



Wprowadzenie

1. Jak i dlaczego powstała ta książka?

Niniejsza książka, oparta na empirycznych badaniach, dokumentuje genezę organizacji pacjentów w obszarze chorób rzadkich, definiuje ich tożsamość organizacyjną, ewolucję od wspólnoty losu do wspólnoty wiedzy, relacyjny charakter budowania sieci kontaktów w kraju i za granicą, co łącznie określa obszary i wpływy na politykę lekową i zdrowotną państwa. Wzorami pracy są obszerny i unikatowy charakter, oryginalność tematyki oraz potencjalne implikacje praktyczne zarówno w skali kraju, jak i w perspektywie krajów Unii Europejskiej. Praca uzyskała wyjątkowo pozytywne opinie ekspertów nauk o zarządzaniu i nauk o zdrowiu. Zdobyła wyróżnienie Rady Nauki Dyscypliny Wydziału Zarządzania Uniwersytetu Warszawskiego, a co więcej – znalazła się na liście laureatów Nagrody Prezesa Rady Ministrów za rok 2025 w kategorii „wyróżniająca się rozprawa doktorska”.

Łatwo zauważyć obecność organizacji pacjentów (OP) w przestrzeni publicznej w Polsce, jak i na świecie, m.in. doroczny, hucznie obchodzony Dzień Chorób Rzadkich, plakaty i billboardy informujące o zbiórkach finansowych, liczne audycje z udziałem pacjentów z chorobami rzadkimi w prasie, radiu i telewizji. Aktywizacja OP dotyczy nie tylko większej liczby nowo rejestrowanych podmiotów, ale przede wszystkim społeczno-politycznego wpływu na funkcjonowanie ochrony zdrowia we współczesnym świecie. Zaangażowanie OP widoczne jest zarówno w obszarze chorób cywilizacyjnych o dużej częstotliwości występowania, jak i chorób rzadkich charakteryzujących się ograniczoną populacją pacjentów (Huyard, 2012). Definicje chorób rzadkich (chrz) wydają się płynne. Według prawa Unii Europejskiej za chorobę rzadką uznaje się schorzenie występujące u mniej niż u jednej osoby na 20 000 osób, w Polsce zaś schorzenie, które dotyka nie więcej niż 5 na 10 000 osób. Zawsze są to rzadko występujące schorzenia, z reguły uwarunkowane genetycznie, o ciężkim i przewlekłym przebiegu (Gierczyński et al., 2017).

Organizacje pacjentów działające w obszarze chorób rzadkich (OPCHZRZ) oprócz funkcji psychospołecznego wsparcia podejmują aktywności mające na celu zapewnienie chorym dostępu do leku lub terapii umożliwiających powstrzymanie

progresji choroby, złagodzenie jej skutków, poprawę jakości życia oraz – w zależności od choroby – powrót do zdrowia i normalnego życia. Badacze wskazywali, że OPCHRZ angażują się na wszystkich etapach cyklu życia produktu leczniczego i mają wpływ na zmiany systemowe w zakresie poprawy ochrony zdrowia (Gonzato, Gronchi, 2019; Mavris, Le Cam, 2020). W literaturze istniały luki wiedzy określające naturę i zakres wpływów, co stanowiło punkt wyjścia do podjęcia badań. Przez długi czas charyzmatyczna, wolontarystyczna, choć nie zawsze zrozumiała i przejrzysta działalność OPCHRZ budziła spore kontrowersje.

OPCHRZ często stanowiły przedmiot badań nauk o zdrowiu, jednak długo czekały na analizę jako samodzielne jednostki funkcjonujące w warunkach gospodarki wolnorynkowej w perspektywie teorii zarządzania i organizacji. Odniesienie się do podstaw teoretycznych nauk o zarządzaniu pozwoliło na zrozumienie epistemologicznego założenia ich funkcjonowania, poczynając od motywacji członków, przez realizację celów, kończąc na ewaluacji skali ich wpływu społecznego, ekonomicznego i politycznego. Badanie OPCHRZ na gruncie teorii organizacji i zarządzania pozwoliło na zbadanie ich natury i charakterystykę jako podmiotu wolontarystycznego, działającego wedle norm narzuconych przez instytucje regulatorowe, wypełniającego określoną niszę niespełnionych potrzeb w sferach socjalnej i materialnej.

Podjęcie tematu funkcjonowania OPCHRZ i ich miejsca w systemie ochrony zdrowia w odniesieniu do sektora non-profit, którego podzbiór reprezentują, uzasadniał fakt, że ich wolontarystyczna działalność jest powiązana z wrażliwym obszarem, jaki stanowią zdrowie, leki i świadczenia zdrowotne. Wagę tematu uzasadniał także znaczący wpływ aktywności OPCHRZ na budżet płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia, Ministerstwo Zdrowia). Terapia, rehabilitacja, zapomogi socjalne są finansowane z zasobów publicznych, podobnie jak leki stosowane w chorobach rzadkich, których cena wynosi dziesiątki, a czasami setki tysięcy złotych miesięcznie. Biorąc pod uwagę liczebność całej zbiorowości OPCHRZ oraz długoterminowość terapii (z reguły do końca życia), łączne koszty postępowania wymuszają wysokie nakłady finansowe publicznego płatnika, przy dużej niepewności ostatecznych wyników leczenia. Prowadzi to do dylematu między oczekiwaniami pacjentów a niepewnością decyzyjną publicznego płatnika.

2. Luka badawcza

Ontologiczny wymiar powstania grupy wynika z czysto ludzkiej potrzeby poszukiwania wsparcia i zrozumienia w sytuacji życiowego kryzysu. W miarę rozwoju skala i zakres funkcjonowania OPCHRZ stają się coraz bardziej złożone, a interakcje z otoczeniem sięgają sfer administracyjnych i politycznych. Jednak ze względu na niekomercyjną, wolontarystyczną naturę działalności organizacje te rzadko są przedmiotem zainteresowania i kontroli regulatorów, audytorów czy nawet fundatorów.

Piśmiennictwo światowe w dziedzinie nauk społecznych wypadło wyjątkowo ubogo, temat poruszało kilku autorów, m.in. Caroline Huyard i Vololona Rabeharisoa. Skromnie prezentowały się również monografie dotyczące OPCHRZ. Nieliczne doniesienia naukowe, koncentrując się na samopomocowej, opiekuńczej naturze zaangażowania, starają się wyjaśnić zjawisko przez pryzmat teorii nauk o zdrowiu czy antropologii. Brakowało kompleksowych opracowań dotyczących roli i miejsca OPCHRZ na polskim rynku ochrony zdrowia oraz ich realnego wpływu na zmiany systemowe (Piotrowska, 2020). Dostępne były raporty oparte na badaniach (ankietowych) Stowarzyszenia Klon/Jawor całego sektora organizacji pacjentów, bez wyodrębnienia działających w obszarze chorób rzadkich (Charycka, 2017; GUS, 2019). Dowodem słabego rozpoznania empirycznego i niskiej integracji teoretycznej jest brak jednolitej terminologii i prawnej definicji organizacji pacjentów. Równolegle funkcjonują terminy przejęte z języka angielskiego, takie jak: *patient organisation*, *patient advocacy*, *health activism*, czy w szerszym ujęciu: *social activism*. Istniejąca luka wymagała badań umożliwiających usystematyzowanie wiedzy: od inicjatywy założycielskiej po weryfikację aktywności i roli społeczności pacjentów jako niezależnych i samorządnych jednostek. Badania przeprowadzone przez autorkę umożliwiły pozyskanie wiedzy w tym zakresie, z uwzględnieniem specyfiki obszaru chorób rzadkich i ekonomiczno-prawnych ram systemu ochrony zdrowia. Badania stanowią pionierską próbę holistycznego spojrzenia na całokształt aktywizacji pacjentów, określenia ich miejsca i roli jako podmiotu na rynku, włącznie z ustaleniem politycznego zaangażowania i implikacji na politykę lekową i zdrowotną w Polsce. Na podstawie badań niniejsza książka prezentuje obraz funkcjonowania OPCHRZ wraz z powiązaniami i wpływami, co łącznie wpisuje się w hasło partycypacji społecznej, leżącej u podstaw demokratyzacji procesów (Rabeharisoa, Donovan, 2014). Posługując się taką optyką, łatwiej zdiagnozować zachodzące zjawiska i ewolucję OPCHRZ na poziomie zarówno krajowym, jak i międzynarodowym.

3. Badania jako fundament powstania książki

Celem głównym badań było dogłębne poznanie organizacji pacjentów działających w obszarze chorób rzadkich w Polsce i ich międzynarodowych partnerów w Unii Europejskiej. Przyjrzenie się procesom organizowania się podlegającym ewolucji pod wpływem czynników wewnętrznych i zewnętrznych oraz analiza dynamiki zmian z perspektywy teorii zarządzania pozwoliły lepiej zrozumieć przyczyny ich angażowania się w sferę polityki zdrowotnej. Rozważania w kontekście regulacji prawnych, przy uwzględnieniu pobudek społecznych i zdrowotnych, stanowiły punkt wyjścia do analiz OPCHRZ jako podmiotu. Problemy natury zdrowotnej, z jakimi na co dzień borykają się członkowie OPCHRZ, z jednej strony determinują ich motywację, zaangażowanie, afiliację wewnętrzną i zewnętrzną, z drugiej

zaś mogą stanowić wyjaśnienie tendencji do wchodzenia w relacje będące domeną polityki.

Wiele uwagi zostało poświęcone organizacjom sektora non-profit działającym w dziedzinie zdrowia publicznego, jednak wiedza na temat niszy, jaką stanowią OPCHRR, wydaje się szczątkowa, wybiórcza i niepełna. Jedno z ograniczeń to brak odniesienia do unikatowego charakteru obszaru chorób rzadkich. Przykładowo: badanie organizacji pacjentów jako standardowych stowarzyszeń sektora non-profit czy ekstrapolacja danych organizacji pacjentów działających w sferze chorób powszechnych na OPCHRR, bez uwzględniania kontekstu medycznego, populacyjnego i ekonomicznego, mogło tylko zaciemnić obraz. Przeprowadzone badanie zapełniło istotną lukę w zakresie rozpoznania nowego zjawiska, jakie stanowią OPCHRR obserwowane z perspektywy nauki o zarządzaniu i jakości, a nie tylko nauk o zdrowiu.

Wiedza zawarta w książce może pomóc OPCHRR w bardziej świadomym budowaniu strategii, wyborze przywództwa i zarządzaniu swoją jednostką organizacyjną. Przy okazji uświadomi pozostałym podmiotom, np. instytucjom decyzyjnym, producentom leków i wyrobów medycznych, dostawcom usług, ewolucję pozycji pacjenta w ekosystemie ochrony zdrowia. Wskaże rolę i miejsce OPCHRR, co w efekcie pomoże optymalizować permanentnie niewystarczające zasoby publicznego płatnika. Wyniki badania wnoszą istotną wartość dodaną, stanowią bazę, aby lepiej przygotować się do zmian zachodzących w ekosystemie ochrony zdrowia. Po pierwsze, wraz z rozwojem wiedzy medycznej będzie powstawać coraz więcej OPCHRR, a ich zaangażowanie polityczne wzrośnie. Po drugie, działalność OPCHRR, mimo że stanowią one mało liczną populację, istotnie wpływa na budżet ochrony zdrowia i dalsze kierunki zmian systemowych. Po trzecie, wiedza teoretyczna z zakresu zarządzania nie jest powszechna zarówno w OP, jak i po stronie partnerów decyzyjnych.

Dlatego na podstawie dokonanej diagnozy oraz wiedzy teoretycznej można pokusić się o wskazówki w zakresie usprawnienia procesów zarządzania wewnątrz i na zewnątrz organizacji. Ważną konkluzją jest również dbałość OPCHRR o transparentność i neutralność jako podmiotu wolontarystycznego, z założenia obdarzanego większym zaufaniem społecznym niż sfery publiczna czy prywatna.

4. Problem badawczy

Organizacje pacjentów działające w obszarze chorób rzadkich jako nowe zjawisko od dłuższego czasu przyciągają uwagę badaczy. Ich geneza, motywacja założycielska, struktura organizacyjna i prawna, strategia rozwoju i zakres wpływów zaintrygowały autorkę książki, która podjęła próbę holistycznego spojrzenia na aktywności OPCHRR w polskim systemie ochrony zdrowia, a także zrozumienia modelu

organizacyjnego i strategii w kontekście obowiązujących norm prawnych i społecznych. Przy okazji autorka pokusiła się o kategoryzację cech, które definiują OPCHRRZ i odróżniają je od innych organizacji działających w sektorze zdrowia publicznego.

OPCHRRZ – jako jeden z interesariuszy silnie regulowanego rynku ochrony zdrowia – działają w bardzo specyficznym obszarze chorób rzadkich, gdzie mała grupa chorych motywowana depriwacją dąży do uzyskania silnych wpływów społeczno-politycznych, mających poważne implikacje finansowe. Organizowanie się OPCHRRZ odbywa się w kontekście złożonych regulacji normatywnych określających ramy prawne i społeczne sektora non-profit, ale także – jak dowodzi badanie – uwzględnia warunki zakłócenia ciągłości działania, jak na przykład w sytuacji epidemii COVID-19. Badanie miało na celu udzielenie odpowiedzi na następujące pytania:

1. Jakie są determinanty powstawania i rozwoju OPCHRRZ w Polsce?
2. W jaki sposób reguły rynku farmaceutycznego determinują pole działania OPCHRRZ?
3. W jakim zakresie stan zdrowia / choroba stanowi element tożsamości organizacyjnej w organizacjach pacjentów?
4. Jaką rolę odgrywa proces gromadzenia wiedzy? Czy OPCHRRZ można scharakteryzować jako wspólnotę wiedzy?
5. Jaki wpływ ma struktura organizacyjna i prawna na działalność OPCHRRZ?
6. Jaką rolę odgrywa budowanie międzynarodowych struktur i koalicji OPCHRRZ?
7. Dlaczego i w jaki sposób OPCHRRZ angażują się w proces dostępu do produktu leczniczego?
8. Jakie są wpływy polityczne i społeczne OPCHRRZ?
9. Jakie jest miejsce OPCHRRZ w polskim systemie ochrony zdrowia?
10. Czy OPCHRRZ pełnią funkcję moderatora w swoim polu instytucjonalnym, czy adwokata we własnej sprawie?

Punktem wyjścia było ustalenie ram teoretycznych. Umożliwiło to osadzenie rozważań w kontekście teorii nauk o zarządzaniu i jakości. Odniesienie do ram regulujących OPCHRRZ pozwala ukazać je jako unikatowy podzbiór sektora non-profit funkcjonującego w sektorze zdrowia.

Odpowiedzi na zaprezentowane pytania poszukiwano w całym długoletnim procesie badań. Szczególnie cenne okazało się poznanie bezpośrednich doświadczeń i refleksji osób reprezentujących OPCHRRZ, które ciężka choroba zmobilizowała do założenia grupy wsparcia i dalej budowania strategicznego działania. Na podstawie wieloetapowego procesu zostały stworzone obraz OPCHRRZ oraz strategia działania i realizacji celów w warunkach systemu ochrony zdrowia w Polsce i Unii Europejskiej, poddano też weryfikacji zaangażowanie i wpływy na dostęp do leczenia i politykę lekową państwa w obszarze chorób rzadkich i leków sierocych. W ten sposób powstał fundament wiedzy przydatnej przy rozstrzyganiu ważnych społecznie kwestii, takich jak:

1. Czy aktywność grupowa jest konieczna, aby pacjenci z chorobami rzadkimi uzyskali dostęp do leczenia?
2. Czy zaangażowanie OPCHRZ wynika z walki o „wspólne dobro”, czy jest zewnętrzną manipulacją?
3. Czy aktywność grupowa stanowi ogniwo partycypacji społecznej, czy odpowiedź na deficyt demokracji?

Pozyskana wiedza daje całościowy obraz ruchów grup społecznych tworzonych i zarządzanych przez samych pacjentów, w literaturze światowej określanych mianem *health activism* (Rabeharisoa, Donovan, 2014), w trudnym i specyficznym dla ochrony zdrowia obszarze, jaki stanowią choroby rzadkie.