



Tożsamość i model funkcjonowania organizacji pacjentów w chorobach rzadkich. Wyniki badania jakościowego

Identity and organizational models of rare disease patient organizations: findings from a qualitative study

Agnieszka Stasiewicz-Swinney^{1,A-F} 

¹ Wydział Zarządzania, Uniwersytet Warszawski, Polska

A – Koncepcja i projekt badania, B – Gromadzenie i/lub zestawianie danych, C – Analiza i interpretacja danych, D – Napisanie artykułu, E – Krytyczne zrecenzowanie artykułu, F – Zatwierdzenie ostatecznej wersji artykułu

Stasiewicz-Swinney A. Tożsamość i model funkcjonowania organizacji pacjentów w chorobach rzadkich. Wyniki badania jakościowego. Med Og Nauk Zdr. 2026;32(3):237–244. doi:10.26444/monz/236167

■ Streszczenie

Wprowadzenie i cel pracy. Organizacje pacjentów zrzeszające osoby z chorobami rzadkimi (OPCHRZ) odgrywają kluczową rolę w eliminowaniu barier dostępu tych osób do leków, terapii, wsparcia psychologicznego i socjalnego. Celem badania była analiza, jak wspólnoty pacjentów organizują aktywności i w jaki sposób choroba rzadka determinuje tożsamość i kulturę organizacyjną, a następnie wyznacza strategię działań. Badanie uzupełnia lukę empiryczną, pozwala zrozumieć aktywizację pacjentów z CHRZ, logikę działania zbiorowego i przewidzieć kierunki rozwoju.

Materiał i metody. W pracy zastosowano metodę jakościową. Analiza opiera się na 3-letnich badaniach obserwacyjnych, 20 wywiadach i kwerendzie dokumentacyjnej. Dane poddano refleksyjnej analizie tematycznej. Aby zwiększyć trafność i obiektywność wyników, zastosowano triangulację metod, danych i teorii.

Wyniki. Kluczową cechą OPCHRZ jest homogeniczność niedużej grupy złożonej z chorych i opiekunów, co zapewnia bezpośrednią styczność z potrzebami całej społeczności. Tożsamość opiera się na aksjomacie CHRZ, co wyróżnia je na tle podmiotów non-profit i dyktuje ich model funkcjonowania. Afiliacja choroby tworzy fundament budowania aliansów w kraju i internacjonalizację działań. W miarę postępów medycyny wzrasta homogeniczność OPCHRZ. Zachodzi różnicowanie wspólnot pacjentów o afiliacji jednorodnej, o czym świadczy przewaga afiliacji jednorodnej wśród nowo powstających OPCHRZ w Polsce i krajach UE. Proces ten jest zauważalny od ponad 20 lat.

Wnioski. W obszarze CHRZ system ochrony zdrowia korzysta z działalności rzeczniczej, edukacyjnej OPCHRZ, jak i zaangażowania w R&D. Tożsamość, jak i homogeniczność tworzą fundament afiliacji organizacji. Taki model działania odgrywa nadrzędną rolę w budowaniu koalicji i aliansów, gdzie jednym z kluczowych etapów jest internacjonalizacja i współpraca w ramach struktur międzynarodowych.

Słowa kluczowe

tożsamość, choroby rzadkie, organizacje pacjentów, wspólnota losu, afiliacja, aliance zaangażowanie społeczne

■ Abstract

Introduction and Objective. Rare disease patient organizations (RDPOs) contribute to improving access to healthcare, medicines, psychosocial support, and social services for people living with rare diseases (RD). Limited evidence exists on how they develop their organizational identity and how this influences their patterns of collective action. The study examines how RDPOs organize activities and how disease affiliation shapes organizational identity, culture, and strategy.

Material and Methods. A qualitative study design was adopted. Data were collected over a 3-year period through non-participant observation, 20 interviews with Polish RDPOs, and documents review followed by reflexive thematic analysis. Methodological triangulation was applied to enhance study credibility.

Results. RDPOs comprise small and homogeneous communities of patients and caregivers, facilitating alignment between activities and community needs. Organizational identity is grounded in affiliation with a specific RD, distinguishing them from other NGOs, shaping their functional model. RD affiliation provides basis for collaboration at home and promotes participation in international networks. Advances in medical knowledge accompany increasing organizational specialization, reflected in the growing number of organizations representing single RDs. This pattern has been observed for over 20 years in Poland and the EU.

Conclusions. RDPOs constitute a key healthcare component, supporting advocacy, public education, R&D, and collaboration with policy stakeholders. Disease-specific identity and community homogeneity facilitate relationship-based networks at both national and international levels. These findings suggest that collaboration, rather than competition, characterizes their organizational development and shapes policies strengthening patient participation in health systems.

Key words

qualitative research, rare diseases, organizational identity, alliances, patient advocacy, rare disease patient organizations

✉ Adres do korespondencji: Agnieszka Stasiewicz-Swinney, Wydział Zarządzania, Uniwersytet Warszawski, ul. Szturmowa 1/3, 02-678 Warszawa, Polska
E-mail: a.stasiewicz-swinney@uw.edu.pl

Nadesłano: 20.07.2026; zaakceptowano do publikacji: 8.09.2026; publikacja online: 23.09.2026

WPROWADZENIE

W Unii Europejskiej choroba rzadka (CHZR) definiowana jest jako schorzenie występujące u mniej niż 5 osób na 10 tys. mieszkańców. Jednostki chorobowe występujące rzadziej, czyli tzw. choroby ultra rzadkie, dotyczą mniej niż 1 przypadku na 100 tys. osób [1, 2].

Aktualnie zidentyfikowano ponad 8 tys. CHZR, które dotyczą ok. 30 mln osób w UE, w Polsce zaś blisko 3 mln. Ponad 80% CHZR ma podłoże genetyczne. Charakteryzują się dużym zróżnicowaniem klinicznym i prognostycznym, blisko 30% CHZR prowadzi do ciężkich, zagrażających życiu powikłań, a mimo stałego postępu biotechnologicznego w odniesieniu do 95% takich chorób nadal nie ma zatwierdzonych opcji terapeutycznych [2–4].

Dzieci stanowią ok. połowy wszystkich pacjentów z CHZR, blisko 30% z nich umiera przed ukończeniem 5. roku życia [2, 3]. W konsekwencji CHZR wiąże się ze znaczącym obciążeniem fizycznym, psychicznym, finansowym i organizacyjnym dla całej rodziny, której życie zostaje podporządkowane radzeniu sobie w ramach złożonych, ale niespójnych systemów opieki zdrowotnej i socjalnej.

Kluczowe wyzwanie stanowi brak rzetelnej wiedzy lekarzy, personelu medycznego i opieki socjalnej na temat opieki nad pacjentem z CHZR [4, 5]. Problem pogłębia nierówny dostęp pacjentów do badań genetycznych i prenatalnych, poradnictwa genetycznego, terapii innowacyjnych i wsparcia psychospołecznego, co prowadzi do dyskryminacji chorych z CHZR [5–7]. W takim kontekście organizacje pacjentów działające na rzecz osób z chorobami rzadkimi (OPCHZR) wypełniają istniejącą lukę w systemie zdrowia, implemmentując i realizując – na wielu płaszczyznach: osobistej, grupowej i instytucjonalnej – praktyki na rzecz poprawy jakości zdrowia i życia, a w następnym kroku działając na rzecz wprowadzenia zmian systemowych, włącznie z wpływem na politykę lekową państwa [7–9].

Ze względu na dużą liczbę CHZR w Europie funkcjonuje ponad 1800 organizacji pacjentów [10], w Polsce blisko 90 (obliczenia własne autorki za rok 2026). Genezę i funkcjonowanie OPCHZR należy traktować jak reakcję na rosnące potrzeby i oczekiwania pacjentów z CHZR, w sytuacji gdy pomoc i opieka państwa zawodzą [11, 12].

Organizacje pacjentów (OP) jako przedstawiciele sektora non-profit w odróżnieniu od biznesu nie generują zysku dla fundatora czy udziałowców, realizują natomiast swoje misje prozdrowotne i społeczne, co je wyróżnia i stanowi bazę ich wiarygodności w otoczeniu [13]. Analogicznie do przedsięwzięć biznesowych, OP w sposób mniej lub bardziej świadomy budują swoją tożsamość, czyli zbiór unikalnych cech, wartości i celów identyfikujących grupę wewnątrz i na zewnątrz. Podstawa ideowa ich tożsamości opiera się na problemie zdrowotnym, który definiuje misję i wizję organizacji. Z założenia misja wyjaśnia przyczyny istnienia, tłumacząc, komu i w jaki sposób służy przedsięwzięcie. Wizja mówi o celach i potencjale rozwoju w bliższej lub dalszej przyszłości [14]. Tożsamość OPCHZR obejmuje określony system wartości, stanowiący fundament ich aktywnego działania na rzecz całej społeczności chorych, bez względu na ich formalną przynależność do grupy. Kolejny element stanowi model funkcjonowania, czyli taka struktura i kultura grupy, w której zaangażowanie członków, etyka i wolontariat determinują logikę działania zbiorowego [14].

Proces badawczy

Badanie stanowi część szerszego projektu analizującego model funkcjonowania i rolę OPCHZR w polskim systemie ochrony zdrowia. Ze względu na istniejącą lukę empiryczną w tym obszarze zastosowano podejście jakościowe badania opisowego (ang. *qualitative descriptive*, QD), często wykorzystywane do eksploracji słabo rozpoznanej problematyki, gdzie kluczową rolę pełnią uczestnicy, ich zwyczaje i narracja [15].

W tym celu autorka, lekarz i ekspert w dziedzinie zarządzania, opracowała model koncepcyjny badania obejmujący trzy etapy [15]. Pierwszym było ustalenie ram prawa polskiego i unijnego regulujących działalność OP jako sektora non-profit w optyce norm ochrony zdrowia i rynku farmaceutycznego. Następnie, wykorzystując dostępne w momencie badania bazy danych, tj. bazy Krajowego Forum Orphan i EURORDIS, wybrała wszystkie aktywnie działające OPCHZR, spośród których 20 zgodziło się na wywiad. We wszystkich przypadkach reprezentantem był prezes, fundator lub wiceprezes. Decyzja o wyborze rozmówcy należała do samej organizacji. Krajowe OPCHZR reprezentowało 18 osób, spośród których cztery aktywnie działały w strukturach międzynarodowych organizacji patronackich i omówiły obie perspektywy. Pozostałe dwie osoby stanowiły kierownictwo międzynarodowych grup [10, 15]. Przyjęto podejście, że liderzy organizacji stanowią kluczowe źródło informacji, ponieważ jako ciała założycielskie odpowiadają za kształtowanie kultury i strategię rozwoju. Za zgodą rozmówców wszystkie wywiady nagrano i transkrybowano (w tym 2 transkrypcje na język polski), łącznie dało to 43 godziny wywiadów. Równolegle autorka prowadziła obserwacje nieuczestniczące, polegające na świadomym i planowym podążaniu za podmiotem w oderwaniu od kulturowych i instytucjonalnych znaczeń – łącznie było to 18 spotkań, zjazdów i konferencji prasowych, co przełożyło się na 168 godzin obserwacji.

Metoda analizy danych jakościowych została powiązana ze strategią kodowania. Do tego celu wybrano kodowanie indukcyjne, które zdaniem wielu badaczy sprawdza się w przypadku analizy niewielkiego zbioru danych [16]. Struktura kodów analitycznych stanowiących wzorzec kodowania indukcyjnego odpowiadała kategoryzacji problematycznej ujętej w scenariuszu i pytaniach wywiadów. Pozwoliło to na empiryczne przejście od operacjonalizacji do ich konceptualizacji. W ten sposób autorka zebrała kategorie analityczne z uwzględnieniem kontekstu, struktury, narracji i retoryki [17].

Następnie dokonała analizy publicznie dostępnych dokumentów zawierających informacje o działalności i finansach OPCHZR, takich jak roczne sprawozdania merytoryczne i finansowe organizacji pożytku publicznego (OPP), składane zgodnie z regulacjami dotyczącymi sektora non-profit. Analizie poddano także strony internetowe, media społecznościowe, publikacje prasowe tworzone przez OPCHZR na potrzeby promowania swojej działalności, co pozwoliło zweryfikować praktyki, narrację i poznać stronę wizualną. Integracja danych z wywiadów, obserwacji i kwerendy dokumentów (triangulacja danych), po uprzedniej walidacji ich spójności oraz wiarygodności, pozwoliła stworzyć koherentny materiał badawczy.

Jakościowy charakter badania uniemożliwia generalizację wyników na cały sektor. Wartość badania polega na: wnikliwości i opisie procesu ewolucji, jakiej podlegają OPCHZR, eksploracji dynamiki i „pokazaniu zrozumienia ludzkiej

strony organizacji oraz naświetleniu problemów mało znanych, zjawisk nowych i unikatowych” [16].

WYNIKI

Tożsamość OPCHRZ stanowi fundament ich funkcjonowania. Decyduje o samookreśleniu i uświadomieniu cech definiujących ich naturę, tworzy punkt wyjścia do tworzenia misji i wizji rozwoju [14]. OPCHRZ nie są przypadkowym zbiorowiskiem chorych, mają unikatowe cechy, z którymi członkowie się identyfikują. Powiązania członków są dobrowolne i oparte na analogiczności problemu zdrowotnego i interakcjach, jakie podejmują wewnątrz i na zewnątrz organizacji, szukając rozwiązania problemów. Różnice społeczne, ekonomiczne, etniczne czy różnica wieku nie stanowią barier, odgrywają rolę drugorzędną. Taką grupę łączą wartości życiowe związane ze zdrowiem i problemami osoby chorej, a ciężka, przewlekła choroba odciska piętno na życiu całej rodziny. Wymaga przystosowania się w sferze życia codziennego, zawodowego oraz czasu wolnego. Wyniki badania wskazują, że OPCHRZ i ich członkowie tworzą wspólnotę losu, co potwierdzają wypowiedzi z wywiadów.

„Jesteśmy jak duża rodzina”. Wywiad, Stowarzyszenie na Rzecz Osób z Ciężką Padaczką Lekooporną Dravet.pl
„A my spowodowałyśmy, że nagle ci ludzie poculi się, że ktoś tam jest taki, kto jest podobny do nich. Ma podobne problemy”. Wywiad, Fundacja Wymarzona Odporność

Poczucie wspólnoty decyduje o społecznym zaangażowaniu, opartym na empatii, wzajemnym zaufaniu, solidarności. Członów grupy spaja świadomość własnej odmienności, a także wartości, które Elinor Ostrom określiła mianem „norm dzielanych przez grupę” [18]. Wymiana doświadczeń i wiedzy o swojej chorobie, a także wzajemne udzielanie przez członków grupy pomocy rzeczowej stanowi potwierdzenie akceptacji i powielania tworzonych przez nią norm. OPCHRZ podają liczne przykłady wzajemnej wymiany sprzętów rehabilitacyjnych, takich jak: wózki, ssaki, wyroby medyczne, w której to z założenia uczestniczy każdy członek OPCHRZ. Unikanie takich praktyk nie jest mile widziane. Członków spaja długoterminowa perspektywa poprawy własnej sytuacji zdrowotnej, co jest celem ich aktywności odzwierciedlonym w wizji organizacji:

„Jako organizacja musimy być krok do przodu, aby móc tych rodziców nakierować na pewne rzeczy, aby oni mieli czystą głowę do opieki”. Wywiad, Fundacja StopDuchenne

Wspólnotowe reguły uzewnętrzniają się również w retoryce wypowiedzi. Wspólnoty mają własny system kodów i norm zachowania, które z zewnątrz wydają się niezrozumiałe, obraźliwe czy niehumanitarne, o czym świadczy następująca wypowiedź:

„Kiedyś na turnus przyjechał jakiś tata. Staliśmy z rodzicami dzieci, takich leżących. Rozmawiamy, żartujemy: »Wzięłabyś tego lenia z łóżka wypędziła, poszedłby pozamiatał liście, lepiej by się poczuł, tlenu troszkę złapał«. I się śmiejemy, a ten tata przechodzi i mówi: »Co za idioci, śmieją się, a mają dzieci śmiertelnie chore!«. Po dwóch tygodniach turnusu rehabilitacyjnego on też się śmiał”. Wywiad, Stowarzyszenie Chorych na Mukopolisacharydozę (MPS) i Choroby Rzadkie

Kategoria „wspólnota losu” pozwala wyjaśniać częstsze powstawanie w ostatnich 20 latach OPCHRZ typu mono-, czyli reprezentujących tylko jedną chorobę rzadką. Fundament wspólnotowy stanowi natura schorzenia, podobna etiologia,

postępowanie, przebieg i problemy, z którymi zmagają się chorzy, co zbliża członków grupy. Taka wspólnota losu zapewnia lepsze zrozumienie i wsparcie. Homogeniczność wspólnotowa stanowi istotny czynnik określający tożsamość chorych, co wybrzmiewa mocno we wszystkich wywiadach: „Jest szereg problemów, z którymi się borykają osoby chore na miopatie i staramy się je wspierać. (...) służymy sobie wzajemnie radą poprzez stworzenie takiej społeczności. Myślę, że to jest najcenniejsze w tym wszystkim. W momencie kiedy jest słaba rozpoznawalność choroby i informacja społeczna na jej temat”. Wywiad, Fundacja Oswoic Miopatie

W homogenicznej wspólnotcie losu najlepiej odnajdują się osoby, które same tego bezpośrednio doświadczają. Dlatego lekarze, niezależnie od swoich kompetencji, znający „problem z podręcznika”, a nie poprzez bezpośrednie doświadczenie, niezwykle rzadko są członkami OPCHRZ. Wspólnotowość, strategia walki o swoje prawa i stawianie oporu w sytuacji zagrożenia motywują do podjęcia planowych działań w ramach grupy, która lepiej chroni i reprezentuje interesy jej członków: „Właśnie, nie tylko pomoc materialna jest potrzebna, ale psychiczna, bo to są wyroki śmierci. Żeby się wspierać psychicznie, ponieważ często psycholodzy podchodzą do tego tak: dziecko nieuleczalnie chore, trzeba przygotowywać rodziców do śmierci dziecka”. Wywiad, Stowarzyszenie Chorych na Mukopolisacharydozę (MPS) i Choroby Rzadkie

OPCHRZ posiadają ściśle zdefiniowaną tożsamość opartą na aksjomacie CHRZ, co wymusza określony model funkcjonowania. Dzięki wysokiej homogeniczności grupy i, co się z tym wiąże, unikatowej tożsamości nie występuje ryzyko utraty wiarygodności czy zacierania granic lub form funkcjonowania.

Afiliacja jednorodna

Jednoczenie się osób chorych pod hasłem jednej choroby pozytywnie oddziałuje na nie poprzez utożsamianie z grupą, zaspokaja potrzebę bezpieczeństwa, pomaga w budowaniu wspólnoty jako psychicznej i ekonomicznej grupy wsparcia, działa także motywująco na chorych niezrzeszonych. Świadomość rzadkości choroby podkreśla unikatowość wspólnoty i wzmacnia afiliację pomagającą budować jednorodną organizację:

„Specyfika zespołu 22Q11 wymusza i determinuje nasze działania typowe dla zespołu z delecją 22”. Wywiad, Stowarzyszenie 22Q11 Polska

Afiliacja jednorodna pełni ważną rolę w komunikacji OPCHRZ z otoczeniem, kreując klarowną i jednoznaczną identyfikację członków organizacji, istotną dla ich relacji z podmiotami zewnętrznymi. Umożliwia rozpoznawalność i pokazuje tożsamość grupy, co z kolei zwiększa szanse dotarcia do innych chorych i ich opiekunów z zachętą dołączenia do grupy. Działania edukacyjne i rzecznicze realizowane pod nazwą własnej CHRZ ułatwiają nagłośnienie w społeczeństwie schorzenia jako zjawiska [22].

Afiliacja różnorodna (złożona)

Można wyróżnić kilka wyjątków OPCHRZ, gdzie wspólnota reprezentuje różne CHRZ, a nazwa choroby nie widnieje w nomenklaturze organizacji. Wynika to z małej liczby chorych: są to jedna lub dwie osoby w Polsce. Wtedy rozwiązaniem jest dołączenie do innej wspólnoty działającej pod nomenklaturą ogólną „CHRZ”. Zdarza się także działanie odwrotne, czyli podkreślenie wyjątkowości chorego i jego choroby. Wtedy zastosowanie znajduje imię lub symboliczne

Tabela 1. Charakterystyka badanych organizacji i ich aktywności

Organizacja Pacjentów (OPCHRZ)	Rok założenia	Liczba członków/ odbiorców działań ¹⁾	Strona internetowa	Media społecznościowe
1 Stowarzyszenie Chorych na Mukopolisacharydozę (MPS) i Choroby Rzadkie [wiele CHRZ]	1990	461/773	Tak	Tak
2 Polskie Towarzystwo Walki z Mukowiscydozą (PTWM) [jedna CHRZ – mukowiscydoza]	1987	1383/5500	Tak	Tak
3 Stowarzyszenie Pomocy Chorym Dzieciom LIVER [wiele CHRZ]	1991	172/329	Tak	Tak
4 Stowarzyszenie MARFAN Polska [jedna CHRZ – zespół Marfana]	1995	37/600	Tak	Tak
5 Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego [jedna CHRZ – zespół Fabry'ego]	2002	73	Tak	Tak
6 Stowarzyszenie DEBRA Polska Kruchy Dotyk [jedna CHRZ – EB pęcherzowe oddzielanie naskórka]	2004	116/140	Tak	Tak
7 Polskie Towarzystwo Wspierania Osób z Nieswoistymi Zapaleniami Jelita [wiele CHRZ]	2005	2816/1600	Tak	Tak
8 Fundacja SMA [jedna CHRZ – zespół SMA, rdzeniowy zanik mięśni]	2013	350/ponad 1000	Tak	Tak
9 Stowarzyszenie na Rzecz Osób z Niedoborami Odporności Immunoprotect [jednolita problematyka]	2007	90/kilkaset	Tak	Tak
10 Stowarzyszenie na Rzecz Osób z Ciężką Padaczką Lekooporną Dravet.pl [jedna CHRZ – zespół Draveta]	2013	400	Tak	Tak
11 Fundacja Wymarzona Odporność [jednolita problematyka]	2014	350	Tak	Tak
12 Stowarzyszenie Chorych na Mastocytozę [jedna CHRZ – mastocytoza]	2016	30/90	Tak	Tak
13 Stowarzyszenie 22Q11 Polska [jedna CHRZ – zespół 22Q11]	2017	15	Tak	Tak
14 Fundacja Oswoic Miopatie [jednolita problematyka]	2018	8	Tak	Tak
15 Fundacja Bohatera Borysa [jedna CHRZ – leukodystrofia metachromatyczna]	2019	1	Tak	Tak
16 Fundacja Platynowa Drużyna [jedna CHRZ – zespół Batten'a]	2019	13/28	Tak	Tak
17 Stowarzyszenie Pacjentów z PNH „Jedni na Milion” [jedna CHRZ – zespół PNH]	2021	28	Tak	Tak
18 Fundacja StopDuchenne [jedna CHRZ – dystrofia mięśniowa Duchenne'a]	2021	25	Tak	Tak
19 Fundacja Serce Dziecka im. Diny Radziwiłłowej [wiele CHRZ]	2004	-	Tak	Tak
20 Stowarzyszenie Ars Vivendi [jedna CHRZ – fenyloketonuria]	2000	-	Tak	Tak
21 Polskie Stowarzyszenie Choroby Huntingtona [jedna CHRZ – ch. Huntingtona]	2002	-	Tak	Tak
22 Stowarzyszenie Chorych na Stwardnienie Guzowate [jedna CHRZ – stwardnienie guzowate]	2005	-	Tak	Tak
23 Polskie Stowarzyszenie Pomocy Osobom z Zespołem Prader-Willi [jedna CHRZ – zespół Prader-Willi]	1995	-	Tak	Brak
24 Stowarzyszenie Dignitas Dolentium [jedna CHRZ – zespół SLA stwardnienie boczne zanikowe]	2007	-	Tak	Tak
25 Stowarzyszenie Wiliamsa [jedna chrz – zespół Williama]	2007	-	Tak	Tak
26 Stowarzyszenie Pomocy Chorym na Mięsaaki i Czerniaki Sarcoma [wiele CHRZ]	2007	-	Tak	Tak
27 Stowarzyszenie Rodzin z Ataksją Rdzeniowo-Mózdkową [grupa CHRZ – jednolity problem]	2004	-	Tak	Tak
28 Stowarzyszenie Rodzin z Amyloidozą TTR [jedna CHRZ – amyloidoza TTR]	2021	-	Tak	Tak
29 Polskie Towarzystwo Chorób Nerwowo-Mięśniowych [wiele CHRZ]	1988	-	Tak	Nie
Organizacje międzynarodowe				
30 Debra International [jedna CHRZ - EB pęcherzowe oddzielanie naskórka]	1992	50 krajów	Tak	Tak
31 Fabry International Network (FIN) [jedna CHRZ – zespół Fabry'ego]	2002	36 krajów	Tak	Tak
32 International Prader-Willi Syndrom Organisation IPWSO. [jedna CHRZ – zespół Prader-Willi]	1991	40 krajów	Tak	Tak

¹⁾ Wywiady objęły organizacje od 1 do 18 oraz 30 do 32, organizacje od nr 19 do 29 ujęte zostały w analizach i obserwacjach.²⁾ Dane zebrane z wywiadów, dotyczą okresu prowadzenia badań (2021-23)

Źródło: Opracowanie własne.

określenie wykorzystane w nazewnictwie, czego przykładami są Fundacja Bohatera Borysa czy Fundacja Platynowa Drużyna.

Starsze stażem OPCHRZ mają w swojej nazwie odwołanie do ogółu CHRZ jako grupy schorzeń ze względu na ówczesny brak wyodrębnienia poszczególnych jednostek chorobowych i niezwykle małą liczbę zidentyfikowanych przypadków. Wraz z rozwojem wiedzy i diagnostyki medycznej zwiększała się systematycznie zarówno liczba CHRZ, jak i osób ze zdiagnozowaną CHRZ, co skutkowało tworzeniem wspólnot chorych w ramach jednej CHRZ (afiliacja jednorodna). Nomenklatura OPCHRZ nawiązuje więc w 80% badanych przypadków do nazewnictwa choroby np.: Fundacja SMA, Stowarzyszenie Marfan Polska. Pośrednio wskazuje także na

naturę dziedziczenia schorzenia, np.: Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry'ego. Czasami afiliacja różnorodna była podyktowana interesem medycznym pacjentów i występuje w sytuacjach, kiedy dla różnych chorób rozwiązanie stanowi takie samo wysokospecjalistyczne leczenie. Przykład stanowi Stowarzyszenie Pomocy Chorym Dzieciom LIVER, skupiające pacjentów z różnymi rzadkimi schorzeniami wątroby, gdzie ostatecznym rozwiązaniem pozostawał przeszczep. Podobna sytuacja zachodziła także w przypadku Polskiego Towarzystwa Wspierania Osób z Nieswoistymi Zapaleniami Jelit „Jelita”.

Biorąc pod uwagę przedstawioną argumentację, można stwierdzić, że w miarę postępu medycyny i farmakologii wzrasta homogeniczność OPCHRZ, co prowadzi do

różnicowania i wyodrębniania wspólnot pacjentów o afiliacji jednorodnej. Proces ten trwa już od dłuższego czasu, czego dowodem jest przewaga afiliacji jednorodnej wśród nowo powstających OPCHRR.

Obecnie afiliacja występuje najsilniej i najczęściej w ramach jednej, określonej jednostki chorobowej, stanowiąc punkt wyjścia do rozwijania współpracy i tworzenia koalicji. Walka o wspólne dobro, zgodnie z teorią kolektywnego działania [18], przeważa nad partykularnym interesem organizacji partycypujących. Przykładem jest Mukokoalicja, utworzona przez pięć OPCHRR działających na polu mukowiscydozy: Polskie Towarzystwo Walki z Mukowiscydozą, Fundację Pomocy Rodzinom i Chorym na Mukowiscydozę MATIO, Fundację Podaruj Oddech, Fundację MUKOHELP oraz Polskie Towarzystwo Walki z Mukowiscydozą Oddział Gdańsk. Koalicje pozwalają jednaczyć większą liczbę chorych wokół problemu i zintensyfikować partycypację. Misja oraz wizja pozostają spójne, dyktując następnie wspólną strategię, np. misja Mukokoalicji przedstawiona na ich stronie internetowej: „Podjęliśmy walkę o dostęp do leków ratujących życie! Do tej pory leczenie mukowiscydozy ukierunkowane było na łagodzenie objawów, modulatory (nowa grupa leków) pomagają skutecznie działać białku CFTR a tym samym dają szansę na normalne życie, (...) Z zaangażowaniem i zapałem rozpoczęliśmy starania o refundację pozostałych modulatorów”. Strona internetowa Polskiego Towarzystwa Walki z Mukowiscydozą

OPCHRR jako wspólnota losu

Osoby z ciężką, postępującą chorobą łączy wspólny interes podyktowany leczeniem, rehabilitacją, opieką socjalną, co odciska piętno na życiu osobistym i zawodowym, wymusza zmianę nawyków całej rodziny. Różnice społeczne, ekonomiczne etniczne czy różnice wieku nie odgrywają większej roli. Analogicznie do struktury plemiennych, OPCHRR można określić mianem wspólnoty losu. Jednak wspólnota nie żyje w hermetycznej izolacji, ale w warunkach rynkowych, gdzie postęp medycyny, farmakologii i opieki zdrowotnej zmienia paradygmat, a ich funkcjonowanie ewoluuje.

Afiliacja w ramach swojego schorzenia stanowi dowód, że tożsamość powiązana z określoną CHRZ odgrywa funkcję integrującą: członkowie grupy mają podobne problemy zdrowotne i jednakowe ich rozwiązanie:

„Na pewno na początku sama możliwość spotkania się z innymi osobami, które mają tę samą chorobę, pomagała. Po pierwsze, można gdzieś tam poukładać w głowie pewne rzeczy, po drugie, wymienić się doświadczeniami praktycznymi, co pomaga w jakiej sytuacji, czym się leczą w takich przypadkach, nawet naturalnymi sposobami, taka po prostu wymiana doświadczeń”. Wywiad, Stowarzyszenie Rodzin z Chorobą Fabry’ego

Wyższość tak powstałej wspólnoty nad instytucjonalnie regulowaną i kontrolowaną grupą polega na tym, że cele i motywacja są wspólne. Taką wspólnotę charakteryzują normy podzielane przez członków grupy, takie jak wzajemne zaufanie czy wiarygodność, co przekłada się na dobrowolność zaangażowania i współdziałania na rzecz całej grupy. Wiele OPCHRR opowiada o sobie w kategorii „rodzina”. Taka terminologia identyfikuje wspólnoty, czego wyraz stanowią nazwy formalne (dane KRS) czy nieformalne grup funkcjonujących w mediach społecznościowych, m.in. Praderkowa rodzinka (termin używany przez Stowarzyszenie Pomocy Osobom z zespołem Prader-Willi).

„...takie rodzinne więzi powstają, ludzie się odwiedzają nawzajem. Bo jesteśmy taką niewielką grupą prawie stu osób, które się często spotykają, pozostałe osoby trochę rzadziej. To jest taka jedna wielka rodzina”. Wywiad, Stowarzyszenie Debra Polska Kruchy Dotyk

Członków OPCHRR łączą życiowe doświadczenia, które znajdują swoje odzwierciedlenie w misji i wizji organizacji. Jedność grupy i poczucie odmienności niwelują marginalizację społeczną. Akumulacja doświadczeń i unikatowej wiedzy w dziedzinie swojego schorzenia tworzy kolejny filar budowania tożsamości organizacyjnej. Jednakowy typ schorzenia, podobne problemy i ich rozwiązanie stanowią ważny czynnik konsolidacyjny i bodziec do szukania wsparcia wewnątrz społeczności, co prowadzi do formalizowania działalności organizacji. W takiej wspólnotce losu najlepiej odnajdują się osoby, które same bezpośrednio doświadczają problemu. Koncepcja wspólnoty losu podkreśla wagę psychologicznej optyki funkcjonowania OPCHRR wewnątrz i na zewnątrz organizacji.

Miejsce i rola lekarza w organizacji

Podobnie jak w przedsiębiorstwach, tak i w sektorze non-profit włączenie wielu interesariuszy pociąga za sobą większe koszty zarządzania nią. Wymaga godzenia różnych, czasami sprzecznych interesów. Utrudnia podejmowanie decyzji, zwłaszcza w warunkach niepewności i zmieniającego się otoczenia prawnego. Z tej perspektywy zarówno członkowie, jak i zarządy OPCHRR stanowią homogeniczną grupę złożoną z pacjentów, ich rodzin, opiekunów i bliskich znajomych. Lekarze czy inny personel medyczny pozostają na zewnątrz, co widać wyraźnie podczas kwerendy zarządów, komisji rewizyjnych i innych organów organizacji:

„Jako Fundacja współpracujemy też z lekarzami, ale nie mamy żadnego wśród naszych członków. Oni dają nowym osobom znak, że jest taka Fundacja, dają kontakt i namiary do nas”. Wywiad, Fundacja Oswoić Miopatie

Gdy przyjmiemy, że OPCHRR stanowią wspólnotę losu, nie dziwi, że przedstawicielom zawodów medycznych i paramedycznych trudno odnaleźć się w takiej homogenicznej grupie o silnej afiliacji z jedną CHRZ:

„Mamy osobny medyczny i naukowy panel doradczy. Ale oni są od nas oddzieleni, więc nie ma żadnego wpływu. Zwracamy się do nich głównie wtedy, gdy napływają wnioski badawcze, oni oceniają je i przedstawiają profesjonalną opinię w tym temacie”. Wywiad, Debra International

Do wyjątków należą przypadki, kiedy lekarz kieruje OPCHRR ze względu na występowanie CHRZ w jego najbliższej rodzinie (dane znane autorce), co może stanowić cenny bodziec do inicjowania rozwoju na polu naukowym. W większości OPCHRR lekarze nie wchodzą w skład zarządów ani nie są członkami organizacji, zdarza się natomiast, że zasiadają w radach naukowych, pełniąc rolę zewnętrznego doradcy. W 80% przypadków pełnią funkcję legitymizacyjną i wizerunkotwórczą. Lekarze mają inne, ważne zadania do wypełnienia: wyszukują nowych pacjentów, zapewniając wsparcie agitacyjne i promocyjne, przyczyniając się tym samym do wzrostu liczby członków. Stają się zatem mimowolnym aktywistą, redefiniując swoją rolę, co podkreśla rozmówca wywiadu:

„Czasami też panie doktorki kierują do nas swoich podopiecznych, bo wiedzą, że w Polsce pewnej pomocy nie można uzyskać”. Wywiad, Stowarzyszenie Pomocy Chorym Dzieciom LIVER.

Literatura określa takie zjawisko mianem *advocacy activists* [22] – lekarze działający na rzecz OPCHRRZ jako doradcy czy partnerzy realizujący misję. W zamian mogą liczyć na określone korzyści – takie jak udział w badaniach klinicznych, terapiach eksperymentalnych, sponsorowanie wykładów czy wyjazdu naukowego – ważne dla naukowego rozwoju lekarza, o czym mówi rozmówca:

„Sfinansowaliśmy kilka zespołów klinicystów, którzy wyjechali za granicę w celu przeszkolenia lub edukacji innych lekarzy w zakresie opieki EB. I to było naprawdę udane, i bardzo poszukiwane”. Wywiad, Debra International (tłumaczenie z jęz. ang.)

Obserwacja interakcji OPCHRRZ z lekarzami pozwala na zrozumienie natury takich relacji.

Afiliacja i jej znaczenie w internacjonalizacji działań

Afiliacja w ramach CHRZ wyjaśnia zjawisko wertykalnego łączenia się krajowych OPCHRRZ w ramach struktur międzynarodowych. W Europie funkcjonuje ponad 1800 organizacji pacjentów [10], w Polsce blisko 90 (własne obliczenia autorki z roku 2026). OPCHRRZ reprezentujące pacjentów tworzą koalicje, aliansy lub sojusze działające na rzecz danej CHRZ, gdyż czynnikiem spajającym jest tożsamość oparta na problemie medycznym. Afiliacja budowana na kryterium choroby wskazuje, że krajowym OPCHRRZ bliżej jest do grup działających pod szyldem tej samej choroby w innych krajach niż do krajowych zrzeszeń OPCHRRZ, ale reprezentujących odmienne CHRZ.

„Jesteśmy członkiem Europejskiego Stowarzyszenia 22Q11 i tak naprawdę to ta współpraca dopiero zaczyna się rozwijać, (...). Co roku włączamy się w obchody Światowego Dnia Delecji, tego dnia podświetlamy budynki (...).” Wywiad, Stowarzyszenie 22Q11 Polska

Opisane zjawisko wyjaśnia, dlaczego nawet małe OPCHRRZ, o liczbie członków nieprzekraczającej kilku osób, rzadko łączą się w zespoły krajowe reprezentujące wiele CHRZ, lecz szukają wsparcia w strukturach organizacji europejskich i międzynarodowych. W ten sposób powstają patronackie organizacje paneuropejskie typu „parasol”, stanowiące platformę do współpracy i kontaktów z OPCHRRZ działającymi w różnych krajach europejskich czy światowych. Właśnie takimi kanałami transferowana jest unikalna wiedza praktyczna, kliniczna i instytucjonalna, równolegle zaś odbywa się wymiana produktów i usług służących wsparciu osób chorych, takich jak wyroby medyczne do pielęgnacji a nawet trudnodostępne leki:

„...byłam świadkiem, gdzie jedno stowarzyszenie poszukiwało pomocy w sprawie żywienia dojelitowego dla nowego, bardzo chorego dziecka, więc z innych stowarzyszeń pomogli”. Wywiad, Stowarzyszenie Chorych na Mastocytozę

Praktycznie wszystkie badane OPCHRRZ mają swoją reprezentację i planują intensyfikację aktywności w strukturach międzynarodowych. Budowanie ponadnarodowej wspólnoty z CHRZ jest wpisane w ich strategię rozwoju. Krajowe grupy poprzez swoje międzynarodowe struktury patronackie pośrednio uczestniczą w pracach Eurordis, który zapewnia dialog z Komisją Europejską i światowymi ekspertami medycyny [20, 21]. OP międzynarodowe typu parasol zrzeszają organizacje krajowe, ale wyjątkowo akceptują także indywidualnych pacjentów. Dotyczy to krajów o bardzo małej populacji, jak Litwa, Łotwa, Estonia, czy odmiennych normach kulturowych i prawnych (kraje arabskie).

Paneuropejskie organizacje w 90% przypadków reprezentują i działają na rzecz jednej CHRZ. Swoje siedziby mają w różnych krajach: Wielkiej Brytanii, Holandii, Austrii i podlegają ustawodawstwu danego kraju. Lokalne regulacje determinują więc formę prawną, strukturę organizacyjną, ale strategia i taktyka pozostaje wspólna. Trzeba podkreślić, że europejskie stowarzyszenia patronackie z reguły zalecają, aby jedna OPCHRRZ reprezentowała dany kraj. Jeśli działa więcej niż jedna, wtedy obowiązuje zasada „jeden głos na kraj”. Wymusza to budowanie relacji i współpracę między grupami reprezentującymi tę samą chorobę na poziomie kraju, co potwierdza cytat:

„Staramy się mieć jedną grupę w każdym kraju. (...) pomaga to utrzymać zasoby w centralnym miejscu i w ten sposób mieć większy wpływ”. wywiad Debra International (tłumaczenie z jęz. ang.)

Międzynarodowe organizacje patronackie koncentrują się zarówno na sprawach bieżących, jak i realizacji długofalowych projektów. Powszechną praktyką jest opracowywanie raportów potrzeb i analizy opinii członków na poziomie kraju, często inicjowane i integrowane centralnie. Krajowe OPCHRRZ odwzorowują zadania struktur paneuropejskich, przy czym ich działania z jednej strony stanowią kontynuację działań ogólnych, z drugiej – zapewniają oddolne zaplecze pomysłodawcze:

„Czasami jest tak, że powielamy, czasami adoptujemy międzynarodowe pomysły. Dzięki wsparciu IPOPE finansujemy nasze działania”. Wywiad, Stowarzyszenie na Rzecz Osób z Niedoborami Odporności Immunoprotect

„Jesteśmy organizacją patronacką dla organizacji krajowych. Bardzo ważne jest, abyśmy się spotykali, ponieważ możemy się wiele nauczyć od siebie. To, co robimy w kraju, projekty, które tworzymy, możemy dzielić między sobą, tłumaczyć treści itd. Wpływamy na siebie pozytywnie i pobudzamy do aktywności. Tak więc z jednego pomysłu może rodzić się inny, to idzie dalej, niż może się wydawać”. Wywiad, Debra International (tłumaczenie z jęz. ang.)

Udział w tworzeniu wiedzy praktycznej i instytucjonalnej pomaga tworzyć sprawdzony model działania, a także wdrażać strategiczne plany rozwoju bazujące na regulacjach polityki zdrowotnej inicjowanej na poziomie unijnym. Wszystko ukierunkowane jest na maksymalizację korzyści wspólnoty pacjentów.

Rola koalicji i aliansów w realizacji celów

W Polsce większość OPCHRRZ uczestniczy w pracach krajowych federacji parasolowych, takich jak Federacja Pacjentów Polskich czy Krajowe Forum Orphan. Jednocześnie 31 OPCHRRZ działa pod flagą swojej CHRZ w strukturach EURORDIS [15]. Taka macierzowa afiliacja, mimo pozornej złożoności, podnosi wiarygodność i legitymizuje wspólnotę.

Badanie pokazuje, że na poziomie krajowym samodzielne istnienie OPCHRRZ jako pojedynczej wspólnoty losu łączy się z korzyściami zarówno na polu budowania relacji z otoczeniem, jak i gromadzenia środków finansowych. Są jednak obszary, gdzie z przyczyn geo-demograficznych czy społecznych działa więcej niż jedna OPCHRRZ. Taka sytuacja grozi konkurowaniem o zasoby i wymusza opracowanie odpowiedniej strategii współdziałania.

„Jeśli ktoś ma problem z lekami, to generalnie Stowarzyszenie Immunoprotect zawsze znajdzie jakieś rozwiązanie, bo oni walczą tak globalnie dla wszystkich o dostęp do leczenia.

A my się bardziej indywidualnie, my zajmujemy indywidualnymi przypadkami. Natomiast konkurujemy o te same firmy farmaceutyczne, które produkują leki. Konkurujemy o ten sam fundusz xx, który daje organizacjom pacjentom określone środki. No i konkurujemy, tak wyczuwam, o jakieś relacje z lekarzami”. Wywiad, Fundacja Wymarzona Odporność

Do nawiązywania współpracy i tworzenia koalicji najczęściej skłania pojawienie się w pewnym horyzoncie czasowym leku na daną chorobę [19, 20]. Jest to sygnał do mobilizacji sił, przełamania nieufności i budowania zaufania, które zgodnie z myślą Ostrom i Ahn [18, 24] stanowi kluczowy element kapitału społecznego grupy, niezbędny do inicjacji działania zbiorowego:

„Społeczność nam ufa. Jesteśmy jedną z fundacji, takich, którym nasi podopieczni ufają, tutaj nie odchodzi jakaś prywata, nie odchodzi jakieś przekręcanie, tylko działamy wszyscy wspólnie. Po pierwsze, staramy się na bieżąco rozwiązywać problemy, przed jakimi stoi nasza społeczność. Drugie to, że staraliśmy się włączać szerszą społeczność w nasze działania, mówiliśmy: »Słuchajcie, pomóżcie, kto może pomóc, kto zna kogoś, żeby nam pomóc«”. Wywiad, Fundacja SMA

Jeśli po oszacowaniu kosztów i strat okazuje się, że własne siły i zasoby nie wystarczają, a dalsze konkurowanie zwiększa ryzyko porażki, dochodzi do współpracy w ramach walki o wspólne dobro, którym jest dostęp do leku [19]. Motorem do budowania koalicji bywają bariery zewnętrzne w postaci nieprzychylności interesariuszy do aktywizacji OPCHRZ. Taka sytuacja – paradoksalnie – sprzyja jednoczeniu sił w obliczu wspólnego wroga:

„Kiedy była walka o lek X, nie byliśmy formalną fundacją, ale połączyliśmy nasze siły z Fundacją XXX. Robiliśmy konferencje, naradzaliśmy się, co możemy wspólnie zrobić, żeby zadziałało. Wspólnie stworzyliśmy pismo, które opublikowaliśmy na FB, które to pismo dużo ludzi dalej wysyłało do MZ. I zadziałało”. Wywiad, Fundacja StopDuchenne

„Przez wiele lat PTWM i Matio działały obok siebie, realnej współpracy między nami faktycznie nie było. Zarówno my, jak i Matio realizowaliśmy swoje cele i docieraliśmy z różnymi formami pomocy do swoich podopiecznych. Na przestrzeni lat nie przeszkadzaliśmy sobie, nigdy nie konkurowaliśmy ze sobą. W momencie jak zmienił się obraz – powstały leki przyczynowe, które z jednej strony są ogromną szansą dla chorych, z drugiej ogromnym wyzwaniem, bo to bardzo drogie terapie jak to w CHRZ, postanowiliśmy wtedy nasze siły połączyć. W 2019 powstał więc taki parasol skupiający nasze organizacje – powstała koalicja na rzecz walki o leki przyczynowe”. Wywiad, Polskie Towarzystwo Walki z Mukowiscydą

Tworzone w ten sposób koalicje OPCHRZ, bazujące na wspólnocie interesów, potrafią maksymalizować swoją użyteczność w ramach rozszerzenia sieci relacji, wywierania wspólnie presji medialnej i politycznej, co sprawia, że zwiększają się szanse na dostęp do leku i poprawę opieki zdrowotnej. Dzięki kompetencjom i wiedzy ich członków zapewniają bardziej komplementarne usługi, na czym korzystają chorzy. Jednocześnie presja międzynarodowych organizacji patronackich skłania do integracji na poziomie krajowym. Przeszkodą w budowaniu koalicji bywa uprzednie konkurowanie lub animozje personalne. Izolacja nie służy interesom wspólnoty. Braki przywództwa, niedostrzeganie synergii hamuje rozwój. Takie sytuacje zdarzają się bez względu na geodemografię, o czym mówi rozmówca:

„Mamy przypadki rynków w Europie, gdzie tworzy się druga organizacja równoległa, która uważa, że trzeba działać inaczej, czy to Włochy, Francja czy Wielka Brytania. Tam była wojna podjazdowa między organizacjami. W Rumunii i Ukrainie potworzyła się konkurencja. Nam udało się społeczność całą zjednoczyć tak, że wszyscy mówimy niejako jednym głosem, bo ludzie zaufali, czuli, że działamy dla nich”. Wywiad, Fundacja SMA

Z czasem w efekcie profesjonalizacji uwidacznia się więcej mechanizmów ukierunkowanych na współpracę, czemu w przypadku OPCHRZ nie towarzyszy ryzyko rozmycia tożsamości.

Stosunkowo nowym trendem jest konkurowanie o zasoby finansowe z fundacjami aktywistów (w teorii Hansmanna określanymi jako „fundacje przedsiębiorcze”), których cel stanowi zbieranie środków finansowych na indywidualną pomoc podopiecznym, nie zaś kompleksowe wsparcie członków na zasadzie wzajemności [22, 27]. Ich model funkcjonowania różni się zasadniczo od tego reprezentowanego przez OPCHRZ, bliższy jest działalności biznesowej i spotyka się z ambiwalentną oceną wielu liderów OPCHRZ.

WNIOSKI

Wynik aksjologicznych i normatywnych podstaw działania OPCHRZ ma istotne znaczenie dla interpretacji genezy, celów i efektów ich działania. Koncepcja wspólnoty losu uzasadnia ogromne znaczenie relacji wewnątrz grupy decydujących o budowaniu silnych więzów na fundamencie afiliacji chorobowej, czynnika często pomijanego przez wcześniejszych badaczy tematu. Jednoczenie się chorych pod nazwą własnej CHRZ oddziałuje pozytywnie wewnętrznie i pozwala budować unikalną tożsamość organizacyjną. Członków łączą ścisłe i trwałe relacje, dzięki czemu tworzą wspólnotę opartą na zaufaniu i empatii. W myśli Ostrom taki model funkcjonowania wynika z koncepcji kapitału społecznego, stanowiącego fundament zbiorowego działania [18].

Relacje terapeutyczne stanowią fundament angażowania się chorych i odzwierciedlają naturę działania organizacji. Zaspakajają potrzebę empatii, solidarności i bezpieczeństwa, pomagają w budowaniu wspólnoty losu, jaką stanowią OPCHRZ. Mobilizują pozostałych członków, a także „wolnych strzelców” (osoby chore, ale niezrzeszone), dzięki czemu rośnie liczebność grupy i jej potencjał dostarczania lepszych usług w wymiarze społecznym i ekonomicznym. Absencja lekarzy w strukturach OPCHRZ odzwierciedla homogeniczność grupy i nie pozostaje bez wpływu na ukierunkowanie aspiracji.

Świadomość rzadkości choroby wzmacnia afiliację i sprzyja internacjonalizacji. Homogeniczność grupy stanowi fundament tożsamości organizacyjnej, która pełni ważną rolę w komunikacji i budowaniu relacji z interesariuszami, umożliwiając klarowną identyfikację grupy w otoczeniu. Współpraca międzynarodowa i internacjonalizacja OPCHRZ w obrębie swojej CHRZ tworzą naturalny kierunek ich rozwoju. Można twierdzić, że wraz z postępowaniem medycyny i farmakologii rośnie liczba nowych organizacji OPCHRZ, a także ich homogeniczność w wyniku różnicowania i wyodrębniania wspólnot o afiliacji jednorodnej. Proces jest zauważalny od blisko 20 lat, czego dowodem jest przewaga modelu afiliacji jednorodnej wśród nowo powstających OPCHRZ, co

przyczynia się do wertykalnego rozwoju OPCHRRZ w ramach struktur międzynarodowych.

Afiliacja krajowa i międzynarodowa wspiera rozwój w długim horyzoncie czasowym, umożliwia gromadzenie oraz transfer wiedzy praktycznej i instytucjonalnej. Poprzez internacjonalizację OPCHRRZ uczą się dobrych praktyk, norm legislacyjnych i organizacyjnych sprawdzonych w innych krajach. Wiedza taka podlega adaptacji na poziomie krajowym, co sprzyja profesjonalizacji i podnosi efektywność działań. Jednocześnie wiedza legitymizuje OPCHRRZ w interakcjach z instytucjami regulatorowymi, opinią publiczną i innymi interesariuszami systemu zdrowia [23, 25]. Łączenie się w struktury ponadnarodowe pozwala przełamać barierę małej liczebności pacjentów z CHRRZ, wzmacniając ich siłę społeczno-polityczną. Tożsamość OPCHRRZ wyznacza model ich funkcjonowania, który sprzyja kopiowaniu sprawdzonych wzorców działania, determinuje tworzenie sieci relacji z interesariuszami systemu zdrowia w kraju i za granicą, a nawet wpływa na politykę lekową państwa.

PIŚMIENICTWO

1. The Lancet Global Health. The landscape for rare diseases in 2024. *Lancet Glob Health*. 2024;12(3):341. doi:10.1016/S2214-109X(24)00056-1
2. What is a rare disease? EURORDIS-Rare Diseases Europe. <https://www.eurordis.org/information-support/what-is-a-rare-disease/> (access: 2026.05.23).
3. Braga LAM, Conte Filho CG, Mota FB. Future of genetic therapies for rare genetic diseases: what to expect for the next 15 years? *Ther Adv Rare Dis*. 2022;3:26330040221100840. doi:10.1177/26330040221100840
4. Rada Ministrów przyjęła Plan dla Chorób Rzadkich na lata 2024–2025 – Ministerstwo Zdrowia. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/rada-ministrow-przyjela-plan-dla-chorob-rzadkich-na-lata-2024-2025>. (access: 2026.04.25).
5. Domike R, Raju GK, Sullivan J, Kennedy A. Expediting treatments in the 21st century: Orphan Drugs and accelerated approvals. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2024;19(1). doi:10.1186/s13023-024-03398-1
6. Dumbuya JS, Zeng C, Deng L, et al. The impact of rare diseases on the quality of life in paediatric patients: Current status. *Frontiers in Public Health*. 2025;13. doi:10.3389/fpubh.2025.1531583
7. Claessens Z, Vanneste A, Van Isterdael C et al. Criteria to evaluate unmet health-related needs of persons living with rare diseases and their caregivers: Rapid Literature Review and stakeholder consultations. *Orphanet Journal of Rare Diseases*. 2025;20(1). doi:10.1186/s13023-025-03838-6
8. Al-Attar M, Butterworth S, McKay L. A quantitative and qualitative analysis of patient group narratives suggests common biopsychosocial red flags of undiagnosed rare disease. *Orphanet J Rare Dis*. 2024;19:172. doi:10.1186/s13023-024-03143-8 20:321
9. Klein Haneveld MJ, Vyshka K, Gaasterland CMW, et al. 'Mind the Gap'-A Survey on Care Gaps and Priorities for the Transition to Adult Healthcare According to Caregivers of Young People with Rare Conditions Associated with Intellectual Disability. *J Intellect Disabil Res*. 2025. doi:10.1111/jir.13229
10. Eurordis Rare Diseases Europe. (n.d.). Who are we Members. Retrieved from <https://www.eurordis.org/> (access: 2026.02.02).
11. Bowles J, Clifford D, Mohan J. The place of charity in a public health service: Inequality and persistence in charitable support for NHS trusts in England. *Social Science & Medicine*. 2023;322.
12. Mavris M, Le C. Involvement of patient organisations in research and development of orphan drugs for rare diseases in Europe. *Syndromol*. 2020;3(5):237–243.
13. Stasiewicz-Swinney A. Pacjent w systemie ochrony zdrowia. In: Haczyński J, Skrzypczak Z, editors. *Ochrona zdrowia i gospodarka. Przegląd współczesnych problemów systemu opieki zdrowotnej*. Warszawa: Sekcja Wydawnicza Wydziału Zarządzania Uniwersytetu Warszawskiego; 2022. p. 95–120.
14. Briscoe F, Gupta A. Social Activism in and Around Organisations. *The Academy of Management Annals*. 2016;10(1):671–727.
15. Członkowie. Orphan Krajowe Forum na rzecz terapii chorób rzadkich. <https://rzadkiechoroby.org/czlonkowie/> (access: 2026.02.11).
16. Kociatkiewicz J, Kostera M. Zaangażowane badania jakościowe. *Problemy Zarządzania*. 2013;1(1):9–17.
17. Bryda G. CAQDAS a badania jakościowe w praktyce. *Przegląd Socjologii Jakościowej*. 2014;10(2):12–38.
18. Potteet A, Janssen MA, Ostrom E. *Working Together: Collective Action, the Commons, and Multiple Methods in Practice*. Princeton: Princeton University Press, 2010.
19. Belančić A, Gkrinia EM, Likić R, Vitezić D. Navigating challenges and opportunities in orphan medicines: A spotlight commentary on rare diseases. *Br J Clin Pharmacol*. 2025;91(4):1084–1087. doi:10.1002/bcp.70013
20. Gonzato O, Gronchi A. The evolving role of patients advocates in rare cancers: Opportunities and challenges. *Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research*. 2019;19(1):1–3. <https://doi.org/10.1080/14737167.2019.1526083>
21. Gentilini A, Neez E, Wong-Rieger D. Rare Disease Policy in High-Income Countries: An Overview of Achievements, Challenges, and Solutions. *Value in Health*. 2025;28(5):680–685. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2024.12.009>.
22. Goes AR. Advocacy for Health and Health Equity: A Call to Public Health Professionals. *Port J Public Health*. 2025;43(1):1–4. <https://doi.org/10.1159/000545038>
23. Sommer N, Klug J. Knowledge Helps: Handling Rare Diseases in Regular Schools. *Contin Educ*. 2024;5(1):22–30. doi:10.5334/cie.99
24. Zamora-Bonilla J. Public choice versus social choice as theories of collective action. In: Kincaid H, Van Bouwel J, editors. *Oxford Handbook of Philosophy of Political Science*. Oxford: Oxford University Press; 2023. p. 141–188.
25. Władysław M, Libura M, Rolska-Wójcik P, Plisko P. Rola organizacji pacjentów w systemach opieki zdrowotnej w Polsce i na świecie. Warszawa: Raport Pacjenci Pro; 2021.