



Warszawa, grudzień 2025 r.

Wspólne stanowisko organizacji pacjentów chorujących na miastenię dotyczące rzeczywistego dostępu do terapii, w aspekcie realizacji Planu dla Chorób Rzadkich na lata 2024-2026.

Jako aktywnie działające organizacje pacjentów z miastenią - Stowarzyszenie Miastenia Gravis FACE to FACE, Polskie Stowarzyszenie Chorych na Miastenię Gravis „Gioconda”, Polskie Towarzystwo Chorób Nerwowo-Mięśniowych oraz Stowarzyszenie Osób Dotkniętych Chorobami Nerwowo-Mięśniowymi „Kameleon”, w pełni popieramy założenia Planu dla Chorób Rzadkich na lata 2024-2026, oraz apelujemy o ich jak najszybszą realizację we wszystkich obszarach. Realizacja Planu stwarza realne nadzieje na rzeczywisty dostęp do terapii oraz poprawę opieki nad pacjentami z miastenią w Polsce.

Miastenia jest rzadką chorobą, na którą zachorować można w każdym wieku. Zaburzeniu ulega przekazywanie impulsów z zakończeń nerwowych do mięśni, co prowadzi do osłabienia różnych grup mięśni szkieletowych, nasilającego się w czasie wysiłku. Objawami miastenii są m.in. opadanie powiek, podwójne widzenie, problemy z mówieniem i przełykaniem, mniejsza tolerancja wysiłku fizycznego i inne, w zależności od mięśni ulegających osłabieniu, w skrajnych przypadkach może dojść do zatrzymania oddechu. Chory nie może funkcjonować normalnie i wymaga wsparcia w najprostszych czynnościach, np. w ubraniu się czy umyciu. Polskie dane epidemiologiczne wskazują, że na miastenię aktywną, wymagającą leczenia objawowego choruje ok. dziesięciu tysięcy osób. Ciężkim, zagrażającym życiu stanem choroby jest przełom miasteniczny, którego doświadcza ok. 15-20% pacjentów.

Ponad połowa chorych na miastenię jest w wieku produkcyjnym. Co drugi z nich rezygnuje z pracy zawodowej, a co trzeci w całej populacji pacjentów potrzebuje stałej lub czasowej opieki, którą sprawuje zwykle ktoś z rodziny, zostawiając tym samym swoją pracę zawodową. Roczne koszty zasiłków chorobowych oraz rent dla pacjentów z miastenią wynoszą około 40 mln zł, a koszty związane z absencją w pracy opiekunów chorych na miastenię szacuje się na blisko 80 mln zł. Roczne koszty pośrednie związane z niepełnosprawnością z powodu miastenii szacuje się na ponad 190 mln zł. Dla większości chorych miastenia pozostaje chorobą przewlekłą i wymagającą leczenia. Koszty przeznaczone na leczenie miastenii są blisko 10-krotnie niższe niż koszty społeczne (dane za.....).

Poprawa rokowania i redukcja śmiertelności u pacjentów z miastenią związana jest z postawieniem diagnozy i dostępem do skutecznej terapii, dopasowanej do potrzeb medycznych pacjenta. Pacjenci z miastenią, dzięki zastosowanemu leczeniu mogą funkcjonować normalnie mimo ograniczeń związanych z chorobą, a niektórzy dzięki terapii osiągają stan remisji.

Poniżej przedstawiono postulaty naszego środowiska w procesie realizacji sześciu kluczowych obszarów Planu dla Chorób Rzadkich na lata 2024-2026 w zakresie miastenii.

Obszar I – powołanie Ośrodków Ekspertkich Chorób Rzadkich (OECR) oraz analiza wprowadzonych dla nich produktów rozliczeniowych

Kluczowe, z perspektywy pacjentów z miastenią jest powołanie Ośrodków Ekspertkich Chorób Rzadkich (OECR) oraz analiza wprowadzonych dla nich produktów rozliczeniowych. Obecnie pacjenci z miastenią nie wiedzą, gdzie mogą być skutecznie diagnozowani i leczeni. Bardzo ważne jest cykliczne szkolenie lekarzy i pielęgniarek z zakresu diagnostyki i terapii miastenii. Kluczowa jest również współpraca pomiędzy lekarzami POZ, specjalistami pracującymi w AOS i szpitalnymi ośrodkami klinicznymi.

Jednym z priorytetów w optymalizacji ścieżki pacjenta z miastenią powinno być umożliwienie udzielania konsultacji przez ośrodki wyspecjalizowane w miastenii lekarzom prowadzącym pacjentów z miastenią na co dzień - na poziomie AOS, czy mniejszych szpitali, w tym SOR. Ogromną szansą na rzeczywiste wprowadzenie tego rozwiązania jest opracowywane obecnie przez CEZ narzędzie e-konsylium, umożliwiające przeprowadzanie zdalnych konsultacji medycznych.

Wprowadzenie i upowszechnienie e-konsylium, do konsultacji lekarz-lekarz, to ogromna szansa dla chorych na miastenię. Ze względu na specyfikę i zmienność objawów choroby, leczenie jak najbliżej domu jest kluczowe dla bezpieczeństwa i komfortu pacjentów oraz ich rodzin. Jednocześnie ekspertyza dotycząca terapii miastenii pozostaje skoncentrowana w kilku ośrodkach w Polsce. Ośrodki te, są zlokalizowane w centralnej i południowej Polsce. Zdalne telekonsultacje pozwolą tym ośrodkom zapewniać optymalne, skoordynowane leczenie bez konieczności uciążliwych dla pacjentów podróży do OECR. Takie szerzenie ekspertyzy na linii OECR – AOS/szpitala bliżej domu pacjenta wpisuje się także w koncepcję tzw. odwróconej piramidy świadczeń.

Obszar II – poprawa dostępu do badań diagnostycznych wykorzystywanych w diagnostyce i leczeniu chorób rzadkich

W ponad połowie przypadków chorych diagnoza miastenii została postawiona po długim poszukiwaniu przyczyny. W 44% przypadków zajęło to nie dłużej niż rok, w 37% przypadków odbyło się w czasie od 1 roku do 3 lat, a w 19% przypadków 4 lata i więcej. Co trzecia badana osoba ocenia, że proces diagnozy miastenii był długi i skomplikowany pod kątem liczby badań i wizyt lekarskich. Podstawowym elementem w diagnostyce miastenii jest ocena kliniczna ze szczególnym uwzględnieniem męczliwości mięśni oraz zmienności nasilenia objawów w czasie. U większości chorych z klinicznymi objawami miastenii diagnozę można potwierdzić za pomocą testów serologicznych na obecność swoistych dla tej choroby przeciwciał przeciwko

receptorowi acetylocholin (przeciwciała anty-AChR), przeciwciał przeciwko swoistej dla mięśni kinazie tyrozynowej (przeciwciała anty-MuSK) lub przeciwciał przeciwko białku związanemu z receptorem lipoproteiny o niskiej gęstości 4 (anty-LRP4). U pacjentów seronegatywnych, u których wyniki testów serologicznych nie wykazały obecności swoistych przeciwciał, pomocne w diagnostyce może być wykonanie testów elektrofizjologicznych (elektrofizjologicznej próby miastenicznej lub elektromiografii pojedynczego włókna mięśniowego) oraz testów farmakologicznych. U każdego pacjenta z rozpoznaniem miastenii należy wykonać badanie obrazowe, tomografię komputerową lub rezonans magnetyczny klatki piersiowej, ze względu na możliwość współwystępowania grasiczaka. Dlatego postulowana jest poprawa dostępu do badań diagnostycznych wykorzystywanych w diagnostyce miastenii oraz realizowanie ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej pacjenta z miastenią.

Obszar III – poprawa dostępu do leków i środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego w chorobach rzadkich

Pacjenci z miastenią bardzo doceniają poprawiający się dostęp do leków stosowanych w chorobach rzadkich i fakt, że w ostatnich pięciu latach, co trzecie refundowane częściowo-wskazanie dotyczyło chorób rzadkich.

Pacjenci z miastenią w Polsce oczekują jednak na poprawę rzeczywistego dostępu do leków – szczególnie w ramach programu lekowego B.157. Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastenii (ICD-10: G.70.0). W miastenii występuje potrzeba dostępu do szerokiego wachlarza innowacyjnych terapii o różnych mechanizmach działania, co umożliwi szczególnie istotną w miastenii indywidualizację leczenia. Leczenie objawowe miastenii często jest niewystarczające i wiąże się z występowaniem u pacjentów licznych działań niepożądanych. Dowody kliniczne wskazują, że stosowanie innowacyjnych leków może poprawić stan zdrowia oraz jakość życia pacjentów z miastenią. Terapia tymi lekami, zapewniając lepszą kontrolę choroby, może również obniżyć koszty hospitalizacji i leczenia ratunkowego, a także zmniejszyć bardzo wysokie koszty związane z utratą produktywności pacjentów z miastenią oraz ich opiekunów. Dostęp do innowacyjnych terapii powinni mieć nie tylko pacjenci z najcięższą postacią miastenii (doświadczający przełomów miastenicznych i zaostrzeń, a więc stanów zagrażających życiu i wymagający terapii ratunkowych), ale również pacjenci, u których pomimo stosowania leczenia standardowego nie udaje się kontrolować objawów choroby, co uniemożliwia im normalne funkcjonowanie. W kwietniu 2024 r. Minister Zdrowia zrefundował nowe terapie w miastenii: mykofenolan mofetylu na wykazie otwartym oraz rytuksymab i efgardigimofd alfa w ramach programu lekowego B.157. Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastenii (ICD-10: G.70.0). Od stycznia 2025 roku w programie lekowym B.157 jest refundowany trzeci lek – rawulizumab.

Jednak zgodnie z danymi NFZ do końca czerwca 2025 r. w programie lekowym B.157 objętych leczeniem innowacyjnymi lekami biologicznymi (rawulizumabem oraz efgartigimodem alfa) było ok. 40 pacjentów, podczas gdy populacja spełniająca kryteria do włączenia do programu lekowego szacowana była przez ekspertów na ok. 200-430 pacjentów. Oznacza to, że nowymi terapiami jest leczonych obecnie tylko 10% chorych na uogólnioną postać miastenii, którzy się do nich kwalifikują.

Wynika to z głównych dwóch przyczyn. Po pierwsze, kontrakt NFZ na program lekowy B.157. Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastenii (ICD-10: G.70.0) jest zbyt niski

i nieadekwatny do potrzeb terapeutycznych pacjentów. Zgodnie z naszymi szacunkami, kontrakt z 2025 roku może starczyć na roczną terapię lekami innowacyjnymi zaledwie kilkunastu pacjentów. Liczba ośrodków w Polsce leczących miastenię w ramach programu lekowego w 2025 r. wynosiła 54, ale tylko ok. 20 ośrodków włączyło po paru pacjentów do programu lekowego. Po drugie, kryteria kwalifikacji pacjentów do programu lekowego B.157 wymagają urealnienia i rozszerzenia.

W kwestii urealnienia warto zauważyć, że utrudniony dostęp do innowacyjnych terapii biologicznych w ramach programu lekowego dotyczy nawet pacjentów z najcięższym przebiegiem miastenii (doświadczający przełomów i zaostrzeń, a więc stanów zagrażających życiu i wymagających terapii ratunkowych). Przyczyną są zbyt restrykcyjne kryteria włączenia – w tym bardzo precyzyjnie zdefiniowana wcześniejsza ścieżka leczenia, — które nie odpowiadają realnym sytuacjom najciężej chorujących pacjentów.

W kwestii rozszerzenia - dostęp do innowacyjnych terapii powinni mieć nie tylko pacjenci z najcięższą postacią miastenii, lecz także ci, u których mimo stosowania leczenia standardowego nie udaje się kontrolować objawów choroby, co uniemożliwia im normalne funkcjonowanie. Doświadczają oni dużego obciążenia chorobą oraz jednocześnie powikłań zdrowotnych związanych z długotrwałym leczeniem immunosupresyjnym, zwłaszcza negatywnych skutków przewlekłego stosowania sterydów (m.in. osteoporozy i zwiększonego ryzyka złamań, cukrzycy i zaburzeń metabolicznych, zwiększonej podatności na zakażenia). Problem dotyczy szczególnie osób po 50. roku życia, z chorobami współistniejącymi, których odsetek wśród pacjentów z miastenią stale rośnie.

Zauważamy też, że lekarze nie traktują nas, miastenników, jako pacjentów wymagających w niektórych przypadkach pilnego rozpoczęcia skutecznej terapii. Pozorna kontrola choroby uzyskana dzięki krótko działającemu leczeniu ratunkowemu nie powinna powodować odraczania decyzji o włączeniu terapii biologicznej. Wynika to z faktu, że pacjent pozostaje w ryzyku stanu zagrażającego życiu, mogącego wymagać ponownego, a nawet przewlekłego stosowania terapii ratunkowych. Ponadto u pacjentów z wysoką aktywnością miastenii konsekwencją takiego odroczenia są powikłania zdrowotne związane z długotrwałym leczeniem immunosupresyjnym, zwłaszcza z przewlekłym stosowaniem sterydów (m.in. osteoporoza, cukrzyca, infekcje). Przypominamy, że nieskutecznie leczona miastenia generuje ogromne koszty społeczne — same koszty pośrednie związane z utratą produktywności pacjentów (co drugi chory jest w wieku produkcyjnym) oraz ich opiekunów szacuje się na pół miliarda złotych (ok. 480 mln zł, wg raportu „Liczymy się z miastenią” z 2024 r.). Zastosowanie innowacyjnych leków biologicznych, dzięki lepszej kontroli choroby, może istotnie je ograniczyć, przy zwiększeniu efektów zdrowotnych i utrzymaniu jakości życia chorych.

Zarówno najnowsze wytyczne kliniczne, jak i rekomendacje polskich ekspertów, wskazują na potrzebę udostępnienia kolejnych innowacyjnych terapii zwłaszcza tym chorym na miastenię, dla których standardowe leczenie jest niewystarczające i którzy jednocześnie doświadczają dużego obciążenia chorobą oraz powikłań zdrowotnych związanych z długotrwałym leczeniem objawowym. Lepsza kontrola choroby dzięki nowym terapiom może znacząco obniżyć koszty pośrednie związane z chorobą i przede wszystkim poprawić warunki życia pacjentów w wymiarze osobistym, a także społecznym. Dlatego z nadzieją oczekujemy na dostęp refundacyjny do kolejnych terapii, w tym rozanoliksyzumabu, który otrzymał pozytywna

rekomendację Prezesa AOTMiT w listopadzie 2025 roku. Pacjenci oczekują również na refundację publiczną w Polsce pozostałych zarejestrowanych w Unii Europejskiej terapii, jak zilucoplan i nipocalimab.

Obszar IV – Polski Rejestr Chorób Rzadkich

Polski Rejestr Chorób Rzadkich (PRCR) powinien objąć również pacjentów z miastenią.

Obszar V – Karta Pacjenta z Chorobą Rzadką

Karta Pacjenta z Chorobą Rzadką dla pacjenta z miastenią jest sprawą kluczową. Każdy lekarz i pielęgniarka zajmująca się chorym na miastenię powinni dzięki Karcie wiedzieć, na co choruje pacjent. Dotyczy to szczególnie stanów zagrażających życiu, w których pacjent jest nieprzytomny.

Obszar VI – prowadzenie Platformy Informacyjnej „Choroby Rzadkie” <https://chorobyrazdkie.gov.pl> oraz rozwój i szerzenie wiedzy o chorobach rzadkich

Osoby z miastenią mają kłopot ze znalezieniem wiarygodnej informacji o chorobie, w tym możliwości diagnostyki i terapii. Wprowadzenie Platformy Informacyjnej „Choroby Rzadkie” wspiera rozwój i szerzenie wiedzy o chorobach rzadkich, w tym miastenii. Organizacje pacjentów na swoich stronach internetowych, wydawnictwach oraz konferencjach i seminariach propagują wiedzę na temat diagnostyki, terapii i życia z miastenią. Udzielają wsparcia i budują społeczność pacjentów. Dzięki konferencjom naukowym organizowanym przez towarzystwa naukowe i ośrodki kliniczne wiedza na temat miastenii wzrasta z roku na rok.

Organizacje pacjentów w Polsce współpracują z europejskimi organizacjami pacjentów oraz organizacjami pacjentów w poszczególnych krajach. Pozwala to na porównanie sytuacji pacjentów z miastenią w Polsce z sytuacją pacjentów w innych krajach UE-27. Kluczową różnicą, którą zauważamy, jest gorszy, rzeczywisty dostęp do nowych terapii, który w Polsce dotyczy tylko ułamka pacjentów z uogólnioną postacią miastenii. Jednocześnie z satysfakcją obserwujemy sukces w terapii stwardnienia rozsianego (ok. 60% zdiagnozowanych pacjentów ma dostęp do terapii w ramach programu lekowego B.29) oraz rdzeniowego zaniku mięśni (SMA), gdzie w programie lekowym B.102. FM leczonych jest ponad 1,1 tys. pacjentów trzema nowoczesnymi terapiami. To pokazuje, że w Polsce możemy wspólnie odnosić sukcesy diagnostyczno-terapeutyczne w chorobach neurologicznych.

Organizacje pacjentów z miastenią mają również nadzieję na rzeczywisty dostęp do terapii oraz konstruktywny dialog w procesie optymalizacji opieki nad chorymi na miastenię w Polsce.

Stanowisko podpisały:

Stowarzyszenie Miastenia Gravis FACE to FACE

Polskie Stowarzyszenie Chorych na Miastenię Gravis „Gioconda”

Stowarzyszenie Osób Dotkniętych chorobami Nerwowo-Mięśniowymi „Kameleon”

Polskie Towarzystwo Chorób Nerwowo-Mięśniowych

Bibliografia:

1. Plan dla Chorób Rzadkich na lata 2024-2025 Dostępne: <https://www.gov.pl/web/zdrowie/rada-ministrow-przyjeta-plan-dla-chorob-rzadkich-na-lata-2024-2025>
2. Choroby rzadkie. MZ Dostępne: <https://chorobyrazdkie.gov.pl/pl>
3. Raport pt. Zdrowotne i psychospołeczne aspekty życia osób z miastenią. Sobierajski T. Stowarzyszenie „Gioconda”, KnowPR. 2023 Dostępne: https://www.uw.edu.pl/wp-content/uploads/2023/12/raport-miastenia_2023_web.pdf
4. Raport pt. Miastenia jako problem kliniczny i społeczny. Wyzwania dla optymalizacji opieki nad pacjentem w Polsce. Kostera-Pruszczyk A., Rejdak K., Słowik A., Gierczyński J. Fundacja Zdrowie i Edukacja Ad Meritum. 2023 Dostępne: <https://www.ptchnm.org.pl/wp-content/uploads/2023/06/Raport-Miastenia-jako-problem-kliniczny-i-spoeczny-Wyzwania-dla-optymalizacji-opieki-nad-pacjentem-w-Polsce.pdf>
5. Liczymy się z miastenią. Koszty medyczne, społeczne, systemowe. Wrona-Kutrzepa A., Gołębiewska K., Macioch T., Niewada M., Jakubiak K. (redakcja). Modern Healthcare Institute. 2024 Dostępne: <https://www.ptchnm.org.pl/wp-content/uploads/2024/05/Raport-MIASTENIA.pdf>
6. Raport pt. Audyt Krajowego Forum Orphan. Gierczyński J., Maćkowiak S., Nelken M., Radzińska P. Krajowe Forum Orphan. 2025 Dostępne: https://rzadkiechoroby.org/wp-content/uploads/2025/09/Raport_ORPHAN_paciencki_2025.pdf
7. Neurologia w Polsce. Stan obecny i perspektywy rozwoju. Gierczyński J., Kułakowska A., Rejdak K. Polskie Towarzystwo Neurologiczne. Fundacja Zdrowie i Edukacja Ad Meritum. 2024 Dostępne: <https://ptneuro.pl/aktualnosc/raport-neurologia-w-polsce-stan-obecny-i-perspektywy-rozwoju>
8. Rekomendacja nr 173/2025 z dnia 17 listopada 2025 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Rystiggo (rozanolikszumab) w ramach programu lekowego B.157. „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G.70.0)” https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/147/REK/2025%2011%2017%20Rekomendacja%20173_2025%20Rystiggo%20BIP_REOPTR.pdf
9. Uchwała Rady NFZ Nr 5/2025/V w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za II kwartał 2025, zawierającą m.in. dane o liczbie osób leczonych w programach lekowych: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-52025v,6724.html>