



**Choroby rzadkie i ultrarzadkie – dostępność do leczenia w
Polsce na tle Europy
Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich**

SEMINARIUM

22 marca 2016

**Instytut Biocybernetyki i Inżynierii Biomedycznej PAN, przy ul. Trojdena 4
Warszawa**

**Stanisław Maćkowiak
Federacja Pacjentów Polskich**

Oczekiwania pacjenta

- Zaproszenie do dyskusji społecznej
- Dostęp do informacji
- Jasne standardy i procedury
- System komunikowania
- Stałe rzecznictwo pacjenta
- Dostępność usług medycznych i leków
- Pomoc w trudnych sytuacjach
- Profilaktyka i edukacja zdrowotna



Ruch pacjencki wokół problematyki chorób rzadkich

- Poziom krajowy
 - Działania indywidualne stowarzyszeń i fundacji
 - Organizacje parasolowe- Krajowe Forum na Rzecz Terapii Chorób Rzadkich ORPHAN (KF), Federacja Pacjentów Polskich (FPP)
 - Porozumienia organizacji parasolowych - Dialog dla Zdrowia



Ruch pacjencki wokół problematyki chorób rzadkich

- Poziom krajowy
 - Ministerialny Zespół ds. Chorób Rzadkich
 - Ministerstwo Zdrowia
 - Parlamentarny Zespół ds. Chorób Rzadkich
 - Komisja Zdrowia Sejmu RP
- Poziom międzynarodowy
 - Aktywność w EURORDIS
 - Konferencje EUROPLAN



Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich

Dokumenty źródłowe

- **16 grudnia 1999 r.** Rozporządzenie nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady Unii Europejskiej zaznacza, że pacjenci cierpiący na rzadkie stany chorobowe powinni być uprawnieni do takiej samej jakości leczenia jak inni pacjenci.
- **11 listopad 2008 roku.**
Komunikat Komisji Europejskiej do Parlamentu Europejskiego, Rady Unii Europejskiej, Europejskiego Komitetu Ekonomiczno-Społecznego oraz Komitetu Regionów na temat: Rzadkie Choroby, wyzwania stojące przed Europą.
- **8 czerwca 2009. ZALECENIE RADY UE w sprawie działań w dziedzinie rzadkich chorób (2009/C 151/02)**, które zaleca Państwom Członkowskim ustanowienie i realizację planów dotyczących rzadkich chorób w celu zapewnienia pacjentom cierpiącym na rzadkie choroby dostępu do opieki zdrowotnej wysokiej jakości, w tym diagnostyki, leczenia, rehabilitacji osób i dostępu do leków sierocych. Zaleca się przyjęcie europejskiego schematu planu narodowego wypracowanego przez Projekt Europlan wg rekomendacji Komisji Europejskiej.



Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich

Dokumenty źródłowe

Istotne fragmenty

**ZALECENIE RADY w sprawie działań
w dziedzinie rzadkich chorób
(2009/C 151/02)**

z dnia 8 czerwca 2009 r.



Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich

Dokumenty źródłowe

„Niniejszym zaleca Państwu Członkowskim:

Ustanowienie i realizację planów lub strategii dotyczących rzadkich chorób na odpowiednim szczeblu lub przeanalizowanie odpowiednich środków odnoszących się do rzadkich chorób w innych strategiach dotyczących zdrowia publicznego, zmierzając do **zapewnienia pacjentom cierpiącym na rzadkie choroby dostępu do opieki wysokiej jakości, w tym diagnostyki, leczenia, rehabilitacji osób chorych i w miarę możliwości skutecznych leków sierocych**, zaś w szczególności:

- a) jak najszybsze, najlepiej **nie później niż przed końcem 2013 roku**, opracowanie i przyjęcie planu lub strategii, której celem byłoby ukierunkowanie i zorganizowanie stosownych działań w dziedzinie rzadkich chorób w ramach ich systemów zdrowotnych i socjalnych;



Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich

Dokumenty źródłowe

- (b) przedsięwzięcie działań służących **włączeniu obecnych i przyszłych inicjatyw** na poziomie lokalnym, regionalnym i krajowym, do swoich planów w celu przyjęcia kompleksowego podejścia;
- (c) **określenie pewnej liczby działań priorytetowych** w ramach swoich planów wraz z celami tych działań i mechanizmami ich monitorowania;
- (d) **przyjęcie do wiadomości opracowanych wytycznych i zaleceń** dotyczących rozwoju działań krajowych w zakresie rzadkich chorób przez właściwe organy na poziomie krajowym w ramach trwającego europejskiego projektu na rzecz opracowania krajowych planów wobec rzadkich chorób (EUROPLAN) (projekt powstał w ramach pierwszego wspólnotowego programu działań w dziedzinie zdrowia publicznego).



Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich - aktywność Polska

Warszawa, 14 listopada 2008 r.

Manifest Stowarzyszeń Pacjentów i ich Rodzin

MINISTERSTWO
ZDROWIA
KANCLERZ
DR MED.
CZ. DZ. Warszawa
28.11.2008

W celu poprawy opieki nad osobami cierpiącymi na choroby rzadkie i przewlekłe, opierając się na własnych doświadczeniach, postulujemy:

- 1. Reintegrację systemu opieki zdrowotnej**
Choroby rzadkie i sieroce wymagają rozwiązań systemowych i kompleksowej, wielospecjalistycznej opieki medycznej, finansowanej z funduszy publicznych.
Obecny system kontraktowania świadczeń dyskryminuje pacjentów z takimi chorobami.
- 2. Upodmiotowienie pacjenta**
Pacjent jest podmiotem, a nie przypadkiem, albo schorzeniem!
Pacjent jest głównym beneficjentem systemu ochrony zdrowia.
- 3. Zapewnienie bezpieczeństwa zdrowotnego pacjenta**
Pacjent musi mieć dostęp do leczenia, wtedy, kiedy go potrzebuje.
Pacjent musi mieć zapewniony stały dostęp do potrzebnych mu leków i innych form zabezpieczenia farmakologicznego finansowanych z funduszy publicznych.
- 4. Utworzenie Departamentu Matki i Dziecka w MZ.**
Konieczna koordynacja działań MZ w zakresie opieki nad matką i dzieckiem.

Poprawa opieki zdrowotnej nad osobami cierpiącymi na choroby rzadkie i przewlekłe wymaga ścisłej współpracy pacjentów i organizacji pozarządowych ze środowiskiem medycznym oraz decydentami na szczeblu politycznym.

Przedstawiciele środowisk pacjentów powinni być obecni wszędzie tam, gdzie podejmowane są decyzje wpływające na kształt opieki zdrowotnej.



Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich - aktywność Polska

1. Sabina Szafranek - Stowarzyszenie Towarzystwo Dzieci
Stowarzyszenie Pomocy Rodzinom Dzieci Ciężko i nie
skutecznie leczonych chorobami genetycznymi.

Sabina Szafranek
Przesłała

Anna Blum
Dyrektor

2. Andrzej Miśmiński, Stowarzyszenie Pomocy
Chorym z zespołem Turnera

A. Miśmiński

Miódzki Dąbrowski Przesłała Fundacji na rzecz
Dzieci i Młodzieży: Laboratorium Psychologii
"PINDO" w Poznaniu

3. Barbara Miśsińska Główna
Kierująca Komitetem Koordynacji Dzieci na Długo Bezleczalnym

Stowarzyszenie Marian Feliśko
J. Feliśko

Polish Stowarzyszenie Ameryki na Hemofilia

Bożena Gajda

Stowarzyszenie Rodziców Dzieci Niepełnosprawnych "Kosmos"

Zakowicz

Lubelska Fundacja Organizacji Osób Niepełnosprawnych - Departament Edukacji
Hawliczek

1970 Fundacja Pomocy Rodzinom i Chorym na Mukowiscydozę

Renata Wójcikowa Fundacja

prof. Andrzej Miśmiński Instytut Matki i Dziecka

Andrzej

Polish Stowarzyszenie Pomocy Osobom z Zapaleniem
Przebiegiem - Willigso

Marie Wilko

Polish Stowarzyszenie Osób z Celiakią i na Długo
Bezleczalnym Kojarzących Lebellak

Fundacja serca Danka im. D. Redwin-Tonej

Klaepfer

Przedstawiciele rodziców dzieci
dotkniętych meryformacją
meryformacją i meryformacją

Justyna Ciechanowicz - Srebrna
Danka Klubiak-Ulman

Aliza Chybińska Przesłała
Polskiego Towarzystwa Pedagogicznego

Polish Stowarzyszenie Pomocy Chorym
na Fenylketonozę "Ars Vivendi"
01-080 Rawa
ul. Przejaskowa 27



Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich - aktywność Polska

- 21.07.2008 Rozporządzenie MZ w sprawie powołania Zespołu ds. Chorób Rzadkich
- Maj 2010 Konferencja EURORDIS Kraków – 600 uczestników z Europy, w tym ok. 200 z Polski
- 22.10.2010r. Krajowa Konferencja EUROPLAN I Kraków
- 28.02.2011r. Konferencja z okazji Światowego Dnia Chorób Rzadkich z Min. Ewą Kopacz – rozpoczęcie prac nad NPCR
- 2011 Powołanie dyr. Jacka Gralińskiego na Przewodniczącego Zespołu ds. Chorób Rzadkich
- 29.02.2012r. Konferencja z okazji Światowego Dnia Chorób Rzadkich z Min. Bartoszem Arłukowiczem – Deklaracja poparcia prac nad NPCR.
Oficjalne przekazanie rekomendacji Zespołu organizacji pacjentów, profesjonalistów i przemysłu w formie Draftu NPCR.
- Wrzesień 2012 .Cykl warsztatów. 10.09.2012 lider -Prof. Jolanta Sykut-Cegielska, 18.09.2012 lider- Prof. Krystyna Chrzanowska, 19.09.2012 lider -Prof. Małgorzata Krajewska-Walasek, 04.10.2012 lider- Prezes Stanisław Maćkowiak. Cykl warsztatów - szerokiej debaty w obszarach dotyczących chorób rzadkich, spójnej z **EUROPLANEM**, w celu wsparcia będącego w przygotowaniu dokumentu o nazwie Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich.



Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich - aktywność Polska

- 10.10.2012r. Warsztaty w Ministerstwie Zdrowia – podsumowanie prac 4 grup tematycznych profesjonalistów i organizacji pacjentów.
- 28.02.2013r. Konferencja z okazji Światowego Dnia Chorób Rzadkich z ministrem Bartoszem Arłukowiczem – zapewnienie ukończenia i wdrażanie NPCR w roku 2013.
- Maj 2013r. Krajowa Konferencja EUROPLAN II Warszawa (Krajowe Forum na Rzecz Terapii Chorób Rzadkich ORPHAN)
- 28.02.2014r. Konferencja z okazji Światowego Dnia Chorób Rzadkich bez udziału MZ – brak kontynuacji prac nad NPCR
- 28.02.2015r. Konferencja z okazji Światowego Dnia Chorób Rzadkich z Podsekretarzem Stanu w MZ min. Igorem Radziejewicz-Winnickim
- 29.02.2016r. Krajowa Konferencja z okazji Dnia Chorób Rzadkich z Min. Krzysztofem Łandą. **Powołanie ministerialnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich.**



Struktura Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich

- **A. Klasyfikacja i rejestr chorób rzadkich**
 - Klasyfikacja chorób rzadkich;
 - Rejestr chorób rzadkich.

- **B. Diagnostyka chorób rzadkich**
 - Badania przesiewowe;
 - Upowszechnienie testów genetycznych;
 - Poprawa dostępności badań diagnostycznych;
 - Identyfikacja i rozwijanie Ośrodków (Centrów) Referencyjnych

- **C. Kompleksowa opieka zdrowotna dla pacjentów z RD**
 - Poprawa dostępności świadczeń opieki zdrowotnej;
 - Poprawa dostępności terapii lekowych; (egalitaryzm) (polityka lekowa państwa)
 - Poprawa systemu rehabilitacji medycznej.



Struktura Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich

- **D. Zintegrowana pomoc socjalna dla pacjentów z chorobami rzadkimi i ich rodzin**
 - Zintegrowanie współpracy podmiotów publicznych (organów i jednostek opieki społecznej) na rzecz chorych na choroby rzadkie;
 - Zapewnienie ulg i programów socjalnych wyrównujących szanse życiowe pacjentów dotkniętych chorobami rzadkimi i dla ich opiekunów (orzekanie o niepełnosprawności).

- **E. Informacja, nauka i edukacja w zakresie chorób rzadkich**
 - Rozwój i wspieranie badań nad problematyką chorób rzadkich;
 - Podnoszenie kwalifikacji profesjonalnych pracowników ochrony zdrowia;
 - Edukacja społeczna;
 - Upowszechnienie informacji.

- **F. Monitorowanie realizacji planu.**



Ewaluacja Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich

- Ewaluacja strategiczna
 - cel: ocena i analiza realizacji NPCR
- Ewaluacji operacyjna
 - cel: proces monitorowania poszczególnych działów NPCR
- Określenie „Komórki ewaluacyjnej”, zasad i zakresów ewaluacji, przekazywania i upublicznienia wyników ewaluacji, wyciągania wniosków, rekomendacji oraz ich wdrażania w celu udoskonalenia realizacji NPCR



Nadzieja, wizja czy realizm

- Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich

Po głębszej analizie wydaje się, że przyszłościowym problemem dla chorych na RD w Polsce, nie jest brak środków na leczenie, zła wola bądź brak stosownej wiedzy lekarzy specjalistów czy niewydolność systemu ochrony zdrowia, ale **stosowna polityka państwa wobec chorób rzadkich**. Te wszystkie problemy doraźnie, przy dobrej woli można niwelować, ale rozwiązania systemowe wymagają decyzji politycznych

- zdrowie priorytetem państwa,
- zmiana filozofii traktowania chorób rzadkich
- choroba rzadka nie jest chorobą populacyjną – nie może być traktowana w sposób utylitarny
- egalitarne traktowanie chorych na RD - powodujące zrównywanie ludzi w ich prawach i ekonomicznych warunkach życia





Wyzwania – choroby rzadkie.

WOLA POLITYCZNA dla leczenia chorób rzadkich
FILOZOFIA wobec chorób rzadkich
RZETELNOŚĆ w poznaniu chorób rzadkich
DIALOG i OTWARTOŚĆ podczas procesu
decyzyjnego



Badanie GUS 2015

66%

Polaków deklaruje, że Zdrowie
jest dla nich najważniejszą
wartością.



Sentencja na przyszłość

Pomóżmy sobie wzajemnie

Większość rzeczy na tym świecie stworzona została przez ludzi, którzy wytrwali, kiedy zdawało się, że nie ma już nadziei.

Dale Carnegie



Dziękuję za uwagę.

www.federacjapp.pl

biuro@federacjapp.pl

