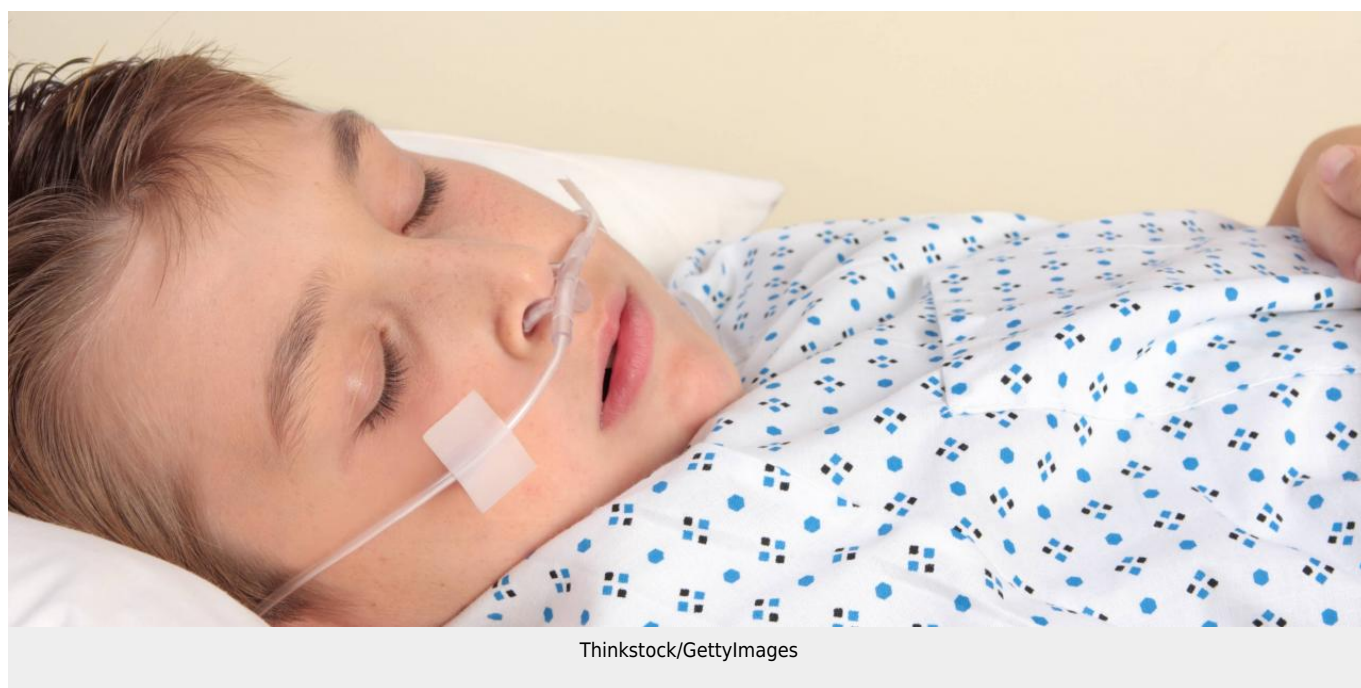




Medexpress, 2021-02-16 14:53

## Koniec programu lekowego? Pacjenci przerażeni



Thinkstock/GettyImages

Tegoroczny Światowy Dzień Chorób Rzadkich może być wyjątkowy. Wszyscy spodziewają się, że po latach oczekiwania zostanie ogłoszony Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich, który może odmienić życie wielu chorych. Tak jak decyzja o refundacji lub jej braku. W przeddzień, 15 lutego Ministerstwo Zdrowia opublikowało projekt marcowej listy leków refundowanych. Stało się to, czego obawiali się pacjenci z chorobą Pompego. Jedyne lekarstwo ratujące życie nie znalazło się w wykazie.

Jako pacjenci zmagający się z Chorobą Pompego, wyrażamy głębokie zaniepokojenie, wręcz strach o nasze życie, z powodu negatywnej opinii Komisji Ekonomicznej ws. przedłużenia decyzji refundacyjnej dla Myozyme, który regularnie przyjmujemy - piszą w liście do Ministerstwa Zdrowia pacjenci wraz z rodzinami.

Choroba Pompego to schorzenie nerwowo-mięśniowe o podłożu genetycznym, spowodowane niedoborem enzymu odpowiedzialnego za rozkład glikogenu. Obecnie może być skutecznie leczone za pomocą terapii, która uzupełnia niedobory enzymu i daje chorym szansę na aktywne życie. Leczenie dostępne jest od 2008

r., a z programu lekowego obecnie korzysta nieco ponad 40 osób w Polsce. Zaprzestanie leczenia to dla dzieci i dorosłych perspektywa utraty samodzielności, konieczność korzystania z respiratora, przykucie do łóżka i koniec jakiegokolwiek aktywności życiowej.

W pełni świadomie i z całą powagą pragniemy, więc poinformować, że odmówienie nam refundacji i pozbawienie jedynej możliwości leczenia, stanowi bezpośrednie zagrożenie nie tylko dla naszego zdrowia, ale również życia - alarmują pacjenci.

O tym, że dla pacjentów z chorobą Pompego może zabraknąć leczenia, pisaliśmy już wcześniej. Trwały negocjacje producenta z Komisją Ekonomiczną. Po publikacji projektu listy leków refundowanych chorzy i ich bliscy ponownie wysłali list do Ministerstwa Zdrowia. Przypomnieli, że polscy pacjenci od początku leczenia osiągają pożądane efekty i że brak kolejnej dawki enzymu w odpowiednim czasie, może doprowadzić do nagłego zwrotu w chorobie i znacznego przyspieszenia jej postępowania. Kolejne grupy mięśni straciłyby swoje funkcje, doprowadzając do coraz większego osłabienia i nieodwracalnej, głębokiej ogólnej niepełnosprawności, kończącej się całkowitym unieruchomieniem i zależnością od respiratora przez całą dobę, a w konsekwencji śmiercią.

Jak informuje Fundacja Rare Diseases Uniqius na FB „przedstawiciele koncernu farmaceutycznego zapewniają, że cena leku została obniżona i że nadal prowadzone są rozmowy z Ministerstwem Zdrowia, aby zapewnić pacjentom kontynuację leczenia.”

28 lutego przypada Międzynarodowy Dzień Chorób Rzadkich i ostatni dzień obowiązywania obecnej decyzji refundacyjnej leku na chorobę Pompego. Trzymamy kciuki za pacjentów i mamy nadzieję, że ostatecznie lek znajdzie się w programie - bo jak podkreśla resort zdrowia, nadal trwają intensywne prace nad ostatecznym kształtem programów lekowych.