



Streszczenie

W ostatnich 20 latach obserwujemy aktywizację organizacji pacjentów działających w obszarze chorób rzadkich (OPCHRR) zarówno w Polsce, jak i na świecie. Konstatacja ta odnosi się nie tylko do rosnącej liczby, ale głównie do ich polityczno-społecznego zaangażowania i skali wpływów na system ochrony zdrowia. ChOROBY rzadkie (CHRR) należą do tej sfery medycyny, gdzie mimo stałego postępu występują nadal niespełnione potrzeby pacjentów. Niewielka populacja chorych wynikająca z rzadkości chorób i wysokie nakłady finansowe na terapie jednostkowe stanowią ogromne wyzwanie dla publicznego płatnika, który z założenia ma zapewniać równy dostęp do świadczeń wszystkim chorym.

Autorka dokonuje pogłębionej analizy OPCHRR na gruncie teorii zarządzania z uwzględnieniem kontekstu społecznego, organizacyjnego i zdrowotnego. W ramach rozważań teoretycznych identyfikuje trzy teorie dopasowane do problematyki: kolektywnego działania, zawodności kontraktów, izomorfizmu neoinstytucjonalnego.

Diagnoza badawcza została postawiona na drodze badań jakościowych oraz zweryfikowana w ujęciu teoretycznym na podstawie dotychczasowego dorobku naukowego z uwzględnieniem norm regulacyjnych. Zasadniczy materiał pochodzi z wywiadów z przedstawicielami 18 OPCHRR w Polsce i dwóch międzynarodowych grup patronackich, uzupełnionych analizą materiałów publikowanych przez OPCHRR i instytucje regulatorowe. Wiele cennych introspekcji autorka zebrała podczas trzyletnich obserwacji nieuczestniczących.

Badanie pozwala konstruować następujące wnioski. OPCHRR stanowią wspólnotę emocjonalną, której kluczową cechą jest homogeniczność niedużej grupy złożonej z chorych i opiekunów, co zapewnia bezpośrednią styczność z potrzebami całej społeczności. Dzięki temu dochodzi do systematycznej i planowej akumulacji wiedzy w wąskim, ale unikatowym zakresie. Strukturalizacja OPCHRR jako wspólnoty losu leży u podstaw częstszego powstawania OPCHRR homogenicznych (reprezentujących jedną chorobę rzadką) kosztem zanikania grup heterogenicznych. Jednakowy typ schorzenia oraz podobna sytuacja życiowa i emocjonalna natura relacji sprawiają, że grupa tworzy wspólnotę losu, opartą na zaufaniu, zrozumieniu i wiarogodności członków.

Organizacje pacjentów z chorobami rzadkimi zarządzają wielokierunkowymi procesami gromadzenia, wymiany i dyfuzji wiedzy w obszarze chorób rzadkich. Idea akumulacji wiedzy aktywizuje wspólnotę do szukania nowych partnerów i różnorodnych dróg rozwoju, gdzie jest ona wysoko ceniona. Wiedza personalna i wiedza naukowa z jednej strony umacniają wspólnotowość, z drugiej – służą tworzeniu kontekstu informacyjnego umożliwiającego zaangażowanie polityczne (asymetria informacji). Wiedza stanowi dobro wspólne i jednocześnie narzędzie do realizacji celu, bo wiedza daje siłę i władzę. Niemal całkowita reprezentatywność społeczności chorych stanowi niepowtarzalną cechę, wyróżniającą OPCHRZ na tle organizacji non-profit w ochronie zdrowia. Homogeniczność tworzy fundament aliansów w kraju i za granicą, a następnie – internacjonalizacji działań. Taki mechanizm skutkuje mimetyzmem OPCHRZ (*spill-over effect*), które kopiuje wzorce ideologiczne i normatywne od swoich zagranicznych partnerów.

Nierówny dostęp do zasobów publicznych mobilizuje OPCHRZ do walki o swoje prawa, stanowiąc silniejszy bodziec niż obawa o nierówne traktowanie (asymetria władzy). Można konstatować, że OPCHRZ wyposażone w wiedzę występują w roli mediatora w „negocjacyjnym trójkącie” (regulator, producent leku, pacjenci). Jako podmiot woluntarystyczny, nieuczestniczący w dystrybucji zysków ze sprzedaży leku, cieszą się większym zaufaniem społecznym. Tak silna legitymacja zmniejsza ryzyko decyzyjne pozostałych interesariuszy: producenta leku i regulatora.

OPCHRZ budują relacje z otoczeniem instytucjonalnym i społecznym, wpływają na format i kierunek zmian w obszarze chorób rzadkich. Kładą nacisk na podmiotowość pacjenta i podnoszenie standardów opieki zdrowotnej. Ich zaangażowanie prowadzi do zmian organizacyjnych i systemowych lepiej realizujących potrzeby pacjenta. Badanie wskazuje na OPCHRZ jako głównego animatora ruchów pacjentów w obszarze chorób rzadkich. OPCHRZ maksymalizują swoją operacyjność: działają niezależnie przy zbieraniu funduszy, w warunkach wysokiej niepewności łączą siły, aby pokazać zbiorowość, wolę walki i determinację. W ten sposób budują nowy model partycypacji społecznej w ochronie zdrowia (*health activism*), jednocześnie demokratyzując procesy decyzyjne. Szeroko rozumiana demokratyzacja obejmuje więc przestrzeganie praw człowieka, praw pacjenta i praw mniejszości, dbałość o społeczny konsensus przy rozwiązywaniu konfliktów między różnymi, niejednokrotnie sprzecznymi interesami społecznymi.

Słowa kluczowe: organizacje pacjentów i choroby rzadkie, choroby rzadkie, leki sieroce, sektor non-profit, organizacja i organizowanie



Summary

Rare Diseases Patient Organizations: from medical challenges to the national drug policy

In the last twenty years, Rare Diseases Patient Organizations (RDPOs) have been more prominent in Poland and other EU countries. This pertains not only to the increasing number of organizations but, above all, to the growing power and socio-political impact on healthcare. Rare diseases (RDs) exemplify area of medicine with high unmet patient needs, despite continuous advances. Small patients' populations alongside high cost of individual therapies pose logistic and financial challenges for healthcare systems, which should guarantee equal care access for all regardless of health conditions.

In the book, the author outlines a comprehensive and in-depth overview of RDPOs. She develops the theoretical framework using three theories: collective action, contract failure, and institutional isomorphism to study the subject. The research builds on qualitative methods, aligned with the theoretical paradigm, encompassing recent scientific literature and current regulatory framework. The author collected essential research content in 18 interviews with Polish RDPOs and 2 international umbrella organizations, enriched by over three years non-participant observations along with detailed study of publicly available source materials.

RDPOs form groups embedded in shared health problems and emotions. The key feature is the members' homogeneity constrained to RDs patients and care givers, which ensures deep understanding of patient's needs, leading over time to substantial knowledge accumulation. Defining RDPOs as a fate community justifies frequent emergence of homogeneous groups (representing a sole RD) in recent years at the expense of heterogeneous ones. Such a "fate community", bonded on trust, mutual understanding, and members' credibility has the power to influence healthcare providers and alter practices and organizational policies.

RDPOs drive processes of gathering, exchanging, and diffusion of knowledge. This stimulates them to seek political partners and explore new domains where scientific and organizational expertise is highly valued. Knowledge generates the

informative context enabling political engagement, where power and information asymmetry sit at the core. Thus, knowledge becomes a “public good”, while serving as a measure to reach goals. The study shows that RD patient’s activism secures total representativeness, becoming a unique feature of RDPOs, distinguishing them from other health activism. Disease homogeneity becomes a foundation for forming alliances at home and abroad, leading to internationalization (Europeanization) of operations. This mechanism favors mimetic behavior, as RDPOs eagerly draw ideological and normative inspirations from their foreign partners.

The inequality and unfair access to resources experienced by RDPOs triggers their health activism and alters “status quo”. Therefore, RDPOs with expert knowledge in RDs area adopt a mediator role in reimbursement and drug price negotiations (a regulator, manufacturer, patients). As a voluntary subject, they enjoy greater social trust as they stay neutral in profits distribution. Their engagement reduces decision-making risk for stakeholders: drug manufacturers and regulatory authorities.

RDPOs build strong networks impacting format and pathways of healthcare transformation within RDs field, enhancing patient empowerment, raising care standards and expanding scopes of healthcare services. Their commitment leads to gradual altering of healthcare logistic framework. The study demonstrates RDPOs as the key animators of RDs health activism. They enhance support for patients’ wellbeing by pooling knowledge, resources, and financial instruments. They optimize their operations by working independently in fundraising, while uniting to demonstrate solidarity, strength, and determination when confronted with uncertainty or threats to their mission. In this way, they are shaping an innovative model of social participation/civic engagement in healthcare, while advancing the democratization of decision-making processes. This broader understanding of democratization encompasses the protection of human, patient and minority rights, while it cultivates social consensus in addressing conflicts among diverse – and often competing – societal interests.

Keywords: rare diseases, patient organisation, rare disease, orphan drug, health activism, non-profit organization, organization and management