



Medexpress, 2019-06-13 11:09

Choroby rzadkie: Nie chcemy więcej niż mają inni. Chcemy tylko wyrównania szans



Fot. MedExpress TV

- Jeśli chodzi o przypadek choroby Fabry'ego Polska jest ewenementem, ponieważ nie leczy tej choroby w przeciwieństwie do całej Unii, która od lat już to robi - mówi Mirosław Zieliński, prezes Krajowego Forum na Rzecz Terapii Chorób Rzadkich.

Narodowy Program Chorób Rzadkich - na jakim etapie jesteście?

Jesteśmy w zasadzie na przejściowym etapie, bo zespół ds. chorób rzadkich, któremu było powierzone napisanie planu, finalny dokument przekazał ministrowi. Trwające dalej prace wewnątrz resortu zostały zwieńczone przyjęciem projektu planu przez kierownictwo Ministerstwa. Niedawno, w Senacie na konferencji poświęconej chorobom rzadkim, minister Zbigniew Król zapowiedział rychłą publikację tego projektu do konsultacji publicznych. W dalszej ścieżce planuje się, że dokument ten zostanie przyjęty przez radę ministrów i zacznie obowiązywać. To jest pewna strategia, która niesie rozwiązania w postaci dwuletnich planów operacyjnych.

Co zawiera ta strategia?

Członkowie zespołu ds. chorób rzadkich już dostali w swoje ręce ten dokument. Jednym z newralgicznych punktów bolącym środowisko pacjenckie (myślę, że też lekarskie) jest fakt, że kwestia lekowa jest pomijana w planie. Jest o to strach. Zgłosiłem ten problem ministrowi Szumowskiemu. Zapewnił mnie, że obawy, które wyraziliśmy są brane pod uwagę i że wszystkie te zmiany, o które postulujemy, zostały zawarte w nowelizacji ustawy refundacyjnej, obecnie również przygotowywanej. Czy do tego dojdzie? Nie wiem. Nie znam nikogo, kto dałby sobie rękę uciąć za to, że ustawa w proponowanym kształcie stanie się „ciałem”.

Jak Pan ocenia podejście decydentów do chorób rzadkich?

Podejście do chorób rzadkich w Polsce kuleje. Nie idzie w ślad za egalitaryzmem, zaszczerpionym w rozporządzeniu 141, które mówi, że choroby rzadkie objęte są priorytetem zdrowotnym UE, a egalitaryzm polega na podźwignięciu chorób rzadkich i ich leczenia oraz opieki socjalnej z zapaści, której tkwią. Nie chcemy więcej niż mają inni. Chcemy tylko wyrównania szans. Jeżeli chodzi o samą politykę zdrowotną w Polsce w odniesieniu do chorób rzadkich, to dzieje się dużo rzeczy pozytywnych. Nie możemy ślepo dudnić, że nic się tu nie robi, bo mimo braku rozwiązań prawnych chociażby po stronie refundacji, one się stają. W grudniu mieliśmy przyjętą refundację leczenia pacjentów z SMA, podobnie z białaczką przewlekłą czy szpiczakiem plazmocytowym. To rzeczy, które należy dostrzegać. Powstają ośrodki referencyjne, co prawda jeszcze bez finansowania punktowego dla chorób rzadkich, ale generalnie wszystko zmierza ku lepszemu. Każdy już dziś wie, że choroby rzadkie nie są już wcale takie rzadkie i że trzeba z tym problemem w skali całego systemu coś zrobić, by wyrównać wszystkim szanse.

Jakie są zatem najpilniejsze potrzeby pacjentów z chorobami rzadkimi. Wspomniał Pan, że są pozytywne decyzje refundacyjne, ale są takie choroby, jak choroba jak Fabry'ego, gdzie pacjenci od już 18 lat czekają na lek...

Jeśli miałabym generalnie mówić o problemach chorób rzadkich, to w zasadzie każdy obszar objęty narodowym planem musi coś zrobić, czy to będzie diagnostyka, czy wdrożenie rejestru chorób rzadkich, leczenie (w tym lekowe) oraz pomoc społeczna, której brak pacjenci szczególnie odczuwają. I aby doszło do tych zmian, potrzebna jest, zwłaszcza na poziomie medycznym, edukacja. W każdym z tych obszarów jest dużo do zrobienia. Jeśli chodzi o przypadek choroby Fabry'ego Polska jest ewenementem, ponieważ nie leczy tej choroby w przeciwieństwie do całej Unii, która od lat już to robi. Kiedyś, za panowania poprzedniego rządu, kwestionowano skuteczność tego leku, co wydawało się śmieszne, bo skoro wszystkie państwa leczą, to czy nasi rządzący byli głupszy? Trzeba było się dużo napracować, aby świadomość o tym, że lek jest w tej chorobie skuteczny, dotarła do decydentów. Oczywiście nie jest on tani i jak każda enzymatyczna terapia trudny do wytworzenia. Pamiętajmy, że istniejące leki na tę chorobę mają już swoje lata. Ich ceny spadają. Dlatego producent nie będzie „czardżował” ministra zdrowia, tak jak by był to początek nowo wynalezionej terapii. Trzeba zatem poszukiwać konsensusu pomiędzy MZ a producentem i zakończyć gehennę, jaką przechodzą pacjenci z chorobą Fabry'ego, czekając na terapię od 18 lat.