

 Medexpress, 2019-12-30 08:46

Największa w historii polskiego crowdfundingu zbiórka na leczenie zakończyła się sukcesem



Fot. MedExpress TV

Internauci przekazali ponad 9 mln zł na terapię genową dla Alexa Jutrzenki, półrocznego chłopca u którego zdiagnozowano SMA1.

Alex nie jest jedynym dzieckiem, dla którego na portalu siepomaga.pl zbierane są środki na terapię genową, dostępną w tej chwili wyłącznie w USA (w Unii Europejskiej zostanie ona dopuszczona do obrotu prawdopodobnie wiosną 2020 roku). Koszt terapii to 2,5 mln dolarów, co sprawia, że jest to najdroższy lek świata. W tej chwili otwartych jest jeszcze sześć innych zbiórek, przede wszystkim dla dzieci z najcięższą postacią choroby. Pewną szansą dla dzieci jest uruchomienie przez producenta globalnego programu dostępu, co nastąpi 2 stycznia 2020 roku. Producent terapii genowej zapowiedział udostępnianie rocznie (program jest anonsowany jako wieloletni) stu dawek leku dla dzieci z całego świata, poza USA. Zgłoszone przez lekarzy prowadzących (nie przez rodziców!) i spełniające kryteria medyczne dzieci będą losowane przez powołaną komisję. Lek ma być podawany w wyspecjalizowanych ośrodkach również poza Stanami Zjednoczonymi.

Alex swoją szansę otrzymał już teraz. - Świąteczny cud dla Alexa ziścił się na naszych oczach! To właśnie w Wigilię, stało się coś niesamowitego - wspólnie zakończyliśmy historyczną zbiórkę na ocalenie życia małego chłopca, chorego na SMA! Mamy ponad 9 milionów złotych! - napisali przedstawiciele portalu crowdfundingowego, dziękując zaangażowanym w przedsięwzięcie użytkownikom. Pieniądze na leczenie chłopca przekazało ponad 172 tysiące osób.

Alex Jutrzenka i jego rodzice polecą do Stanów Zjednoczonych najprawdopodobniej na początku stycznia. Sukces terapii genowej, z której mogą skorzystać dzieci do ukończenia 2. roku życia, jest tym bardziej prawdopodobny, im szybciej zostanie ona podana.

Alex po diagnozie i potwierdzeniu, że cierpi na rdzeniowy zanik mięśni, został włączony do programu leczenia nusinersenem, pierwszym i jedynym do tej pory dostępnym w Europie lekiem na SMA. Lek otrzymuje w Polsce ok. 60 proc. chorych na SMA - Ministerstwo Zdrowia chce, by jak najszybciej, być może już w nadchodzącym roku objęta leczeniem była cała populacja.

Priorytetem dla urzędników i lekarzy jest przygotowanie programu badań przesiewowych w kierunku SMA, którym poddawane byłyby wszystkie noworodki. Wcześniej będzie musiał prawdopodobnie zostać przeprowadzony pilotaż, ale eksperci oceniają, że Polska - która ma jeden z najlepszych i najszerszych paneli badań przesiewowych noworodków - mogłaby wprowadzić powszechny przesiew nawet w 2021 roku, jeśli zostałyby zagwarantowane jego finansowanie. Do potwierdzenia diagnozy SMA konieczne są badania genetyczne. Nusinersen podany przedobjawowo nie dopuszcza do rozwoju choroby i sprawia, że dziecko ze SMA - również z najcięższym typem tej choroby - rozwija się „książkowo”.