

 Medexpress, 2021-04-19 09:41

SMA: kolejne dobre wieści dla pacjentów

Kiedy rozmawialiśmy z Kacprem Rucińskim (Fundacja SMA), w Warszawie padał deszcz. W Wielkiej Brytanii świeciło słońce. I oby aura nadal sprzyjała pacjentom z SMA. Przy dobrych wiatrach dziecko pozostanie dzieckiem, a nie pacjentem, a Polska nadal będzie w czołówce europejskiej opieki nad pacjentami z rdzeniowym zanikiem mięśni. - To powinno się udać - mówi Kacper Ruciński.

SMA to postępująca choroba nerwowo-mięśniowa. Jest jedną z nielicznych chorób rzadkich, którą można skutecznie leczyć. Przypomnijmy, że jeszcze nie tak dawno opieka nad pacjentami ograniczała się do leczenia objawowego tj. fizykoterapii czy leczenia ortopedycznego. Sytuacja chorych w Polsce, po refundacji pierwszej technologii lekowej modyfikującej przebieg choroby, uległa znaczącej poprawie. Kolejnym krokiem jest terapia, która ma potencjał, aby doprowadzić do tego, że SMA niemalże przestanie istnieć.

Terapia genowa znalazła się na liście leków o wysokim poziomie innowacyjności Funduszu Medycznego. Przeszła również przez kolejne sito i ma pozytywną opinię Rady Przejrzystości. Co to oznacza dla pacjentów i ich rodzin?

To rewelacyjna wiadomość. Oznacza, że w Polsce jest duża szansa na pojawienie się drugiej refundowanej opcji terapeutycznej, wyjątkowo skutecznej zwłaszcza u dzieci na wczesnym etapie choroby. I łączy się ona bardzo dobrze z wdrożeniem badań przesiewowych w kierunku SMA u noworodków. Program ten w tym tygodniu ruszył w województwie mazowieckim. Dziecko zdiagnozowane przedobjawowo, które dostanie terapię genową, będzie mogło funkcjonować jak zdrowe dziecko, nie będzie pacjentem, który żyje ze świadomością ciężkiej choroby i który musi regularnie jeździć do szpitala na zastrzyki, nieraz bardzo daleko. W świetle dostępnych danych większość dzieci, które otrzymają terapię genową odpowiednio wcześnie, będzie funkcjonować tak jak dzieci zdrowe. Praktycznie – będą zdrowe. Oczywiście będą zdarzały się też niemowlęta z genotypem powodującym wyjątkowo ostry przebieg SMA i mimo wczesnego leczenia, jakieś objawy mogą się u nich ujawnić, jednak nawet u nich leczenie genowe jest najlepszą opcją i daje nadzieję na życie jak najbardziej normalne.

Jak będzie wyglądać przyszłość chorych pacjentów i ich rodzin przy „dobrych wiatrach”?

Potrzebna jest współpraca wszystkich środowisk, żeby Polska zachowała jedno z czołowych miejsc w Europie, jeśli chodzi o leczenie SMA. Bo jako jedni z pierwszych mamy już przesiew noworodków, bardzo szeroką dostępność leczenia i teraz, trzymajmy kciuki, kolejną terapię. Przy dobrych wiatrach pacjenci z SMA w Polsce będą uzyskiwali dostęp do wszystkich bezpiecznych i skutecznych opcji terapeutycznych w miarę, jak powstają i wchodzą do standardu leczenia. I też jakość opieki medycznej, wielospecjalistycznej będzie rosła. Widzimy już ogromną poprawę na przestrzeni ostatnich lat, nadal jednak nadal brakuje nam trochę do krajów z lepiej zorganizowanymi systemami ochrony zdrowia.

Dlatego kolejnym ważnym punktem jest opieka koordynowana, na którą bardzo Państwo liczą...

Tak. Jest to kluczowe, aby w leczeniu SMA wprowadzić model opieki koordynowanej. Chyba podobnie

jak w wielu innych chorobach rzadkich. Obecnie pacjent często na własną rękę organizuje sobie leczenie u różnych specjalistów, system jest rozdrobniony, brakuje koordynacji. Trochę na wzór dawnej administracji państwowej – pacjent biega od okienka do okienka, ustawia się w długich kolejkach, często tylko po to, aby otrzymać kolejny dokument z pieczętką i skierowanie do kolejnego okienka – bo „system” tego wymaga, bo jeden urzędnik nie wie, co zdecydował inny itp. Nikt nie ogarnia całości procesu. I pacjent kombinuje, jak sobie tę ścieżkę skrócić, czasem z korzyścią, ale często ze szkodą dla procesu leczenia... Tymczasem nowoczesny system musi być budowany nie wokół szpitali-urzędów, a wokół pacjenta oraz całościowo określonej ścieżki leczenia w danej chorobie, ze szczególnym uwzględnieniem światowych standardów oraz wytycznych polskich i międzynarodowych towarzystw naukowych. Lekarze są na to gotowi, pacjenci na to czekają – tylko czy znajdzie się ktoś odważny, żeby przeprojektować system?