

✖ Medexpress, 2019-06-21 13:30

Leku na chorobę Fabry'ego nie ma w nowym projekcie wykazu leków refundowanych

✖

Fot. Getty Images/iStockphoto

Maleją szanse, że po 18 latach oczekiwania na leczenie chorzy na chorobę Fabry'ego w Polsce będą mieli od lipca refundowaną terapię. Leku, którego refundacji wyczekują zarówno udręczeni chorzy, jak i bezradni lekarze, nie ma w opublikowanym dziś projekcie nowej listy refundacyjnej.

Polska to jedyny kraj w UE, w którym dotknięci chorobą Fabry'ego nie mają refundowanego leczenia. Maciej Miłkowski, wiceminister zdrowia podczas Szczytu Zdrowie 12 czerwca br. poinformował, że resort pracuje nad wprowadzeniem nowych terapii do refundacji, a jedną z nich jest leczenie choroby Fabry'ego.

Leczenie celowane

Cierpiący na ultraradką genetyczną chorobę Fabry'ego zmagają się z niewydolnością nerek oraz wielokrotnymi udarami i zawałami serca, które są najczęstszą przyczyną zgonu wśród nieleczonych. Ich organizm nie produkuje jednego z enzymów lizosomalnych alfa-galaktozydazy odpowiadającego za rozkład tłuszczów, przez co w tkankach układu nerwowego i krwionośnego gromadzą się szkodliwe substancje. - Choroba Fabry'ego jest jedną z niewielu wśród rzadkich, którą można skutecznie leczyć poprzez dostarczenie brakującego enzymu. Leczenie dostępne jest od wielu lat we wszystkich krajach UE, z wyjątkiem Polski. Jest to tzw. leczenie celowane, w związku z tym absolutnie skuteczne - podkreśla prof. Michał Nowicki, kierownik Kliniki Nefrologii Hipertensjologii i Transplantologii Nerek Uniwersytetu Medycznego w Łodzi.

Nadzieja chorych

- Terapia ma pozytywną ocenę AOTMiT, czyli nie ma formalnych przeszkód, żeby ministerstwo zdecydowało o refundacji, zapewne w ramach programu lekowego, tak jak to jest w przypadku innych chorób lizosomalnych - mówi prof. Jolanta Sykut-Cegielska, konsultant krajowa w dziedzinie pediatrii metabolicznej. Dodaje, że lekarze czują się bezradni wiedząc, że jest skuteczny lek, a oni nie mogą go zastosować. - Pamiętajmy, że istniejące leki na tę chorobę mają już swoje lata. Ich ceny spadają. Trzeba zatem poszukiwać konsensusu pomiędzy Ministerstwem Zdrowia a producentem - mówi Mirosław Zieliński, prezes Krajowego Forum na Rzecz Terapii Chorób Rzadkich. - 18 lat oczekiwania na terapię to zbyt długo. Pamiętajmy, że wśród nowo zdiagnozowanych chorych są również dzieci, które z dnia na dzień tracą szansę na ograniczenie niszczących zdrowie skutków choroby - podkreśla Anna Moskal, prezes Stowarzyszenia Rodzin z Chorobą Fabry'ego.

Powrót do normalności

Terapia, zgodnie z danymi z 2016 r., dotyczy ponad 70 pacjentów. Obecnie zaledwie ponad dwudziestu z nich korzysta z leczenia w ramach tzw. programu charytatywnego prowadzonego na koszt producenta. Chorzy ci podkreślają, że dzięki terapii mogą normalnie żyć. - Jestem przykładem osoby, która otrzymała leczenie. Dzięki niemu mogę normalnie funkcjonować. Od kiedy dostałam enzymatyczną terapię zastępczą moje życie odmieniło się diametralnie. Jestem osobą czynną

zawodową oraz społecznie. Nie mam już takich bólów jak poprzednio i mogę prowadzić normalne życie - opowiada Krzysztofa Gołembiewska ze Stowarzyszenia Rodzin z Chorobą Fabry'ego.

Projekt obwieszczenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, który wejdzie w życie 1 lipca 2019 r. znajduje się [tutaj](#).

Ministerstwo Zdrowia prosi o zgłaszanie ewentualnych uwag do projektu wyłącznie w wersji elektronicznej na adres e-mail: wykazy-uwagi@mz.gov.pl do 25.06.2019 r. do godz. 12.00 (wtorek).