Stanowisko Rady Przejrzystości nr 145/2026 z dnia 5 października 2026 roku w sprawie zasadności kwalifikacji świadczeń opieki zdrowotnej dot. neurofibromatozy jako świadczeń gwarantowanych

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczeń opieki zdrowotnej:

- *„Koordynowana opieka nad świadczeniobiorcami do 18 r.ż z neurofibromatozami oraz pokrewnymi im rasopatiami (NF/RAS)”,*
- *„Koordynowana opieka nad świadczeniobiorcami > 18 r.ż. z neurofibromatozą typu 1. (NF-1)”*

jako odrębnych świadczeń gwarantowanych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Stanowisko dotyczy zasadności objęcia finansowaniem ze środków publicznych modelu koordynowanej opieki nad pacjentami z neurofibromatozami i pokrewnymi rasopatiami (NF/RAS), obejmującego populację pediatryczną z NF/RAS i populację dorosłych z NF1. Celem proponowanego rozwiązania jest zapewnienie kompleksowej, wielospecjalistycznej i ciągłej opieki dostosowanej do specyfiki tych rzadkich chorób.

Zasadniczy problem decyzyjny sprowadza się do rozstrzygnięcia, czy istnieje potrzeba utworzenia i finansowania odrębnego modelu koordynowanej opieki dedykowanego pacjentom z NF/RAS, czy też potrzeby zdrowotne tej populacji mogą być efektywnie zabezpieczone w ramach obecnie funkcjonujących rozwiązań systemowych, w szczególności w ramach Ośrodków Eksperckich Chorób Rzadkich (OECR).

W ramach proponowanego modelu opieki przewidziano okresowe kontrole i badania diagnostyczne, konsultacje wielospecjalistyczne, poradnictwo genetyczne, porady w trybie pilnym oraz konsultacje telemedyczne.

Istotnym elementem modelu jest również koordynacja procesu diagnostyczno-terapeutycznego, która zgodnie z Kartą Świadczenia Opieki Zdrowotnej miałaby być finansowana w formie miesięcznego ryczałtu przypisanego do ośrodka realizującego świadczenie.

Program pilotażowy koordynowanej opieki nad pacjentami z NF/RAS był realizowany w latach 2020–2026, a udzielanie świadczeń zakończono 30 kwietnia 2026 r. Program realizowało 7 ośrodków koordynujących; objęto nim 2 830 pacjentów, a łączna wartość rozliczonych świadczeń i kosztów koordynacji wyniosła 7,36 mln zł.

W okresie realizacji programu we wszystkich ośrodkach odnotowano wzrost liczby pacjentów objętych opieką w porównaniu z okresem przed przystąpieniem do pilotażu. W analizowanej grupie dorosłych pacjentów po rozpoczęciu programu odnotowano zmniejszenie liczby świadczeń w AOS o 37%, AOS-ASDK o 16% oraz w opiece psychiatrycznej i leczeniu uzależnień oraz pilotażu CZP o 10%. Pacjenci pozytywnie oceniali m.in. dostęp do zespołu posiadającego doświadczenie w NF/RAS i koordynatora oraz uporządkowanie planu leczenia.

Interpretację wyników ograniczają przede wszystkim brak grupy kontrolnej, opisowy charakter części danych, ograniczone dane dotyczące satysfakcji pacjentów oraz brak oceny efektów klinicznych. Wyniki pilotażu pozwalają zatem przede wszystkim na ocenę aspektów organizacyjnych, dostępności i wykorzystania świadczeń, natomiast nie pozwalają na ocenę wpływu modelu na stan zdrowia pacjentów, występowanie lub wczesne wykrywanie powikłań ani jakość życia.

<u>Dowody naukowe:</u>

W badaniu ankietowym (Ju 2025), w którym oceniano doświadczenia i poziom satysfakcji pacjentów z NF1, członków ich rodzin i opiekunów oraz pracowników ochrony zdrowia z funkcjonujących w Wielkiej Brytanii wskazuje, że do najważniejszych zidentyfikowanych problemów należały: brak jasno zdefiniowanej ścieżki opieki, rozproszenie odpowiedzialności pomiędzy poszczególnymi świadczeniodawcami, brak ciągłości opieki w okresie przechodzenia pacjentów z opieki pediatrycznej do opieki nad osobami dorosłymi, a także niewystarczające uwzględnienie ich potrzeb psychologicznych, behawioralnych i edukacyjnych. Dostęp do koordynatora opieki wiązał się z wyższym poziomem satysfakcji z otrzymywanej opieki (71% vs 25%), jednak ze względu na charakter badania nie można wnioskować o zależności przyczynowej.

Wytyczne kliniczne krajowe: PLTR 2024, PTO 2022, PTOHD 2019; międzynarodowe: SOBOPE 2025 (Brazylia), ERN GENTURIS 2023 (Europa), ERN GENTURIS 2022a (Europa), ERN GENTURIS 2022b (Europa), ERN GENTURIS 2021a (Europa), ERN GENTURIS 2021b (Europa), AAP 2019 (USA), ACMG 2018

(USA)) są zgodne co do konieczności zapewnienia pacjentom wielospecjalistycznej opieki prowadzonej z udziałem doświadczonych ośrodków i specjalistów, obejmującej poradnictwo genetyczne, regularne monitorowanie kliniczne i obrazowe oraz wsparcie psychologiczne. Zakres i częstość nadzoru powinny być indywidualizowane w zależności od wieku, fenotypu i obrazu klinicznego pacjenta.

W przypadku NF1 wytyczne wskazują na potrzebę wielospecjalistycznej opieki dostosowanej do wieku i obrazu klinicznego pacjenta. Dzieci powinny pozostawać pod opieką pediatry specjalizującego się w NF1, natomiast dorośli pod opieką lekarza POZ, z okresowymi ocenami przez eksperta NF1. Istotne jest zapewnienie ciągłości opieki w okresie przejścia z opieki pediatrycznej do opieki nad dorosłymi, a pacjenci z powikłaniami, zwłaszcza nowotworowymi, powinni być kierowani do wyspecjalizowanych ośrodków referencyjnych.

Zalecany jest regularny nadzór dostosowany do wieku, obrazu klinicznego i ryzyka powikłań, obejmujący ocenę co najmniej raz w roku u dzieci do 10. r.ż., co 2 lata u starszych dzieci i co 3 lata u dorosłych, częściej w okresie przejścia do opieki nad dorosłymi. PTO 2022 zaleca zwykle kontrole coroczne, a u pacjentów bez wysokiego ryzyka ocenę specjalistyczną co 2–3 lata oraz coroczną kontrolę w POZ. Wytyczne wskazują również na znaczenie poradnictwa genetycznego oraz wsparcia rehabilitacyjnego, edukacyjnego i społecznego.

Wytyczne dotyczące NF2-schwannomatozy (ERN GENTURIS 2021a) oraz schwannomatozy niezwiązanej z NF2 (ERN GENTURIS 2022b) wskazują na potrzebę długoterminowego nadzoru prowadzonego przez doświadczonych specjalistów lub wyspecjalizowane ośrodki referencyjne, regularnego monitorowania z wykorzystaniem MRI (zazwyczaj co 2-3 lata lub częściej w przypadku wskazań klinicznych), poradnictwa genetycznego oraz zapewnienia wsparcia psychologicznego. Nadzór i częstość monitorowania powinny być dostosowane do wieku, genotypu i obrazu klinicznego.

Z przeglądu rozwiązań organizacyjnych w innych krajach wynika, że opieka nad pacjentami z neurofibromatozami jest najczęściej organizowana w ramach systemów opieki nad chorobami rzadkimi i realizowana przez wyspecjalizowane ośrodki eksperckie, zapewniające wielodyscyplinarną, skoordynowaną opiekę oraz regularne monitorowanie powikłań. W większości analizowanych krajów nie zidentyfikowano odrębnych, ogólnokrajowych programów opieki koordynowanej dedykowanych wyłącznie pacjentom z neurofibromatozami. W Anglii zidentyfikowano odrębne świadczenia dla pacjentów z NF1 o złożonym przebiegu oraz NF2, realizowane w ramach świadczeń wysokospecjalistycznych NHS England.

Problem ekonomiczny

Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że w wariancie podstawowym wdrożenie opieki koordynowanej może wiązać się z całkowitymi kosztami na poziomie 4,7 mln zł w 2027 r., 4,9 mln zł w 2028 r. i 5,2 mln zł w 2029 r. oraz z oszczędnościami inkrementalnymi w porównaniu ze scenariuszem istniejącym, wynoszącymi odpowiednio około 582 tys. zł, 1,2 mln zł i 1,9 mln zł. Oszczędności wykazano również w wariancie maksymalnym. Natomiast w wariancie minimalnym oszacowano wzrost kosztów o około: 328 tys. zł w 2027 r., 156 tys. zł w 2028 r., przy niewielkich oszczędnościach na poziomie ok. 35 tys. zł w 2029 r., wynikających przede wszystkim ze stałego kosztu ryczałtów na koordynację przypadającego na niewielką liczbę pacjentów.

Na wyniki analizy największy wpływ mają założenia dotyczące liczebności populacji docelowej, struktura wykorzystania poszczególnych świadczeń oraz liczba ośrodków realizujących świadczenie i wysokość miesięcznego ryczałtu za koordynację. Interpretację oszacowań ogranicza niepewność związana z rzeczywistą liczbą pacjentów spełniających kryteria kwalifikacji oraz zakresem wykorzystania świadczeń po wdrożeniu modelu w skali ogólnokrajowej. Wysokość miesięcznego ryczałtu za koordynację oszacowano na doświadczeniach programu pilotażowego przyjmując miesięczny ryczałt w wysokości 8 436 zł na ośrodek.

Porównanie podmiotów realizujących program pilotażowy opieki koordynowanej nad pacjentami z neurofibromatozami z wykazem Ośrodków Eksperckich Chorób Rzadkich (OECR) wykazało, że pięć z siedmiu ośrodków uczestniczących w pilotażu posiada status OECR. Wskazuje to na częściowe pokrywanie się infrastruktury wykorzystywanej do realizacji programu pilotażowego z istniejącą siecią ośrodków dedykowanych opiece nad osobami z chorobami rzadkimi. Wynik ten sugeruje zasadność uwzględnienia roli OECR w dalszych analizach dotyczących organizacji opieki nad pacjentami z NF/RAS, w tym oceny możliwości wykorzystania funkcjonujących już rozwiązań systemowych. Jednocześnie należy podkreślić, że status OECR nie stanowi samodzielnej przesłanki do realizacji świadczeń przeznaczonych dla pacjentów z NF/RAS, ponieważ nie potwierdza ani doświadczenia ośrodka w zakresie opieki nad tą grupą chorych, ani jego zdolności organizacyjnej do objęcia opieką całej populacji docelowej.

W przypadku wprowadzenia ocenianego świadczenia do wykazu świadczeń gwarantowanych istnieje potencjalne ryzyko częściowego powielania rozwiązań organizacyjnych i podwójnego finansowania świadczeń realizowanych już w ramach innych mechanizmów systemowych, w szczególności dotyczących kompleksowej oceny specjalistycznej, porad monitorujących, koordynacji opieki oraz konsultacji wielospecjalistycznych. Ryzyko to może być szczególnie istotne

w sytuacji, gdy ten sam podmiot będzie jednocześnie posiadał status OECR właściwego dla NF/RAS oraz realizował świadczenie koordynowanej opieki nad pacjentami z neurofibromatozą. Wymaga to uwzględnienia na etapie projektowania warunków finansowania i organizacji świadczenia.

<u>Główne argumenty decyzji</u>

- *Ryzyko częściowego powielania rozwiązań organizacyjnych i podwójnego finansowania świadczeń gwarantowanych z OECR.*
- *Brak odrębnych, ogólnokrajowych programów opieki koordynowanej dedykowanych wyłącznie pacjentom z neurofibromatozami w innych krajach.*
- *Niepewny wpływ na wydatki dla płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: DRiSSOZ.4100.3.2026 „Koordynowana opieka nad świadczeniobiorcami z neurofibromatozami oraz pokrewnymi im rasopatiami (NF/RAS)", data ukończenia: 01.10.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.