, panie prezesie. I jeszcze jeden głos z sali. Bardzo proszę.

**Dyrektor w Roche Polska Krzysztof Adamcewicz:**

Pani przewodnicząca, Krzysztof Adamcewicz, Roche Polska, producent rysdyplamu, ale jak rozumiem, z powodu czasowego...

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo proszę.

**Dyrektor w Roche Polska Krzysztof Adamcewicz:**

Chcielibyśmy przedstawić trochę informacji o leku, który był tu wielokrotnie wspomniany. Nie wiem, czy mamy jeszcze 5 minut na przedstawienie, bo myślę, że pewne doniesienia dotyczące tego zarejestrowanego produktu, który – mam nadzieję – będzie dostępny w przyszłym roku dla polskich pacjentów...

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo proszę.

**Dyrektor w Roche Polska Krzysztof Adamcewicz:**

To też wpisze się w ten...

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Tak, mam zaplanowaną państwa prezentację. Bardzo proszę. Pan minister być może do nas dotrze...

**Dyrektor w Roche Polska Krzysztof Adamcewicz:**

Dobrze. To w takim razie postaramy się. Koleżanka Aneta Kawęczyńska-Lasoń przedstawi państwu w telegraficznym skrócie najważniejsze informacje dotyczące tego leku, żeby jeszcze bardziej optymistycznie wyjść z tej Sali, za panem prezesem Maćkowiakiem.

## **Kierownik Działu Medycznego Roche Polska Aneta Kawęczyńska-Lasoń:**

Dobry wieczór. Aneta Kawęczyńska-Lasoń, Dział Medyczny Roche Polska. Tak jak pan dyrektor wspomniał, chciałabym przedstawić, dziękuję za tę możliwość, kilka faktów na temat leku rysdyplam. Tak jak pani profesor Kostera-Pruszczyk wspomniała, lek został zarejestrowany w tym roku przez Europejską Agencję Leków (w marcu 2021 r.) i jest dopuszczony do obrotu u dorosłych z SMA oraz u dzieci powyżej drugiego miesiąca życia, w dwóch grupach. U osób z kliniczną diagnozą SMA1, 2 lub 3 lub z genotypową diagnozą, czyli liczbą kopii genów SMN2 od 1 do 4. Lek ten został zaprojektowany w celu uzupełnienia braku białka SMN, które jest właśnie istotą patogenyzy SMA, zarówno w neuronach, jak i tkankach obwodowych. Rzeczywiście w badaniach klinicznych już po czterech tygodniach po podaniu leku zaobserwowano ponad dwukrotne zwiększenie stężenia białka SMN. Innowacyjna formułacja, o której tutaj wielokrotnie państwo powiedzieli, pozwala na podanie leku doustnie.

Lek jest badany szeroko w czterech bardzo dużych badaniach klinicznych. Te dwa z lewej strony – badanie FIREFISCH u chorych na SMA typ 1 i badanie SUNFISCH u chorych na typ 2 i 3 SMA – już się zakończyły. Dane zostały złożone do EMA i na tej podstawie odbyła się rejestracja. Badanie JEWELFISH toczy się obecnie. Są dostępne dane dwunastomiesięczne, które pokażą na jednym slajdzie. Również toczy się badanie RAINBOWFISH u chorych przedobjawowych, o których dzisiaj tak dużo państwo mówią. Wszystkie te badania toczą się na terenie Polski.

Podsumowując ten program badań klinicznych, są to badania o dużej wiarygodności. Co najważniejsze, uwzględniające zarówno dorosłych chorych, jak i dzieci, i co chciałabym pokreślić, ze skoliozami, po operacjach skoliozy i również po zabiegach fiksacji miednicy, czyli taka prawdziwa populacja chorych pacjentów.

Już nie będę wspominała o tym, czego oczekują rodziny i chorzy na SMA1, bo tutaj mamy na sali samych ekspertów, natomiast chciałabym pokazać, jak wyglądały wyniki rysdyplamu (to jest ten wykres po prawej stronie) u dzieci chorych na SMA typ 1. Lewy wykres pokazuje spodziewane przeżycie chorych w okresie dwóch lat. Jak widzą państwo, ten odsetek dzieci, które przeżywają okres dwóch lat zbliża się właściwie do zera. Po dwóch latach stosowania rysdyplamu (to jest ta niebieska krzywa po prawej stronie) ponad 80% dzieci przeżyło. Dodam, że populacja włączonych dzieci, to były dzieci, które chorowały przynajmniej 4 miesiące. Czyli objawy miały przynajmniej 4 miesiące, więc to nie była populacja wcześniej zdiagnozowana.

Kolejne, bardzo ważne punkty końcowe. Poproszę następny slajd. To jest odsetek dzieci, które zdobyły umiejętność siedzenia. Bez leczenia żadne dziecko nie zdobyło tej umiejętności samodzielnego siedzenia. Po dwóch latach stosowania rysdyplamu w badaniu FIREFISH ponad 60% dzieci zdobyło umiejętność samodzielnego siedzenia.

I dodatkowe wnioski, które chciałabym na jednym slajdzie podsumować, a które są bardzo istotne – ponad 80% dzieci przeżyło i nie musiało być objętych trwałą wentylacją. Blisko 100% dzieci (95%) zachowało zdolność samodzielnego przyjmowania pokarmów, i bardzo ważne, szczególnie teraz, w dobie pandemii, 34% dzieci nie wymagało hospitalizacji. Bezpieczeństwo było zadowalające w opinii badaczy.

Kolejne duże badanie. To jest badanie SUNFISH, czyli badanie u chorych na SMA typ 2 i 3, czyli ten typ o późniejszym początku. Tutaj pierwszorzędnym punktem końcowym była ocena zachowanych funkcji motorycznych, czy właściwie zdobywanych funkcji motorycznych w skali MFM32. Prawy wykres pokazuje, jak wyglądałyby wyniki – i to na podstawie danych historycznych – u populacji nieleczonej, czyli trwały, pogłębiający się spadek funkcji motorycznych. Pomarańczowy wykres, to są wyniki pacjentów otrzymujących rysdyplam przez okres dwóch lat. Jak widzicie państwo, jest stały wzrost wyników. I również bardzo ważne – wspominała też o tym Fundacja SMA – jest zachowana sprawność rąk. Również widzą państwo, że przez okres 24 miesięcy w skali RUMML ta sprawność stale się powiększała, co ma istotne znaczenie dla samodzielności chorych.

I na kolejnym slajdzie, właśnie ta niezależność chorych. W ocenie chorych i ich opiekunów, przyjmowanie leku rysdyplam wiązało się ze stałym wzrostem poczucia niezależności. To było według skali, która określa takie typowe, domowe, codzienne zajęcia, jak ubieranie, czesanie, mycie.

Przejdę bardzo szybko do badań, które się toczą. Badanie JEWELFISH również jest bardzo ważne z perspektywy pacjentów, dlatego że do tego badania włączono chorych otrzymujących wcześniej inne terapie. Było to 76 pacjentów, którzy wcześniej trzymali refundowany w tej chwili lek nusinersen i 14 pacjentów, którzy otrzymali wcześniej terapię genową. W tej chwili zostało podsumowanych 12 miesięcy terapii. Tylko 5% pacjentów przerwało leczenie. Są to bardzo dobre wyniki. I co też ważne (to widać na niebieskim polu) wszystkich 14 pacjentów otrzymujących wcześniej terapię genową również pozostało w badaniu.

I ostatnie badanie, o populacji którego państwo dzisiaj najczęściej mówią, czyli populacji przedobjawowej. Jest to badanie RAIBOWFISH. Na razie mamy analizę 12-miesięczną tylko pięciorga niemowląt, natomiast spodziewane złożenie badania do Europejskiej Agencji Leków jest na początku przyszłego roku. Nie wypada mi używać tutaj przymiotników, ale wyniki są naprawdę bardzo dobre, dlatego że 80% dzieci uzyskało w skali CHP-INTEND wynik ponad 60 pkt.

Następny slajd poproszę. Dzieci zdobywały również kolejne kamienie milowe rozwoju, czyli kontrolę głowy, siedzenie, czołganie się i stanie. 80% pacjentów, czyli czworo dzieci, po 12 miesiącach terapii było w stanie wstać. Tak więc są to wyniki bardzo obiecujące, ale, tak jak wspomniałam, dopiero wstępne. Dziękuję bardzo.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo dziękuję. Panie dyrektorze, czy chciałby pan odnieść się do tej prezentacji. Bardzo proszę.

**Dyrektor departamentu MZ Łukasz Szmulski:**

Dziękuję uprzejmie, pani poseł. Zawsze z radością patrzymy na kolejne opcje terapeutyczne. To jest też to, o czym pani profesor mówiła, bo można powiedzieć trochę parafrazując, że do tanga potrzeba dwojga; ani sam lekarz bez leków nie będzie w stanie nic zrobić, ani same leki bez lekarza. Gdybyśmy cały budżet wydali na leki, a niemiałby kto leczyć i w jakich murach, to też pewnie żadnego efektu w ten sposób nie osiągnęlibyśmy.

Bardzo się cieszę, że pojawiają się kolejne opcje. To jest na pewno co najmniej połowa sukcesu. Mogę tylko zaapelować do przedstawicieli firm, chociaż dowodów na to można znaleźć wiele na obecnej liście refundacyjnej, że jeżeli oferta firmy jest dostosowana do realiów polskiego płatnika, to leki są w wykazie. Akurat o firmie, którą państwo reprezentują, można powiedzieć, że ma dość bogate portfolio i w wielu istotnych jednostkach chorobowych dosyć istotne leki, które ratują zdrowie i życie pacjentów. Jeśli więc uda się nam osiągnąć porozumienie, to pewnie kolejna terapia trafi do polskich pacjentów. Mam nadzieję, że to porozumienie będzie osiągalne. Wrócił pan minister, więc oddaję palnę pierwszeństwa. Dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję, panie dyrektorze. Bardzo dziękujemy, panie ministrze, za powrót do nas. Dyskusja była rzeczywiście bardzo gorąca. Ja tylko tak króciutko podsumuję, jeśli pan minister pozwoli.

Otóż, wszyscy cieszymy się z tych procesów przesiewowych, które sytuują Polskę na takim wysokim poziomie na tle świata. Przede wszystkim jest to wielkie dobro dla pacjentów, natomiast tutaj państwo z Fundacji SMA wyrażali pewien niepokój ze względu na brak refundacji terapii genowej. Pytanie o to, czy jest nadzieja na to, że taka możliwość będzie, czy nie, i jak ministerstwo zapatruje się na tę sprawę. Wspominaliśmy również o dowołaniu, także pan dyrektor...

**Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:**

Tak. Pan dyrektor powiedział, że jest w odwołaniu. To był wniosek w ramach Funduszu Medycznego. Nie chciałbym, żeby wrażenie było takie, że środki finansowe, które są na terapię, technologie lekowe, są wyłącznie przygotowane i przeznaczone na Zolgensmę, na 50 pacjentów rocznie i żadne inne dzieci czy osoby dorosłe już nie mogą się leczyć, bo wyłącznie 50 osób zabierze całkowity budżet. Nie jesteśmy na to gotowi. Zresztą chyba nie było takiego założenia, że to jest ustawa o nazwie Zolgensma. Jednak i firmy oczekiwały, że wejdzie nie tylko jedna firma i nie tylko jedna jednostka chorobowa.

Oczywiście, tak jak mówiłem, my się staramy, ale z drugiej strony ten budżet też nie jest taki duży. Obawiam się więc, że w najbliższym czasie ten budżet zostanie całkowicie rozdysponowany. Ewentualnie w trzecim, czwartym roku, gdy już kolejne terapie będą dużo tańsze, być może, gdy będą kolejne firmy w tym zakresie w terapii genowej, to oczywiście również... Aktualnie wiemy, że państwo mają terapię genową już refundowaną. Pierwszą terapię. Ten producent aktualnie oczekuje w drugim wskazaniu, razem z konkurencją, z inną firmą.

Chcemy inwestować w szczególności w terapię genowe. Uważamy, że to jest ten kierunek, ale też trzeba wiedzieć, że nie można tego traktować tak, że to jest jedyna firma na rynek polski, która może z tego korzystać. Trzeba się dostosować do realiów rynkowych. Nie ma, przynajmniej my nie widzimy, żeby bardzo jasno było udowodnione, że ze względów klinicznych wyłącznie ten lek działa, a pozostałych pacjentów nie należy leczyć. Ewentualnie przesunięcie pacjentów z ośmiuset na czterdziestu to jest dokładnie jedno i to samo, że można zabrać pacjentom, którzy już mają, tylko tym ośmiuset na czterdziestu nowych, i będziemy wszyscy zadowoleni, bo chyba nie tędy droga.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo dziękuję, panie ministrze. Przy tym wyjątkowo trudnym dylemacie, takim ciężkim, pana głos tutaj jest głosem rozsądku i wyważenia. Panie dyrektorze, bardzo proszę, tytułem uzupełnienia.

**Dyrektor departamentu MZ Łukasz Szmulski:**

Dziękuję uprzejmie pani przewodniczącej. Jeszcze tylko na koniec – co prawda, nie jest to przedmiotem dzisiejszego spotkania, natomiast temat niejako został wywołany – jeżeli państwo będą uprzejmi, dosłownie dwa zdania, jeżeli chodzi o Fundusz Medyczny i tę kwotę.

Tak jak pan minister wspomniał, faktycznie tak jest, że ta kwota, przynajmniej dotychczas, jeżeli chodzi o technologie lekowe innowacyjne i o wysokiej wartości klinicznej, została wydatkowana, co poniekąd była uprzejma wspomnieć pani poseł Piątek z uwagi na pewną specyfikę tych postępowań, to w jaki sposób zostały one zaprojektowane. Natomiast proszę zwrócić uwagę na to, że z tej pierwszej listy, którą ministerstwo ogłosiło, jeżeli chodzi o technologie innowacyjne, z pięciu propozycji, które na tak zwanej krótkiej liście przedstawiliśmy, ledwie trzy firmy złożyły oferty. Być może – jak wynika z tego, o czym z panem minister rozmawialiśmy – jeszcze będzie kolejna oferta, czwarta, co nie wyklucza oczywiście tego, że możemy też zastanawiać się, czy tej listy nie uaktualnić o pozostałe leki.

No i mamy oczywiście świeżą listę 11 leków z drugiego subfunduszu i ten budżet, który mogłoby się wydawać, że jest wystarczający, przy tych propozycjach, które się pojawiają na wejściu od firm farmaceutycznych, jest absolutnie niewystarczający. Tych leków nie bylibyśmy w stanie objąć refundacją nawet po cenach, których oczekują firmy. Zobaczymy, jak będzie się kształtowała najbliższa przyszłość, która z firm, jeżeli chodzi o tę drugą listę wysokiej wartości klinicznej złoży leki, ale też, tak jak pan minister powiedział, wydaje się nam, że dosyć szybko możemy ten fundusz rozdysponować i objąć refundacją te leki. Dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Pan minister, bardzo proszę.

**Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:**

Chciałem właśnie jeszcze powiedzieć, że pracujemy nad pewnymi ewentualnymi modyfikacjami, ale oczywiście to zmiana ustawowa, że w przypadku leków, które są na kolejnej liście, zgodnie z aktualnymi przepisami, mają obowiązek wprowadzić jeszcze raz wnioski o refundację i jeszcze raz przejść cały proces, co minimum trwa 6 miesięcy przy sprawnym procedowaniu, żeby cały ten proces, który już został wykonany wcześniej w niektórych firmach, ewentualnie zaliczyć na poczet tej ustawy. No i, tak jak pan dyrektor powiedział, czwarta firma zgłosiła, że ma produkt z tej pierwszej listy, i piąta, z Niemiec, również chce pilnie się spotkać, żeby ustalić, w jaki sposób mogłaby wprowadzić ten lek. Wiemy, że z tej pierwszej listy, tych pozostałych sześciu leków, dwa są w procesie refun-

dacyjnym, tak więc też może pójść. Zatem, tak jak powiedzieliśmy, na pewno w przypadku tych leków, które już są na najbliższe dwa lata, budżet oczekiwań jest wyższy niż możliwości i dlatego myślę, że jednak bardzo szybko ten fundusz zakończymy i pacjenci będą mieli dostęp do potrzebnych terapii.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo dziękuję. Pan Kacper Ruciński, ale ostatnie dwa zdania, jeżeli mogę prosić, bo rzeczywiście przedłużyliśmy dzisiejsze spotkanie.

**Członek Rady Strategicznej Fundacji SMA Kacper Ruciński:**

Dziękuję jeszcze raz. Może jeszcze raz podkreślę w obecności pana ministra, że bardzo cieszymy się z tego, co udało się osiągnąć w Polsce i z tego, że ministerstwo również bierze pod uwagę refundację kolejnych terapii, kolejnej terapii doustnej, natomiast jeszcze raz powiem, że rzeczywiście my nie jesteśmy zwolennikami wysokich cen. Nie chcemy, żeby ceny leków były wysokie, żeby były poza zasięgiem, poza możliwościami, natomiast w Funduszu Medycznym mamy na refundację 700 mln zł, które nie zostały wydane. W żadnym wypadku nie mówiliśmy, że te 700 mln ma pójść na terapię genową Zolgensma. Jeżeli by to jeszcze raz przekalkulować, to nie wiem, czy dobiliśmy do 150 mln licząc po tych cenach holenderskich. Zatem cały czas taka sugestia, żeby mimo wszystko spróbować rozmawiać dalej. Nie wiem...

**Podsekretarz stanu w MZ Maciej Miłkowski:**

Tak, tylko że my tutaj mówimy, że jesteśmy w Polsce, a Holandia na pewno wynegocjowała niższe ceny niż w Polsce jesteśmy w stanie.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Stwierdzam zakończenie omawiania informacji. Bardzo dziękuję panu ministrowi za przygotowanie materiału. Dziękuję wszystkim instytucjom, które zaangażowały się w przygotowanie, po pierwsze, takich dobrych efektów procesów przesiewowych. Dziękuję wszystkim państwu.

Panie ministrze, ja pozwoliłam sobie zaanonsować, że jeżeli będzie potrzeba, to będziemy kontynuowali ten temat w przyszłym półroczu, kiedy będziemy omawiali w ogóle innowacje terapeutyczne lekowe, więc tu jest również otwarta droga do poszerzenia wiadomości w tym zakresie. Być może będziemy mieli nowe informacje dotyczące odwołania. Panie ministrze, pięknie dziękuję. Ponieważ podkomisja będzie miała jeszcze jeden punkt, już taki wewnętrzny, więc oczywiście zachęcam... Jeżeli chcą państwo z nami dalej uczestniczyć, to będzie nam bardzo miło. Będziemy omawiali plan pracy właśnie na przyszły rok. Dziękuję państwu bardzo serdecznie za udział.

Pięć minut przerwy... Trzy minutki, proszę państwa posłów... Cztery, dobrze, i będziemy mogli kontynuować. Ja tylko się pożegnaj.

*Po przerwie*

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Szanowni państwo posłowie, przystępujemy do omówienia i przyjęcia planu pracy podkomisji na okres od 1 stycznia do 30 czerwca 2022 r. Propozycje do planu pracy. Czy państwo posłowie mają propozycje? Bardzo proszę, pan poseł Patryk Wicher.

**Poseł Patryk Wicher (PiS):**

Pani przewodnicząca, jeśli chodzi o plan pracy, ponieważ nasza podkomisja zajmuje się ważkimi tematami dotyczącymi nowoczesnych technologii w różnych aspektach, także w programach lekowych, ja bym prosił, żeby jedno z naszych posiedzeń – bo to są tematy powiązane mniej więcej ze sobą – poświęcić terapii leczenia biologicznego. Między innymi, biologicznemu leczeniu łuszczycy czy schorzeń reumatologicznych. To jest pierwsza propozycja.

A druga, to też poświęcenie chwili na nowoczesność w systemie zarządzania, także w systemie zarządzania danymi o pacjencie, ale i lekowym, czyli hemofilii. Bardzo bym więc prosił o ujęcie tych dwóch tematów. Bardzo dziękuję.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Dziękuję bardzo. Akurat temat hemofilii mamy zaplanowany, czyli rozpatrzenie informacji ministra zdrowia na temat systemu opieki nad pacjentem z hemofilią w dobie epidemii COVID-19. Nie wiem, czy to nie będzie zawężenie...

**Poseł Patryk Wicher (PiS):**

Ja bym proponował, żebyśmy to rozszerzyli w ogóle, w okresie generalnym.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Tak, tak. To ja w takim razie wykreślam ten dopisek „w dobie epidemii COVID-19”.

Oprócz tego mamy rozpatrzenie informacji ministra zdrowia na temat wdrażania innowacyjnych leków i terapii lekowych, o czym rozmawialiśmy wcześniej, i również rozpatrzenie informacji ministra zdrowia na temat perspektyw innowacyjnych technologii medycznych w polskiej kardiologii. I ten temat jest zbieżny z tematem, który nam niestety spadł z tego roku. Co prawda, zaplanowaliśmy go na grudzień tego roku, ale najprawdopodobniej nie uda się to nam ze względu na to, że niektóre tematy są proponowane przez ministra zdrowia. Był to temat dotyczący rozpatrzenia informacji ministra zdrowia na temat kompleksowej opieki nad pacjentami z chorobami sercowo-naczyniowymi, z uwzględnieniem nowoczesnych terapii. On powiela się z propozycją Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego. Czyli na tę chwilę mamy pięć tematów... O przepraszam bardzo. Przepraszam.

**Poseł Patryk Wicher (PiS):**

My razem z panem posłem Tadeuszem Chrzanem chcielibyśmy jeszcze zgłosić propozycję wyjazdowego posiedzenia zainspirowani... Tak, dokładnie, na temat robotyki, też nowoczesnych robotów i urządzeń technologicznych w operacjach – to poprzednie nasze posiedzenie. Ponieważ mówiliśmy o da Vinci, o wykorzystywaniu podobnych technologii, a wiemy, że w Polsce kilka ośrodków je ma, między innymi na Podkarpaciu i w Małopolsce, sugestia jest więc taka, żeby może odwiedzić piękne Podkarpacie i tam podyskutować właśnie na temat tych technologii, ich przyszłości i refinansowania w systemie.

I jeszcze jeden temat, który według mnie jest istotny, wyceny procedur, to też z tym się tak jakby wiąże.

Jeszcze trzeci temat, ostatni. Mówimy o technologiach, ale też mówimy o elektronicznym obiegu dokumentacji medycznej. Cały czas mamy ten problem, że za pacjentem, który idzie do prywatnego gabinetu, a za chwilę idzie do szpitala czy od lekarza do lekarza nawet w ramach funduszu, nie idą dane z poprzedniego miejsca leczenia. Kiedy możemy się spodziewać, żeby Indywidualne Konto Pacjenta przejęło funkcję nośnika danych, informacji o schorzeniach, o lekach, o procedurach, żeby lekarz, który przyjmuje pacjenta, czy to prywatny, czy komercyjnie, czy na fundusz, czy gdziekolwiek by był, mógł czytać tę historię, te dane usystematyzowane w jednym miejscu, a nie – tak jak jest do dzisiaj – żeby pacjenci chodzili czasami z teczką wyników badań ze sobą. Dziękuję bardzo.

**Przewodnicząca poseł Violetta Porowska (PiS):**

Bardzo dziękuję panom posłom. Efektywnie przygotowaliśmy plan pracy. Ja proponuję, żeby z tych tematów, które dzisiaj zostały przedstawione przez panów posłów, tych, które wpłynęły do nas mailem, przygotować po prostu taką propozycję i wysłać do państwa posłów, czy ją akceptują. Tak? Dobrze. Jest sugestia z biura, żebyśmy przyjęli te tematy, które zostały przekazane i zostały przedstawione teraz.

Zatem ja jeszcze raz przypomnę te tematy, żebyśmy to wiedzieli. Rozpatrzenie informacji ministra zdrowia na temat wdrożenia innowacyjnych leków i terapii lekowych – pierwszy temat. Drugi temat – system opieki nad pacjentem z hemofilią, w rozszerzeniu, bez włączania aspektów epidemii COVID. Czwarty temat – terapia leczenia biologicznego, na przykład łuszczycy, reumatologia. Nowoczesność w systemie zarządzania – ale to jest temat, który pokrywa się z wcześniejszym dotyczącym hemofilii, więc bez niego. Elektroniczny obieg dokumentów i wyjazdowe posiedzenie dotyczące przedstawienia kwestii związanych z robotyką w systemie ochrony zdrowia. Jest propozycja, abyśmy

spotkali się w województwie podkarpackim. Zresztą na ostatnim posiedzeniu była tutaj rekomendacja dla państwa ośrodka, więc to naturalne, że tam powinniśmy pojechać.

Dobrze. Rozumiem, że te tematy, które przedstawiłam, zostały przez państwa zaakceptowane. Mamy również taką propozycję, żeby części tematów, to znaczy konkretnie trzech, które nie zostały zrealizowane z różnych powodów na naszym posiedzeniu, nie wrzucać do planu pracy na przyszły rok, przynajmniej na tę chwilę, dlatego że były omawiane na posiedzeniu Komisji Zdrowia. Do nich należy kwestia legislacji dotycząca restrukturyzacji podmiotów leczniczych (dwukrotnie na posiedzeniu Komisji Zdrowia o tym rozmawialiśmy) i problematyka leczenia chorób rzadkich związanych ze stwardnieniem rozsianym. Dzisiaj też zebrał się zespół parlamentarny, więc powielalibyśmy tę tematykę. Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich też był omawiany na posiedzeniu Komisji Zdrowia co najmniej raz w tym roku.

Czy państwo wyrażają zgodę, żeby nie wrzucać tych tematów na przyszły rok? Bardzo dziękuję. Tym samym plan pracy na przyszły rok został przyjęty jednomyślnie... Na pierwsze półroczne.

Szanowni państwo, ta propozycja tematów, którą przedstawiłam przed chwilą i została zaakceptowana, obejmuje pierwsze półroczne, czyli okres od 1 stycznia do 30 czerwca 2022 r. Dziękuję bardzo. Stwierdzam, że podkomisja przyjęła plan pracy na okres od 1 stycznia do 30 czerwca 2022 r. Tym samym wyczerpaliśmy porządek dzienny posiedzenia podkomisji.

Zamykam posiedzenie podkomisji.