



Rafał Janiszewski, 2020-08-13 13:55

Przechytrzyć Pana Boga - zbiórki na najdroższy lek świata



Zaczął się od strażaka z Gaszyna, który wzruszył się losem chorego na SMA, półtorarocznego Wojtka Howisa. Jego zrozpaczeni rodzice prowadzili zbiórkę na kosztującą 9 mln zł Zolgensmę, najdroższy lek świata.

W połowie czerwca wszyscy w mojej Kancelarii robiliśmy pompki w ramach Gaszyn Challenge. Pogoda była ładna, wielu pompowało na świeżym powietrzu, wyszedł z tego radosny filmik, którego celem nie było jednak krzewienie kultury fizycznej, tylko zbiórka pieniędzy dla dzieci chorujące na rdzeniowy zanik mięśni

(SMA). Kilka lat temu świat oszalał na punkcie Ice Bucket Challenge, w którym znane osoby - politycy a wśród nich amerykańscy prezydenci, artyści czy gwiazdy sportu - oblewali się lodowatą wodą, by zwrócić uwagę społeczeństwa na chorych ze stwardnieniem zanikowym bocznym. Po latach Internauci wciąż ochoczo wylewali na siebie wodę, ale mało kto pamiętał, że pierwotnie chodziło o to, by na własnej skórze poczuć paraliżującą niemoc, jaką odczuwają chorzy na SLA, kiedy ich mięśnie oddechowe nie są w stanie już pracować. Nie chcę, by z naszymi pompkami stało się to samo, ponieważ sprawa jest arcyważna.

Życie w martwym ciele

Zaczął się od strażaka z Gaszyna, który wzruszył się losem chorego na SMA, półtorarocznego Wojtka Howisa. Jego zrozpaczeni rodzice prowadzili zbiórkę na kosztującą 9 mln zł Zolgensmę, najdroższy lek świata. Wojtek, podobnie jak dwóch Franków oraz Kacper, go otrzymał. Dziś o pomoc proszą rodzice kolejnych dzieci - m.in. Han, Mai, Zosi - a akcja Gaszyn Challenge rozlała się na cały kraj.

Rdzeniowy zanik mięśni to choroba rzadka, z którą każdego roku w Polsce rodzi się ok. 45 dzieci. Diagnoza brzmi jak wyrok. Z powodu wady genetycznej organizm nie produkuje białka odżywiającego neurony motoryczne, co prowadzi do ich obumierania. W efekcie kolejne mięśnie tracą całkowicie zdolność do skurczu. Dziecko rośnie, ale nie jest w stanie samodzielnie przełykać - a nawet kichnąć czy kaszlnąć - więc konieczne jest żywienie dojelitowe. Pojawiają się kolejne, potężne deficyty: kłopoty z oddychaniem, zastoiny w płucach. Przypomina to życie w martwym ciele.

W Polsce dzieci z SMA są leczone objawowo poprzez systematyczne uzupełnianie białka. Każdorazowe podanie leku to koszt 300 tys. zł. Dzieci są też rehabilitowane. Zasilanie jeszcze nie obumarłych neuronów pozwala częściowo wytworzyć ruchomość mięśni, jednak kompensacja zanikłych neuronów nie jest możliwa.

W publicznych zbiórkach rodzice chorych dzieci walczą o pieniądze na nierefundowane leczenie przyczynowe. Terapię, która odwraca mutację genu. Jedno podanie leku powoduje, że organizm sam produkuje odżywiające neurony białko. Każda zbiórka to wyścig z czasem, ponieważ również w tym przypadku obumarłych neuronów nie da się wskrzesić.

Przy podaniu leku w odpowiednim czasie efekty są spektakularne. Pierwszym dzieckiem, u którego zastosowano terapię genową w Polsce był Kacper. W trzy tygodnie po podaniu leku chłopiec zaczął podnosić się do raczkowania.

Przechrzyć Pana Boga

Kiedy razem z żoną włączyliśmy się w zbiórkę dla Kacpra jego rodzice chcieli leczyć synka w Stanach Zjednoczonych. Podobnie, jak wiele innych osób, byli przekonani, że nie wystarczy kupić amerykański lek, ale że terapia ich synka również musi się odbyć w Ameryce. Ja tak nie uważam. Mamy placówki i specjalistów, potrafiących leczyć w standardach światowych. To że są niedofinansowani, to zupełnie inna sprawa. Decydując się na leczenie w kraju - argumentowałem - zbiórka nie musi obejmować również kosztów przelotu do USA oraz półrocznego tam pobytu podczas terapii. Epidemia koronawirusa przypieczętowała decyzję rodziców Kacpra. Leczenia podjęła się prof. Magdalena Chrościńska-Krawczyk z Dziecięcego Szpitala Klinicznego w Lublinie. W ramach procedury importu docelowego minister zdrowia wydał zgodę na sprowadzenie leku. Wtedy pojawiło się pytanie: za ile? Ośmioprocentowy VAT oznaczał przecież konieczność zebrania dodatkowych kilkuset tysięcy złotych! Moja Kancelaria postanowiła zawalczyć, by Ministerstwo Finansów zniósło VAT na leki dla dzieci z SMA. Udało się. Czasowa regulacja, wprowadzona na czas epidemii, objęła lek zerową stawką VAT. W ten sposób udało się uratować Kacpra, a potem trzech kolejnych chłopców. Teraz walczymy o Maję. Czekają kolejne dzieci, których rodzice błagają w internetowych zbiórkach o pomoc w zebraniu 9 mln zł na ratowanie ich dzieci.

To astronomiczna kwota nie tylko w polskich realiach. Kiedy Zolgensma została zarejestrowana w Stanach Zjednoczonych, na produkującą go firmę farmaceutyczną spadła fala krytyki, a tamtejszy rząd usiłował negocjować cenę leku. Bezskutecznie. Firmy farmaceutyczne to korporacje globalne, prowadzące własną politykę. Windując ceny leków do często horrendalnych rozmiarów narażają się na zarzut działania wbrew etyce.

Uzasadniając swoje działania podnoszą, że wynalezienie, wyprodukowanie oraz przebadanie najnowocześniejszych leków pochłania ogromne koszty, które muszą przecież sobie zrekompensować. Oraz zarobić, by móc sfinansować kolejne badania. A to przecież właśnie terapia genowa uznawana jest dziś za przyszłość medycyny. Naprawianie zaprogramowanych w genach błędów, wydaje się urzeczywistnieniem marzenia o przechytrzeniu Pana Boga. Pęd w stronę terapii genowej jest ogromny między innymi w onkologii.

Do pewnego stopnia przyjmując argumenty firm, uważam, że cena leku dla dzieci z SMA jest stanowczo zbyt wysoka.

Skazani na zbiórki

Są oczywiście kraje, gdzie włączono go do refundacji. Najbardziej przyjazny dla pacjenta jest system niemiecki, gdzie każdy zarejestrowany w Unii Europejskiej lek jest dostępny dla obywateli. W Czechach o pacjenta rywalizuje kilka kas chorych. Jedna z nich również refunduje Zolgensmę.

Polski system refundacyjny jest niezwykle sztywny. O tym, które leki wchodzi do koszyka świadczeń decyduje minister zdrowia. Sam fakt, że dany lek jest zarejestrowany w Unii Europejskiej nie wystarczy. Przy ograniczonym budżecie jego „efektywność kosztową” oraz skutki zdrowotne dla populacji sprawdza jeszcze między innymi Agencja Oceny Technologii Medycznej. Przenosząc te rozważania na grunt dzieci z SMA można się zastanawiać, czy racjonalniejsze jest wydawanie na terapię chorych na rdzeniowy zanik mięśni dzieci systematycznie po 300 tys. zł, czy też jednorazowe opłacenie terapii przyczynowej za 9 milionów? Szczególnie, że naprawienie błędu genetyczny na wczesnym etapie życia dziecka mogłoby oznaczać, iż nie będzie już trzeba ponosić nakładów na jego rehabilitację oraz leczenie wynikłych z choroby, potężnych deficytów. Ministerstwo Zdrowia permanentnie negocjuje ceny leków z firmami farmaceutycznymi, gdzie ciekawe może być wykorzystanie tzw. instrumentu podziału ryzyka. Upraszczać polega to na tym, że jeśli lek nie przynosi spodziewanego efektu terapeutycznego, to firma farmaceutyczna - a nie ministerstwo - płaci za terapię. Firmy często zgadzają się na taki układ. Z pewnością zdecydowałyby się na to również producent terapii genowej na SMA - szczególnie, że skuteczność tej terapii jest imponująca - ale biorąc pod uwagę cenę leczenia i tak trudno prognozować, by w Polsce lek wszedł do refundacji.

Teoretycznie pozostaje jeszcze inne wyjście: jeśli terapia jest niezbędna by ratować życie pacjenta, szpital może wystąpić do ministra o zgodę na jej refundację w ramach Ratunkowego Dostępu do Terapii Lekowych. Problem jednak w tym, że taka zgoda nie oznacza dodatkowych pieniędzy dla placówki. Zapłacić musi sam szpital. Trudno oczekiwać od krajowych ośrodków, by ze swych - wciąż zbyt niskich budżetów - decydowały się na finansowanie terapii za 9 mln zł.

W tej sytuacji rodzice Mai, Hani i Zosi mogą polegać wyłącznie na zbiórkach i hojności instytucji oraz dobrych ludzi. W identycznej sytuacji są rodzice chorych dzieci w wielu krajach na całym świecie. Również ci w Ameryce.

Podobnie, jak czytelnikom Medexpress, mnie także każdego dnia wyskakują na Facebooku dziesiątki próśb o finansowe wsparcie. Chorzy zbierają na operacje za granicą, którą co prawda można wykonać w kraju, jednak oni są przekonani, że za wielką wodą otrzymają lepszą pomoc. Inni nie mogą się pogodzić z tym, że konwencjonalna medycyna nie jest w stanie przedłużyć im życia i proszą o pomoc w zbieraniu kwoty

niezbędnej by wylecieć do Nepalu, gdzie przyjmą rzadkie zioła, które uratują im życie. Walczą o nadzieję. Jeszcze inni proszą o pieniądze na naprawienie błędu genetycznego u swoich dzieci. Uważam, że nie ma potrzeb lepszych i gorszych. To, kogo decydujemy się wesprzeć zależy od naszej świadomości, od tego co uważamy za ważne, co nas wzrusza. Pomagając wierzymy, że dzięki naszej dobroci świat staje się odrobinę lepszy a i sami - wpłacając nawet kilka złotych - czujemy się lepszymi ludźmi.

W Gaszyn Challenge kto robi pompki wpłaca na dzieci z SMA 5 zł. Kto nie robi - 10 zł. Zawsze należy też nominować kolejne osoby.