



Spis treści

Wprowadzenie	11
1. Jak i dlaczego powstała ta książka?	11
2. Luka badawcza	12
3. Badania jako fundament powstania książki	13
4. Problem badawczy	14
Rozdział 1. Podstawy teoretyczne badania	17
1.1. Organizacje pacjentów chorób rzadkich a teorie organizacji i zarządzania	17
1.1.1. Teoria kolektywnego działania	18
1.1.2. Neoinstytucjonalizm	21
1.1.3. Teoria zawodności kontraktów (asymetrii informacji)	25
1.1.4. Teoria <i>Public Service Logic</i>	29
Rozdział 2. Metody badań	31
2.1. Założenia metodologiczne	31
2.2. Proces badawczy	32
2.2.1. Przebieg badań	32
2.2.2. Próby badawcze	34
2.2.3. Obserwacja nieuczestnicząca	34
2.2.4. Wywiady	35
2.2.4.1. Metody doboru próby do wywiadów	35
2.2.4.2. Metoda prowadzenia wywiadów	37
2.2.5. Analiza wywiadów	40
2.2.6. Analiza dokumentów	41
2.2.7. Triangulacja metodologiczna	45
2.2.7.1. Triangulacja metod	45
2.2.7.2. Triangulacja danych	46
2.3. Uwagi	46

Rozdział 3. Organizacje pacjentów chorób rzadkich – rys historyczny i regulacje prawne	49
3.1. Historia regulacji w obszarze chorób rzadkich w Polsce i na świecie	49
3.2. Europejskie i krajowe instytucje regulatorowe odpowiedzialne za dopuszczenie do obrotu produktów leczniczych	51
3.3. Wybrane regulacje prawne dotyczące zasad i trybu dopuszczenia do obrotu leku w Polsce	55
3.4. Regulacje prawne i organy nadzorujące OPCHRRZ w Polsce	57
3.4.1. Rzecznik Praw Pacjenta	59
3.4.2. Parlamentarne zespoły ds. zdrowia	59
3.5. OPCHRRZ na gruncie europejskim	60
3.6. Typologia organizacji pacjentów jako sektora non-profit	61
3.7. Wyzwania medyczne, ekonomiczne i prawne w obszarze chorób rzadkich	63
Rozdział 4. Tożsamość organizacji pacjentów chorób rzadkich i afiliacja członków	67
4.1. Model funkcjonowania OPCHRRZ w Polsce	67
4.1.1. Determinanty powstawania OPCHRRZ w Polsce	67
4.1.2. OPCHRRZ jako organizacje otwarte i zorientowane	69
4.1.3. „Wolni strzelcy” i „pasażerowie na gapę”	71
4.2. Tożsamość organizacyjna i jej funkcja	72
4.2.1. Afiliacja jednorodna	75
4.2.2. Afiliacja różnorodna (złożona)	76
4.3. OPCHRRZ jako wspólnota emocjonalna	77
4.4. Miejsce i rola lekarza w organizacji	80
4.5. Motywacja członków jako wspólnoty	81
4.6. Komunikacja jako instrument integracji i budowania wspólnotowej tożsamości	83
4.7. Afiliacja i jej znaczenie w internacjonalizacji działań	86
4.8. Rola koalicji i aliansów w realizacji celów	88
Rozdział 5. Organizacje pacjentów chorób rzadkich jako wspólnota wiedzy	91
5.1. Rodzaje wiedzy i jej znaczenie dla organizacji	91
5.1.1. Wiedza personalna	92
5.1.2. Wiedza zbiorowa	92
5.1.3. Wiedza naukowa	94
5.1.4. Wiedza organizacyjna (instytucjonalna)	95
5.2. Wiedza i jej wykorzystanie	97
5.3. Od wspólnoty emocjonalnej do wspólnoty wiedzy	100

Rozdział 6. Struktura organizacyjna i prawna organizacji pacjentów chorób rzadkich a osiągnięcie celów	103
6.1. Forma prawna	103
6.2. Struktura organizacyjna	105
6.3. Mechanizmy finansowania OPCHRR	108
6.3.1. Finansowanie działalności	109
6.3.2. Alokacja środków finansowych OPCHRR	113
6.4. Interakcje i relacje OPCHRR w systemie ochrony zdrowia	115
6.4.1. Relacje wewnętrzne służące zapewnieniu wsparcia psychologicznego	116
6.4.2. Interakcje ukierunkowane na popularyzację wiedzy	117
6.4.3. Interakcje ukierunkowane na leczenie	118
6.4.3.1. Relacje zewnętrzne w ramach badań klinicznych	120
6.4.3.2. Relacje zewnętrzne w ramach charytatywnego dostępu do leków	121
6.4.4. Interakcje zewnętrzne powiązane z procesem refundacyjnym i polityką lekową państwa	122
6.5. Charakterystyka organizacyjna OPCHRR	127
Rozdział 7. Organizacje pacjentów chorób rzadkich i ich wpływ na politykę lekową państwa	133
7.1. Polityka lekowa – aspekty prawne i społeczne	133
7.2. Wpływ na proces refundacji jako cel aktywności OPCHRR	135
7.3. Wpływ OPCHRR na redukcję niepewności i ryzyka decyzyjnego	138
7.3.1. Ryzyko ekonomiczne związane z małą liczbą chorych	140
7.3.2. Ryzyko ekonomiczne i decyzyjne na etapie rozwoju i badań	142
7.3.3. Ryzyko decyzyjne wynikające z braku rejestrów pacjentów	143
7.3.4. Wpływ na racjonalność ekonomiczną dostępu do leku sierocego	145
7.4. Wpływ na politykę lekową państwa	147
7.5. OPCHRR i ich polityczne zaangażowanie w systemowe zmiany legislacyjne	150
7.6. Rola i miejsce OPCHRR w dostępie do leków sierocych	155
Wnioski i wskazówki	161
1. Podsumowanie	161
2. Odpowiedzi na pytania	167
3. Uwagi praktyczne	178
4. Wskazówki dla organizacji pacjentów	179
5. Wskazówki dla regulatora i interesariuszy	181
6. Ograniczenia badań	183
7. Kierunki przyszłych badań	184

Słownik	187
Wykaz skrótów	189
Wykaz tabel	190
Wykaz rysunków	191
Streszczenie	192
Summary	194
Bibliografia	196